

Pressemeddelelse 03.07.2020

26 børn må ikke få medicin, som eksperter anbefaler

Et flertal i Medicinrådet har igen afvist medicinen Spinraza, selvom både danske og internationale eksperter anbefaler den. Det betyder, at 26 børn muskelsvinddiagnosen SMA står uden behandling, og det har alvorlige konsekvenser.

I mandags behandlede Medicinrådet for femte gang spørgsmålet om Spinraza, men først i dag blev rådets beslutning officiel. Det blev et nej igen.

Det er overraskende, fordi rådets eget fagudvalg, der består af eksperter på området, har konkluderet, at flere børn og unge kan have god gavn af behandlingen, og udvalget mener derfor, at de skal have tilbudt behandlingen. Helt konkret drejer det sig 26 børn under 18 år.

Medicinrådet tolker data anderledes end sit fagudvalg

Som det fremgår af [referatet](#) fra Medicinrådets møde omkring Spinraza, står 11 medlemmer af fagudvalget bag udvalgets indstilling om, at tilbyde flere behandling. Ét enkelt medlem kunne ikke tilslutte sig indstillingen.

Det lader til, at det netop er det ene medlems holdning, som et flertal i Medicinrådet har fulgt.

Alvorlige konsekvenser for 26 børn

Beslutningen får alvorlige konsekvenser for de 26 børn og unge med SMA i Danmark, som i tre år har ventet på at få tilbudt Spinraza. Medicinen har ifølge flere internationale studier vist, at medicinen kan modvirke yderligere tab af funktioner, og den kan i flere tilfælde også forbedre funktionerne. Selv om det for flere kan forekomme som en lille effekt, har det stor værdi at bevare arm, hænder eller gangfunktion.

Det er også den konklusion, det store flertal i fagudvalget omkring SMA er kommet frem til i sin indstilling til Medicinrådet. Og samme konklusion lyder fra førende internationale eksperter, som Muskelsvindfonden har interviewet.

Medicinrådets beslutning er uden faglig redegørelse

Men Medicinrådet afviser altså fagudvalgets konklusion og fastholder den nuværende meget restriktive anbefaling, hvor kun børn op til seks år under visse kriterier har adgang til behandling.

Ifølge referatet fra Medicinrådets møde var der ikke enighed i rådet om beslutningen. Danske Patienters to repræsentanter i Medicinrådet ønsker at lytte til eksperterne og mener, at Medicinrådet derfor bør udvide anbefalingen om, hvem der skal tilbydes Spinraza.

Danske Patienter har derfor fået tilføjet en mindretalsudtalelse, hvor de på det skarpeste tager afstand fra konklusionen.

[Se mindretalsudtalelsen i referatet.](#)

Nedslående afvisning

Medicinrådets afvisning er meget nedslående, og fra Muskelsvindfondens formand Simon Toftgaard Jespersen lyder det:

- Vi er om muligt endnu mere uforstående over for Medicinrådets beslutning, end vi nogensinde har været. Prisen er faldet markant, siden medicinalvirksomheden første gang søgte Medicinrådets om godkendelse tilbage i 2017. Eksperter fra hele Europa anerkender datamaterialet. Inklusiv det danske fagudvalg for SMA. Det er en skandale, at rådet ikke lytter til eksperterne, siger han og fortsætter:

- Andre europæiske lande har for længst godkendt Spinraza til børn med SMA op til 18 år og nogle steder endda også til voksne. Dertil kommer, at Spinraza er den eneste mulige medicinske behandling til netop denne diagnose. Denne sag aktualiserer endnu engang, at vi mangler transparens i Medicinrådets beslutninger. Synes rådet stik imod andre eksperter, at evidensen er for svag - og på hvilket grundlag? Hvor langt skal prisen på medicin sænkes til mennesker med sjældne diagnoser, før man tør anbefale det som behandling?

Selv om Medicinrådet har afvist en udvidelse af målgruppen for behandlingen med Spinraza, er det sidste ord i denne sag næppe sagt. Muskelsvindfonden arbejder videre med sagen både i forhold til Spinraza, og ud fra at den principielle problemstilling om godkendelse af ny medicin til sjældne diagnoser.

[Mød Marcus Lorenzen på 10 år. Han er en af de 26 børn og unge i Danmark, som ikke kan få den behandling, de har brug for](#)

Læs [nyheden om beslutningen](#) på Medicinrådets hjemmeside, hvor du også kan finde link til fagudvalgets rapport

Kontaktoplysninger og pressebilleder

Har du brug for yderligere oplysninger, en udtalelse, en case eller andet, så kontakt venligst

Gitte Dreier Jacobsen, kommunikations- og pressechef, gitte@muskelsvindfonden.dk 22652499

Suzanne S. Pedersen, pressemedarbejder, susk@muskelsvindfonden.dk 22652409

[Pressebillede af vores formand Simon Toftgaard Jespersen](#)