

Referat

Mødetitel 88. rådsmøde i Medicinrådet

Dato 21. februar 2024

Sted Danske Regioner

Deltagere

- Jørgen Schøler Kristensen (formand)
- Birgitte Klindt Poulsen (næstformand)
- Kim Brixen
- Jens Friis-Bak
- Peder Gunner Fabricius
- Charlotte Rotbøl
- Tonny Studsgaard Petersen
- Christine Dinsen-Andersen
- Anne Lene Riis
- Dorte Gyrd-Hansen
- Morten Freil
- Lisbeth Høeg-Jensen

Observatører

- Ida Sofie Jensen (kom kl. 11 og gik kl. 15.40)
- Dorthe Bartels
- Kristin Skougaard (gik kl. 16.00)
- Simon Tarp (gik kl. 15.10)

Afbud fra Rådet

- Kirsten Wisborg
- Rikke Søgaard
- Zandra Nymand Ennis
- Ann-Britt Eg Hansen

Fra sekretariatet

Søren Gaard, Birgit Mørup (referent) Jonas Stidsborg Jakobsen, Karen Kleberg Hansen, Annemette Anker Nielsen, Linda Aagaard Thomsen, Jane Skov, Resmije Aliji, Pernille Winther Johansen, Ehm Andersson Galijatovic, Marie Louise Sjølie, Karen Agerbæk Jørgensen.

Ekstern konsulent: Steen Werner Hansen

Næstformand Birgitte Klindt Poulsen bød velkommen til det 88. rådsmøde i Medicinrådet.

Formanden orienterede Rådet om to henvendelser vedrørende lægemiddelrekommandationen for metastatisk nyrekræft, som formandskabet er i gang med at svare på.

Punkt 1

Godkendelse af dagsorden

Rådet godkendte dagsordenen.

Punkt 2

Godkendelse af referat

Intet til godkendelse.

Punkt 3

Anbefaling: Voclosporin (Lypkynis) - Lupus nefritis

Fagudvalgsformand Annemarie Lyng Svensson præsenterede det kliniske data vedrørende voclosporin til lupus nefritis. Fagudvalget har vurderet, at voclosporin ikke er relevant som tillæg til standardbehandling til patienter i dansk klinisk praksis, og derfor havde sekretariatet ikke udarbejdet en sundhedsøkonomisk analyse.

Rådet var enigt med fagudvalget og besluttede herefter følgende:

Medicinrådet anbefaler ikke

Medicinrådet anbefaler ikke voclosporin i kombination med mycophenolatmofetil til behandling af voksne patienter med aktiv lupus nefritis af klasse III, IV eller V (herunder blandet klasse III/V og IV/V). Lupus nefritis er en sjælden autoimmun sygdom, som forårsager gentagne inflammationer i nyrene med risiko for kronisk tab af nyrefunktion til følge.

Medicinrådet vurderer, at voclosporin kan reducere et af symptomerne på aktiv lupus nefritis, nemlig proteinuri (for meget protein i urinen). Det er dog usikkert, hvorvidt voclosporin behandler den underliggende inflammation i nyrene, som er årsag til proteinurien, og derfor også usikkert, om voclosporin i kombination med mycophenolatmofetil har effekt på sygdommen på lang sigt. Samtidig vurderer Medicinrådet, at voclosporin er forbundet med flere bivirkninger end den nuværende standardbehandling.

Samlet set vurderer Medicinrådet, at voclosporin i kombination med mycophenolatmofetil ikke er relevant som tillægsbehandling af aktiv lupus nefritis.

Medicinrådet offentliggør anbefalingen på Medicinrådets hjemmeside og sender den også til regionerne.

Punkt 4

Anbefaling: Teclistamab (Tecvayli) – Myelomatose

Fagudvalgsnæstformand Anne Kærsgaard Mylin præsenterede det kliniske data vedrørende teclistamab til myelomatose, og sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser samt udkast til anbefaling.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsnæstformanden og havde særligt kommentarer til behandlingens bivirkningsprofil herunder risikoen for alvorlige bivirkninger og dødsfald sammenlignet med nuværende behandling. Rådet drøftede også det begrænsede datagrundlag og studiedesignet, som giver anledning til usikkerhed om effektens størrelse.

