

Medicinrådets anbefaling vedrørende risdiplam til behandling af spinal muskelatrofi

MEDICINRÅDET ANBEFALER

risdiplam til patienter med muskelsvindsygdommen spinal muskelatrofi (**SMA**) **type 1**, som ikke er i vedvarende ventilationsbehandling mere end 16 timer i døgnet. Medicinrådet anbefaler også risdiplam til patienter med **SMA type 2 og 3**, som er under 6 år, når de påbegynder behandlingen.

Medicinrådet anbefaler risdiplam til **SMA type 1 og 2**, fordi risdiplam er en lige så god behandling som nusinersen. Samtidig er omkostningerne til risdiplam lavere. Anbefalingen gælder også børn med **SMA type 3**, fordi det er dokumenteret, at risdiplam har effekt, hvis de påbegynder behandlingen, inden de er 6 år.

Risdiplam er en mikstur, som patienten kan indtage derhjemme, mens nusinersen indsprøjtes i rygmarvskanalen. Da risdiplam både har fordele for patienterne, og omkostningerne er lavere, anbefaler Medicinrådet, at patienter, som er i nusinersen-behandling kan skifte til behandling med risdiplam.

MEDICINRÅDET ANBEFALER IKKE

at risdiplam kombineres med andre lægemidler mod SMA, da der aktuelt ikke er dokumentation for bedre effekt ved at kombinere flere behandlinger.

VÆRDI FOR PATIENTERNE

Medicinrådet vurderer, at risdiplam er en lige så god behandling som nusinersen til de patienter med SMA type 1 og 2, som i dag bliver behandlet med nusinersen. Det er typisk børn, der påbegynder behandling inden 6-års alderen.

Medicinrådet vurderer, at der aktuelt ikke er påvist effekt af risdiplam for større børn og voksne med SMA type 2 og 3 i aldersgruppen 6-25 år. Opfølgningstiden i studiet er for kort til at vise, om risdiplam kan stabilisere sygdommen.

Risdiplam indtages oralt, mens nusinersen bliver indsprøjtet i det hulrum, som omgiver rygmarven. Derfor kan risdiplam være en fordel for nogle patienter, fx patienter med svær skoliose (rygskævhed) eller patienter, der oplever komplikationer ved indsprøjtningen af nusinersen. Der er ikke dokumentation for, at patienterne opnår bedre effekt ved at kombinere de to behandlinger.



Vurderingen er baseret på følgende kategoriseringer efter Medicinrådets metoder:

- For patienter med SMA type 1 kan værdien af risdiplam sammenlignet med nusinersen ikke kategoriseres, da datagrundlaget er sparsomt. Medicinrådet vurderer dog, at risdiplam er ligeværdigt med nusinersen.
- For patienter med SMA type 2 og 3 i alderen 2-11 år har risdiplam ingen dokumenteret merværdi sammenlignet med nusinersen. Det vil sige, at risdiplam også er ligeværdigt med nusinersen til disse patienter. Hos aldersgruppen 2-5 år er effekten af risdiplam også bedre end ingen medicinsk behandling, hvorimod effekten hos børn, der først påbegynder behandling i alderen 6-11 år, ikke er forskellig fra ingen medicinsk behandling.
- For patienter med SMA type 2 og 3, der påbegynder behandling i alderen 12-25 år, har risdiplam ingen dokumenteret merværdi sammenlignet med ingen medicinsk behandling.

OMKOSTNINGER FOR SUNDHEDSVÆSENET

Følgende beløb er baseret på de officielle listepriser for lægemidlerne. Rådets beslutning er truffet på baggrund af priser på lægemidlerne, som Amgros har forhandlet med lægemiddelfirmaerne.

De forhandlede priser er fortrolige efter firmaernes ønske, og derfor må Medicinrådet ikke offentliggøre hverken de reelle priser eller omkostninger

Omkostningerne for sundhedsvæsenet er beregnet for anbefalingens betingelser på baggrund af den sundhedsøkonomiske afrapportering.

Medicinrådet har vurderet, at det vil koste ca. 0,4 mio. kr. mindre at behandle én patient med SMA type 1 livslangt med risdiplam end med nusinersen. Regionerne vil skulle bruge 0,6 mio. kr. mere i det femte år efter en eventuel anbefaling.

Medicinrådet har vurderet, at det vil koste ca. 0,4 mio. kr. mere at behandle én patient med SMA type 2 livslangt med risdiplam end med nusinersen. Regionerne vil skulle bruge 2,2 mio. kr. mindre i det femte år efter en eventuel anbefaling.

Medicinrådet har vurderet, at det vil koste ca. 53,6 mio. kr. mere at behandle én patient med SMA type 3 livslangt med risdiplam end med den behandling, man bruger i dag. Regionerne vil skulle bruge 5,4 mio. kr. mere i det femte år efter en eventuel anbefaling.

ALVORLIGHED

Sygdommens alvorlighed er altid medtaget i Medicinrådets vurdering af et lægemiddels værdi. Det sker i forbindelse med valget af effektmål og den vægt, Medicinrådet tillægger effektestimaterne, hvilket er forskelligt alt efter typen af effektmål. Derudover har Medicinrådet formuleret et alvorlighedsprincip, som Medicinrådet kan inddrage i helt særlige situationer. Dette har ikke været nødvendigt i denne sag.



ANBEFALINGEN BETYDER

Anbefalingen betyder, at Medicinrådet råder regionerne til at bruge risdiplam til den angivne patientgruppe, men ikke at risdiplam nødvendigvis er førstevalg til alle disse patienter, da der i forvejen findes andre lægemidler.

Risdiplam vil – sammen med to andre lægemidler – indgå i en ny behandlingsvejledning fra Medicinrådet. Indtil da anbefaler Medicinrådet, at regionerne bruger det lægemiddel, der medfører de laveste omkostninger.

Fagudvalgets sammensætning kan ses på Medicinrådets hjemmeside.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	27. oktober 2021	Godkendt af Medicinrådet.

Om Medicinrådets anbefaling