

Beslutningsgrundlag til Medicinrådet

Dette dokument er Amgros' indstilling om ibrugtagning af Spinraza (nusinersen) til standardbehandling af 5q Spinal muskeltrofi (SMA). Indstillingen er baseret på en vurdering af lægemidlets meromkostninger sammenholdt med den kliniske merværdi.

Dato for Medicinrådsbeslutning	12-10-2017
Firma	Biogen
Lægemiddel	Spinraza (nusinersen)
Indikation	5q Spinal muskeltrofi

Amgros' anbefaling af lægemidlet

- Det indstilles, at Spinraza **ikke** anbefales som standardbehandling til præsymptomatiske børn samt SMA type I, type II og type III.

Overordnet konklusion

På trods af, at Biogen i aftalen med Amgros, har reduceret prisen på Spinraza i forhold til listepriisen, betyder det meget lidt for konklusionen, som er at meromkostningerne for Spinraza ligger meget langt over et niveau, som kan betragtes som rimeligt i forhold til den merværdi lægemidlet tilbyder.

Konklusion per population

Præsymptomatiske børn

Ansøger har ikke indsendt en analyse for denne population, hvorfor Amgros ikke kan vurdere omkostningerne. Amgros kan derfor ikke anbefale Medicinrådet at anbefale Spinraza som standardbehandling til præsymptomatiske børn.

SMA I

Den kliniske merværdi bygger på et lavt evidensniveau. Sammenholdt med de meget høje meromkostninger, der er forbundet med behandling med Spinraza, vurderer Amgros, at der er et uacceptabelt forhold mellem meromkostningerne og den vigtige kliniske merværdi som lægemidlet tilbyder. Amgros anbefaler derfor, at Medicinrådet ikke anbefaler Spinraza som standardbehandling for SMA type I.

SMA type II

Den kliniske merværdi bygger på et meget lavt evidensniveau. Sammenholdt med de meget høje meromkostninger, der er forbundet med behandling med Spinraza, vurderer Amgros, at der er et fuldstændig uacceptabelt forhold mellem meromkostningerne og den lille kliniske merværdi. Amgros anbefaler derfor, at Medicinrådet ikke anbefaler Spinraza som standardbehandling for SMA type II.

SMA type III

Der er ikke dokumenteret, at Spinraza har en merværdi for SMA type III, hvorfor Amgros ikke kan anbefale Medicinrådet at anbefale Spinraza som standardbehandling til SMA type III.

Tabel 1 Merværdi, meromkostninger og Amgros' anbefaling

Population	Merværdi	Usikkerhed for klinisk merværdi	Amgros' konklusion om forholdet mellem meromkostninger og merværdi	Kommentar	Anbefaling som standardbehandling
Præsymptomatiske børn*	Vigtig klinisk merværdi (2)	Meget lav evidenskvalitet		Ingen økonomisk analyse indsendt	Nej
SMA type I	Vigtig klinisk merværdi (2)	Lav evidenskvalitet	Uacceptabelt		Nej
SMA type II	Lille klinisk merværdi (3)	Meget lav evidenskvalitet	Uacceptabelt		Nej
SMA type III	Ikke-dokumenterbar klinisk merværdi (6)	Ingen evidens	Uacceptabelt		Nej

* Med dokumenteret 5q SMA gendefekt og 2-3 SMN2-kopier

Supplerende informationer

Konklusion på omkostnings- og budgetkonsekvensanalyserne

Den forhandlede aftalepris på Spinraza påvirker nedenstående resultater i meget lav grad. Meromkostningerne for Spinraza, selv med den forhandlede aftalepris, ligger meget langt over et acceptabelt niveau i forhold til merværdien det medfører. De vigtigste resultater fra afrapportering på omkostningsanalyserne er gengivet i det følgende.

Inkrementale omkostninger per patient

Spinraza er forbundet med meget høje meromkostninger sammenlignet med best supportive care (BSC) til behandling af SMA type I, SMA type II og SMA type III. Meromkostningerne skyldes næsten udelukkende lægemiddelomkostningerne for Spinraza. De øvrige omkostninger, som er forbundet med standardbehandlingen af SMA, påvirker ikke meromkostningerne per patient i den valgte model. Overordnet er usikkerheden omkring meromkostningerne for behandling med Spinraza relativt lav.

Tabel 2 Estimerede meromkostninger per patient med en tidshorisont på 15 måneder

Population	Intervention	Komparator	Inkrementale omkostninger (DKK) per patient (AIP)
SMA type I	Spinraza	BSC	4.384.558 DKK
SMA type II	Spinraza	BSC	4.384.558 DKK
SMA type III	Spinraza	BSC	4.384.558 DKK

Budgetkonsekvenser

Amgros vurderer budgetkonsekvenserne som meget usikre, da det er svært at opnå et kvalificeret estimat for antallet af patienter, som vil blive igangsat behandling med Spinraza. Budgetkonsekvenserne for Spinraza er dog potentielt meget høje.

Tabel 3 Budgetkonsekvenser per år for SMA type I (AIP)

	År 1	År 2	År 3	År 4	År 5
DKK	10.762.232	10.938.448	13.068.110	15.197.771	17.327.432

Tabel 4 Budgetkonsekvenser per år for SMA type II (AIP)

	År 1	År 2	År 3	År 4	År 5
--	------	------	------	------	------

DKK	21.015.644	39.238.351	79.106.629	97.475.923	108.340.940
-----	------------	------------	------------	------------	-------------

Tabel 5 Budgetkonsekvenser per år for SMA type III (AIP)

	År 1	År 2	År 3	År 4	År 5
DKK	24.770.275	28.127.330	73.128.067	97.500.766	119.998.642

Kontraktforhold

2-årig rammeaftale med mulighed for forlængelse fra Amgros' side. Kontraktstart 1. oktober 2017