Rådet drøftede også behovet for at følge op på de patienter, der sættes i behandling, og ønskede, at anbefalingen forudsættes af, at der løbende opsamles opfølgende data, således at Rådet efter et og to år på den baggrund kan tage stilling til, om anbefalingen fortsat skal gælde. Rådet besluttede herefter følgende:

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet anbefaler teclistamab til voksne patienter med recidiverende og refraktær knoglemarvskræft (myelomatose), som har fået mindst tre tidligere behandlinger, herunder et immunmodulerende lægemiddel, en proteasomhæmmer samt et anti-CD38-antistof, og som har haft sygdomsprogression under seneste behandling. Anbefalingen gælder patienter, som er i god almen tilstand (performancestatus 0-1).

Medicinrådet vurderer, at behandling med teclistamab udskyder tiden til sygdomsprogression og øger patienternes overlevelse sammenlignet med nuværende standardbehandling, som er pomalidomid – eller carfilzomib-holdig behandling. Det er meget usikkert, hvor stor effekten er, da teclistamab kun er undersøgt i et enkeltarmet ukontrolleret studie, dvs. uden direkte sammenligning med andre behandlingsmuligheder. Teclistamab er forbundet med risiko for alvorlige bivirkninger.

Behandling med teclistamab er dyrere end nuværende standardbehandling. Samlet set vurderer Medicinrådet dog, at omkostningerne er rimelige i forhold til effekten for denne patientgruppe.

Grundet risiko for alvorlige bivirkninger og usikkerhed om effekten forudsætter Medicinrådets anbefaling, at der i klinikken systematisk indsamles effekt- og bivirkningsdata for patienter, som behandles med teclistamab.

Medicinrådet vil efter ét og to år på baggrund af indleveret data tage stilling til, om anbefalingen fortsat skal gælde.

Medicinrådet offentliggør anbefalingen på Medicinrådets hjemmeside og sender den også til regionerne.

Punkt 5

Behandlingsvejledning: Kronisk lymfatisk leukæmi (CLL)

Fagudvalgsformand Robert Schou Pedersen præsenterede udkast til Medicinrådets behandlingsvejledning (som rummer de to dokumenter evidensgennemgang og opsummering af evidensgennemgang) vedrørende kronisk lymfatisk leukæmi (CLL).

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden og stillede spørgsmål til opdelingen af patientpopulationer, efterlevelsescenterne, fagudvalgets forslag til rækkefølge af behandlinger i de enkelte populationer, og hvorvidt alder bør indgå som et kriterium for valg af behandling.

Efter nogle justeringer på baggrund af drøftelserne godkendte Rådet behandlingsvejledningen.

Desuden spurgte Rådet til den videre proces, hvortil sekretariatet oplyste, at der vil blive udarbejdet en omkostningsanalyse for de ligestillede lægemidler i kategorien "anvend". På baggrund af omkostningsanalysen og

lægemiddelpriser vil Rådet efter et udbud tage stilling til, hvilke lægemidler der skal indgå i lægemiddelrekommendationen, som anbefalede af Medicinrådet.

Medicinrådet offentliggør behandlingsvejledningen på Medicinrådets hjemmeside og sender den også til regionerne.

Punkt 6

Orientering: Implementering af nye sagsprocesser

Sekretariatet orienterede Rådet om en status på implementeringen af nye sagsprocesser og arbejdet med løbende målinger på væsentlige resultat- og procesmål. Efter den 1. april 2024 overgår sekretariatet til de nye processer for sagsbehandling.

Rådet roste sekretariatets store arbejde med implementeringen.

Punkt 7

Anbefaling: Olaparib (Lynparza) - Brystkræft, adjuverende behandling

Fagudvalgsformand Hanne Melgaard Nielsen præsenterede det kliniske data vedrørende adjuverende behandling med olaparib til HER-2 negativ brystkræft, og sekretariatet præsenterede herefter usikkerheden ved de sundhedsøkonomiske analyser samt udkast til anbefaling.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden og stillede særligt spørgsmål til forskellene mellem dansk behandlingspraksis og studiet.

