

## Beslutningsgrundlag til Medicinrådet

---

Dette dokument er Amgros' vurdering af ataluren (Translarna) som mulig standardbehandling til duchennes muskeldystrofi, der er forårsaget af en nonsens-mutation i dystrofin-genet hos ambulante patienter i alderen 5 år og derover.

Dato for Medicinrådsbeslutning	12-12-2018
Firma	PTC (ansøger)
Lægemiddel	Ataluren (Translarna)
Indikation	Duchennes muskeldystrofi

### Amgros' vurdering

- Amgros kan ikke vurdere, om der er et rimeligt forhold mellem meromkostningerne og den kliniske merværdi for ataluren (Translarna) til duchennes muskeldystrofi, da der ikke foreligger en sundhedsøkonomisk analyse som Amgros kan træffe en beslutning på baggrund af.

### Overordnet konklusion

Medicinrådet har vurderet, at ataluren (Translarna) giver **ingen klinisk merværdi** sammenlignet med standardbehandling.

Ansøger har trukket deres ansøgning og Amgros har derfor ikke noget grundlag for at vurdere meromkostningerne ved ataluren (Translarna).

En simpel beregning af lægemiddelomkostningerne for en patient i behandling med Ataluren (og med en gennemsnitsvægt på 35 kg) ligger på ca. 3 mio. kr. årligt.

## Kontraktforhold

Der er foreliggende ingen kontrakt med ansøger. De nuværende AIP-priser (30.11.2018) er listet i nedenstående tabel.

Lægemiddel	Styrke	Pakning	AIP-pris (DKK)
Translarna (ataluren)	125 mg	30 stk. gran. til oral susp.	22.903
Translarna (ataluren)	250 mg	30 stk. gran. til oral susp.	45.806
Translarna (ataluren)	1000 mg	30 stk. gran. til oral susp.	183.224