

Sundhedsministeriet

Enhed: MEDINT  
Sagsbeh.: DEPRHH  
Koordineret med:  
Sagsnr.: 2017763  
Dok. nr.: 1696397  
Dato: 19-04-2021

## TALEPAPIR

Det talte ord gælder  
[Skriv tid, sted og overordnet tilhørerkreds]

### Samrådstale vedr. spm. AI om Medicinrådet og Spinraza

[Samrådsspørgsmål AI lyder:

*”Hvorfor tøver man forsat i Danmark - i modsætning til en række andre europæiske lande og USA - fortsat med at bruge Spinraza, og hvorfor tager man ikke afsæt i EMA’s anbefalinger til behandlingen af børn med muskelsvind-diagnoserne SMA type 1, 2 og 3, når der både er tale om en lille patientgruppe, og man jo har muligheden for at arbejde med stopkriterier, hvis virkning på behandlingen udebliver? Hvorfor arbejder man ikke i langt højere grad med real life-studier på området, når det er så lille en patientgruppe?”]*

Det er bestemt et vigtigt tema. Tak for at stille samrådsspørgsmålet.

Jeg vil gerne til en start udtrykke min medfølelse for alle de patienter og pårørende, der er påvirket af denne sag.

Jeg har stor forståelse for, at det er en urimelig hård situation at stå i.

\*\*\*

I Danmark har vi, i nu snart 4,5 år haft, Medicinrådet.

Det er et uafhængigt råd, under Danske Regioner.

Rådet består af faglige eksperter og har til opgave at udarbejder anbefalinger af, hvilke nye lægemidler der skal være mulige standardbehandlinger på landets sygehuse.

Medicinrådet udarbejder også behandlingsvejledninger og lægemiddelrekommandationer, der informerer sundhedspersonalet om, hvilken medicinsk behandling der er bedst til behandling af forskellige sygdomme, eller om nogle lægemidler er lige gode. Hvis man finder, at to behandlinger er lige gode, er det sådan, at Medicinrådet anbefaler det billigste. Det skal sikre den bedste og mest opdaterede behandling af landets patienter.

Jeg synes, det er godt, at anbefalingerne af nye lægemidler og udarbejdelsen af behandlingsvejledninger ligger hos de faglige eksperter i Medicinrådet. Vi har altså her et organ, som rummer det bedste faglige grundlag for at kunne anbefale nye lægemidler. Og det gælder til alle slags sygdomme - det gælder også hvad angår sjældne sygdomme, som samrådet her handler om.

\*\*\*

Nu har vi noget erfaring med Medicinrådet. Det påbegyndte arbejdet 1. januar 2017 efter at alle Folketingets partier året før blev enige om 7 principper for prioritering af sygehuslægemidler.

Idéen med de 7 principper var at give Medicinrådet et så godt som muligt udgangspunkt for deres arbejde og også give de fem regioner en ramme for de forventninger vi i Folketinget har til prioritering af medicinindkøb i sygehusvæsenet.

\*\*\*

Gør Medicinrådet det så godt nok?

Der har vi en evaluering fra Oxford Research. Den blev lavet i 2019, hvor man konkluderede bl.a., at:

*”Medicinrådet vurderes [...] at leve op til sit formål samt at respektere de principper, som er udstukket af Danske Regioners bestyrelse og Folketinget.”*

Det drøftede vi i Folketingssalen, og der tilkendegav et bredt flertal af Folketingets partier under forespørgselsdebatten [F 27], at man er enige i, at Medicinrådet lever op til formålet, og de faglige eksperter i Medicinrådet er de bedste til at vurdere nye lægemidler.

Jeg vil læse op fra vedtagelsesteksten:

*Folketinget finder, at det ville være bekymrende at flytte vurderingerne af medicin til sjældne sygdomme væk fra ekspertisen i Medicinrådet. Vurderingerne sker med inddragelse af relevante eksperter.*

Og så er der også en henvisning til den ændrede metode fra januar 2019 i forhold til sjældne sygdomme, som vi også har behandlet her i udvalget.

### **[Medicinrådets vurdering af Spinraza]**

Ift. spørgerens spørgsmål om, hvorfor vi i Danmark tøver ift. lægemidlet Spinraza, der anvendes til behandling af den sjældne genetiske sygdom spinal muskelatrofi (SMA). Det er det, som medfører muskelsvaghed i bl.a. skuldre, hofter, lår og øvre del af ryggen. Der må jeg sige, at det ikke er min oplevelse, at Danmark har tøvet.

Ifølge Medicinrådet var Danmark i oktober 2017 blandt de første europæiske lande, der med Medicinrådet anbefalede Spinraza som mulig standardbehandling til SMA type 1 - det er den mest alvorlige form af sygdommen.