Rådet drøftede datagrundlaget, effekten i relevante subgrupper og patientpopulationens prognose og besluttede herefter følgende:

Medicinrådet anbefaler ikke

Medicinrådet anbefaler ikke olaparib som adjuverende behandling til BRCA1/2-muteret HER2-negativ brystkræft. Det gælder patienter med høj-risiko, tidlig sygdom, der tidligere har modtaget neoadjuverende eller adjuverende kemoterapi. Formålet med adjuverende behandling er at mindske risikoen for tilbagefald efter operation, med henblik på at forlænge overlevelsen.

Medicinrådet har vurderet adjuverende olaparib til to patientpopulationer med to forskellige varianter af sygdommen: Henholdsvis triple-negativ brystkræft og ER+/HER2-negativ brystkræft.

For **patienter med triple-negativ brystkræft** er datagrundlaget for usikkert til, at Medicinrådet kan vurdere effekten af adjuverende olaparib. Det skyldes, at studiet ikke afspejler den måde, man behandler de fleste patienter i Danmark. Herudover er nuværende dansk neoadjuverende behandling mere effektiv end den neoadjuverende behandling, patienterne har modtaget i studiet. Det er altså ikke undersøgt tilstrækkeligt, hvordan adjuverende olaparib virker i forhold til den nuværende danske standardbehandling.

For **patienter med ER+/HER2-negativ brystkræft** er det ikke dokumenteret, at olaparib kan nedsætte risikoen for tilbagefald eller forlænge patienternes liv sammenlignet med den behandling, de får i dag. Det skyldes, at patienterne i studiet er fulgt i kort tid i forhold til deres prognose.

På grund af for stor usikkerhed om den forventede effekt af behandlingen i dansk klinisk praksis kan Medicinrådet ikke vurdere, om der er et rimeligt forhold mellem effekten og prisen af adjuverende olaparib for begge patientpopulationer.

Medicinrådet offentliggør anbefalingen på Medicinrådets hjemmeside og sender den også til regionerne.

Punkt 8

Anbefaling: Cipaglucoxidase alfa (Pombiliti) i kombination med miglustat (Opfolda) - Pompes sygdom (stofskiftesynd)

Fagudvalgsnæstformand Nicolai Rasmus Preisler præsenterede det kliniske data vedrørende cipaglucoxidase alfa i kombination med miglustat til Pompes sygdom, og sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser samt udkast til anbefaling.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsnæstformanden og besluttede ikke at anbefale lægemidlet. Rådet var særligt opmærksomt på, at lægemidlet og komparator var meget dyre behandlinger, og at de to behandlinger i øvrigt var ligeværdige. Rådet var også opmærksomt på, at den kommende behandlingsvejledning vil omfatte alle lægemidler til Pompes sygdom, og give mulighed for konkurrenceudsættelse.

Rådet besluttede herefter følgende:

Medicinrådet anbefaler ikke

Medicinrådet anbefaler ikke cipaglucoxidase alfa i kombination med miglustat – en enzymerstatningsterapi til voksne med sent debuterende Pompes sygdom (en medfødt stofskiftesynd, der medfører nedsat muskelkraft og lungfunktion, fordi patienten mangler et vigtigt enzym).

Cipaglucoxidase alfa i kombination med miglustat er en mindst lige så effektiv og sikker behandling som alglucoxidase alfa, som er den enzymerstatningsterapi, de fleste patienter modtager i dag.

Selvom omkostningerne aktuelt er lavere end for alglucoxidase alfa, vurderer Medicinrådet, at omkostningerne for begge behandlinger er prissat urimeligt højt. Medicinrådet kan derfor ikke anbefale cipaglucoxidase alfa i kombination med miglustat til den nuværende pris. I stedet opfordrer Medicinrådet lægemiddelvirksomheden til at vende tilbage med en væsentligt lavere pris.

For at skabe priskonkurrence på området for enzymerstatningsterapier, hvor lægemidlerne på nuværende tidspunkt er prissat uforholdsmæssigt højt, har Medicinrådet besluttet at udarbejde en behandlingsvejledning for enzymerstatningsterapier, hvori behandling af Pompes sygdom også vil indgå.

Medicinrådet offentliggør anbefalingen på Medicinrådets hjemmeside og sender den også til regionerne.

Punkt 9

Behandlingsvejledning: Arveligt angioødem

Fagudvalgsformand Shailajah Kamaleswaran præsenterede udkast til Medicinrådets behandlingsvejledning (som rummer de to dokumenter evidensgennemgang og opsummering af evidensgennemgang) vedrørende arveligt angioødem.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden og spurgte særligt til kriterier for skift af behandling.

