



Holbergsgade 6  
DK-1057 København K

T +45 7226 9000  
F +45 7226 9001  
M sum@sum.dk  
W sum.dk

## Folketingets Sundheds- og Ældreudvalg

Dato: 31-08-2020  
Enhed: MEDINT  
Sagsbeh.: DEPIKR  
Sagsnr.: 2010085  
Dok. nr.: 1320368

Folketingets Sundheds- og Ældreudvalg har den 13. juli 2020 stillet følgende spørgsmål nr. 1519 (Alm. del) til sundheds- og ældreministeren, som hermed besvares. Spørgsmålet er stillet efter ønske fra Kirsten Normann Andersen (SF).

Spørgsmål nr. 1519:

”Når Medicinrådets formand argumenterer med, at beviserne for Spinrazas virkning er for usikre, mener ministeren så ikke, der burde tages hensyn til, at det i visse tilfælde - f.eks. Spinraza til unge - handler om en lille diagnosegruppe, og at Medicinrådet dermed selv kunne bidrage til effektmålingen ved eksempelvis at åbne op for to årige protokollerede behandlinger til små diagnosegrupper?”

Svar:

Jeg har til brug for besvarelsen af spørgsmålet indhentet bidrag fra Danske Regioner, der oplyser følgende:

”Medicinrådet kan oplyse, at der efter nøje gennemgang af nye data, som fagudvalget har indsamlet, fortsat ikke kan findes evidens for, at en større patientgruppe vil have gavn af behandlingen. Herunder unge under 18 år, hvor studierne viser, at mange patienter fortsætter med at tabe funktioner på trods af behandlingen.

En af forudsætningerne for en protokolleret behandling er, at det i praksis er muligt at måle om den enkelte patient har effekt eller ej. I dette tilfælde vurderer Medicinrådet, at det ikke muligt at foretage valide effektmålinger af behandlingen, da der for de fleste patienter i studierne ikke er en målbar effekt af behandlingen. Det vil derfor ikke være muligt indenfor f.eks. 2 år at vurdere, om målingen er udtryk for en stabiliserende effekt af nusinersen eller om patienten havde opnået samme resultat uden medicin.

Såfremt ansøger har eller kan indsamle nye data og sender det til Medicinrådet, har Medicinrådet mulighed for at revurdere anbefalingen.”

Jeg kan henholde mig til Danske Regioners oplysninger.

Med venlig hilsen

Magnus Heunicke / Ida Krems