Sidenhen har Medicinrådet revurderet sin anbefaling i takt med, at der enten er publiceret nye studier, der viser effekten af Spinraza, eller at lægemiddelvirksomheden har tilbudt en ny pris.

Medicinrådet udvidede derfor sin anbefaling. Det skete i maj 2018 til at omfatte de yngste børn med SMA type 2. Det skete, fordi der var nye data, der viste effekt for denne gruppe.

Selve Medicinrådets anbefaling - der er jeg naturligvis ikke fagekspert - den opgave har vi givet til Medicinrådet. Jeg synes det er positivt, at Medicinrådet revurderer sine anbefalinger, når der forelægges nye data eller en ny pris. Men ekspertisen i Medicinrådet, den kan jeg ikke gøre mig til sundhedsfaglig overdommer over. Den ekspertise har Medicinrådet.

\*\*\*

### **[EMA]**

Så bliver der spurgt til, hvorfor vi i Danmark ikke tager afsæt i det Europæiske Lægemiddelagentur (EMA's) anbefalinger til behandlingen af børn med muskelsvinddiagnoserne SMA type 1, 2 og 3.

Medicinrådet oplyser i den forbindelse, at Det Europæiske Lægemiddelagentur ikke laver anbefalinger i forhold til ibrugtagning af nye lægemidler i EU's medlemsstater.

EMA vurderer forholdet mellem et lægemiddels sikkerhed og effekt. Det gør agenturet med henblik på, at lægemidlet kan godkendes til markedsføring i EØS-lande.

\*\*\*

### **[STOP-kriterier]**

Så er der spørgsmålet om brug af STOP-kriterier. Der har Medicinrådet oplyst, at anbefalingen for tidlig behandling af yngre børn med SMA type 2 faktisk netop er betinget af STOP-kriterier.

Det er nogle kriterier man benytter ifølge Medicinrådet, fordi behandlingen med Spinraza potentielt er livslang, men studiet af Spinraza kun undersøgte effekten af behandling i 15 måneder.

Herudover har Medicinrådet oplyst, at Medicinrådet ikke anbefaler at starte behandling med Spinraza hos større børn og voksne, fordi der, ifølge Medicinrådet, ikke er dokumentation for, at behandlingen har effekt hos denne patientgruppe. Derfor er der heller ikke formuleret stopkriterier for denne gruppe.

\*\*\*

### **[Real life-studier]**

Så kommer vi til real life-studier, der også er med i samrådsspørgsmålet.

Når det drejer sig om så små patientgrupper, er det vigtigt at understrege, at det er lægemiddelvirksomhedens ansvar at tilvejebringe dokumentationen for at det lægemiddel, man ønsker at komme på markedet med, at det har en effekt.

Sagen er den, at virksomheden bag Spinraza ikke kom med nye data. Så valgte Medicinrådet, sammen med fagudvalget, i september 2019 netop at iværksætte sin egen søgning efter data fra real life-studier.

Konklusion herpå blev i juni 2020, at de patientgrupper, hvor der er dokumentation for effekt af Spinraza, allerede i dag er omfattet af anbefalingen. Derfor – efter det studie - fastholdt Medicinrådet sin anbefaling fra maj 2018.

Det var altså en beskrivelse af, hvad man har gjort, hvilke metoder man har brugt, og hvordan man undervejs har udvidet. Men også hvorfor man har besluttet ikke at udvide yderligere.

\*\*\*

### **[Lægemiddelindustriens ansvar]**

Derudover lige et par ord her til sidst om situationen, og hvorfor Folketinget var med til at sætte Medicinrådet i arbejde.

En af grundene til det er, at det ikke kun er myndighederne, der har et ansvar for, at innovative, nye og ofte også dyre lægemidler når ud til patienterne. Det ansvar påhviler ikke kun myndighederne, men naturligvis også de lægemiddelvirksomheder, som udvikler lægemidler baseret på lille datagrundlag. Det er logisk. Det er også logisk, at lægemiddelvirksomheder de ved, at de presser alle landes og sundhedsvæsenets ressourcer, og dermed har en stor opgave i at vise effekten.

Det er selvfølgelig en vigtig opgave for industrien at tilvejebringe tilstrækkelig dokumentation af deres lægemidlers effekt.

Hvis eller når der forelægger nye data eller en ny pris for en given behandling, så har Medicinrådet oplyst, at de kan se på deres anbefaling igen. Det gælder også den konkrete sag her. Det synes jeg er indlysende vigtigt, at man har den tilgang. Det synes jeg er den rette tilgang at have.

\*\*\*

Tak for ordet.