Efter nogle justeringer på baggrund af drøftelserne godkendte Rådet behandlingsvejledningen.

Medicinrådet offentliggør behandlingsvejledningen på Medicinrådets hjemmeside og sender den også til regionerne.

Punkt 10

Orientering: FINOSE

Sekretariatet orienterede kort om det nordiske HTA-samarbejde FINOSE og aktiviteterne, der er sket, siden Medicinrådet tilsluttede sig samarbejdet i maj 2023.

Sekretariatet orienterede desuden om den efterfølgende sag vosoritids relation til FINOSE.

Rådet var opmærksomt på forskellene mellem landene og havde en særlig interesse for fagudvalgenes involvering i vurderingsprocessen.

Rådet bakkede op om fælles nordiske vurderinger og så mange fordele ved samarbejdet.

Punkt 11

Anbefaling: Vosoritid (Voxzogo) - Akondroplasi

Fagudvalgsformand Brian Nauheimer Andersen præsenterede det kliniske data vedrørende vosoritid til akondroplasi, og sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser samt udkast til anbefaling.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden og fandt, at ansøgningen fremstod præmatur, idet studiet var baseret på meget få patienter med meget kort opfølgningstid og ikke forholdt sig til væsentlige effektmål på komplikationer af akondroplasi.

Patientrepræsentanterne i Rådet opfordrede regionerne til at sikre individuel ibrugtagning med vosoritid for de få børn med akondroplasi, der ikke er inkluderet i kliniske forsøg med tilsvarende præparater som vosoritid, og som derfor ikke har adgang til behandling på lige fod med børn, der indgår i de kliniske forsøg.

Rådet besluttede herefter følgende:

Medicinrådet anbefaler ikke

Medicinrådet anbefaler ikke vosoritid til behandling af akondroplastisk dværgvækst. Akondroplasi er den mest almindelige form for skeletdysplasi, som resulterer i lille højde med relativt korte arme og ben samt dysproportionel vækst af knogler i hele kroppen. Patienterne kan desuden have en lang række komplikationer, der i nogle tilfælde kan være invaliderende og medføre kroniske smerter.

Medicinrådet vurderer, at behandling med vosoritid kan øge patientens højde, men der er endnu ingen data for patienternes endelige højde som voksne. Data vedrørende kort- og langtidsbivirkninger er meget begrænsede. Det er ikke dokumenteret, at behandling med vosoritid forbedrer patienternes funktionsevne. I studierne er det ikke undersøgt, om behandling med vosoritid forhindrer udvikling af komplikationer.

Vosoritid er meget højt prissat, og der er usikkerhed om effekten. Medicinrådet kan derfor ikke anbefale vosoritid til den nuværende pris, men opfordrer i stedet lægemiddelvirksomheden til at vende tilbage med en markant lavere pris og bedre data.

Medicinrådet offentliggør anbefalingen på Medicinrådets hjemmeside og sender den også til regionerne.

Punkt 12

Drøftelse: Habilitetsvurdering af fagudvalgsmedlem

Sekretariatet drøftede en habilitetsvurdering af et fagudvalgsmedlem med Rådet. Sagen handlede om et fagudvalgsmedlems deltagelse i en sponsoreret undervisningsaktivitet.

Rådet drøftede sagen med sekretariatet, herunder praksis i andre sager. Rådet fandt, at medlemmet var inhabilt.

Punkt 13

Direktørens meddelelser

Direktøren orienterede om, at formandskabet deltager på Folkemødet 2024.

Direktøren orienterede også om sekretariatets arbejde med data, herunder samarbejdet med Sundhedsdatastyrelsen, og at sekretariatet havde fået en henvendelse om, at der i klinikken også bliver lavet opfølgende analyser af nogle af rådets anbefalinger.

Punkt 14

Skriftlig orientering

Intet til godkendelse.

Rådet havde modtaget følgende i skriftlig orientering:

- Faste oversigter
- Pressehenvendelser
- Opdateret version af Medicinrådets interne delegationsinstruks.

Punkt 15

Eventuelt

Næste rådsmøde i Medicinrådet er onsdag den 20. marts 2024.

Datoen for efterårets tematiske rådsmøde er torsdag den 7. november 2024.