



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: 02-03-2020
Enhed: MEDINT
Sagsbeh.: DEPIKR
Sagsnr.: 2001936
Dok. nr.: 1117962

Folketingets Sundheds- og Ældreudvalg har den 6. februar 2020 stillet følgende spørgsmål nr. 615 (Alm. del) til sundheds- og ældreministeren, som hermed besvares. Spørgsmålet er stillet efter ønske fra Liselott Blixt (DF).

Spørgsmål nr. 615:

”Vil ministeren oplyse, hvilke behandlinger til sjældne sygdomme som er blevet godkendt/ikke godkendt i Medicinrådet efter den 1/1-19, hvor der blev indført nye kriterier for evidens?”

Svar:

Til brug for besvarelsen har jeg anmodet om bidrag fra Danske Regioner.

Danske Regioner oplyser følgende:

”Det skal indledningsvis bemærkes, at Medicinrådet ikke ”godkender/ikke godkender” lægemidler, men ”anbefaler/ikke anbefaler” lægemidler.

Medicinrådets afgrænsning af lægemidler til behandling af sjældne sygdomme følger Det Europæiske lægemiddelagentur, EMA’s definition for såkaldte ’orphan drugs’.

Følgende fire lægemidler inden for denne definition er blevet behandlet af Medicinrådet efter Medicinrådets metoder, der trådte i kraft 1. januar 2019:

- Pomalidomid (Imnovid) til knoglemarvskræft
- Burosumab (Crysvita) til en sjælden knoglemetabolisk lidelse
- Human alfa-1-antitrypsin (Respreeza) til behandling af alfa-1-antitrypsinmangel
- Lanadelumab (Takhzyro) til behandling af arveligt angioødem.

I alle fire tilfælde har Medicinrådet anbefalet præparaterne som mulig standardbehandling.

De ændringer af Medicinrådets metoder, der trådte i kraft 1. januar 2019, var *prospektivt* gældende med *fremadrettet* virkning for sagsbehandlingen. Sager, hvor sagsbehandlingen var påbegyndt i 2018, blev færdiggjort efter de ”gamle” metoder.

I 2019 er der derfor udarbejdet anbefalinger for nye lægemidler, hvor sagsbehandlingen blev påbegyndt i 2018. Dermed er der eksempler på anbefalinger for lægemidler med orphan status, som er besluttet i 2019, men hvor sagsbehandlingen har fulgt de gamle metoder. Et sådant eksempel er voretigene neparvovec (Luxturna), hvor sagsbehandlingen blev påbegyndt den 7. november 2018 (hvor Medicinrådet modtog den foreløbige ansøgning fra virksomheden). Anbefalingen blev besluttet den 25. september 2019.”

Danske Regioner oplyser desuden følgende om mulighederne for genansøgning for lægemidler vurderet efter den "gamle" metode:

"Kriterier for genansøgning står i Medicinrådets metodehåndbog afsnit 12, side 40. Her fremgår det, at Medicinrådet som udgangspunkt vil være positivt indstillet over for en ny ansøgningsproces, hvis:

- 1) der er fremkommet nye markante kliniske data,
- 2) der er grundlæggende ændrede forhold i de sundhedsøkonomiske parametre, eller
- 3) prisen på lægemidlet er ændret markant.

Ved indstillinger til genbehandling, som alene baserer sig på et ønske om at ændre prisen på lægemidlet, indhentes input fra Amgros i forhold til de nye omkostninger. Det er Medicinrådets formandskab som vurderer, hvorvidt en virksomheds evt. ønske om genansøgning kan imødekommes med udgangspunkt i ovenstående kriterier."

Jeg henholder mig til Danske Regioners oplysninger.

Med venlig hilsen

Magnus Heunicke / Ida Krems