

Mindretalsudtalelse fra Danske Patienters repræsentanter i Medicinrådet:

Danske Patienter finder, at kliniske erfaringer og Mercuri (2019) viser, at børn og unge med SMA efter 5-års alderen taber funktionsevne. Real-world-data og et opfølgingsstudie viser, at behandlingen med nusinersen ret hurtigt ændrer denne udvikling for en del af patienterne. Der er således en dokumenteret effekt.

Danske Patienter finder det i øvrigt bemærkelsesværdigt, at Medicinrådet som det eneste prioriteringsinstitut i Europa fastholder, at der kun er grundlag for at give nusinersen til en mindre gruppe patienter.

Medicinrådet har desværre uden nogen faglig redegørelse – på tværs af rådets egne eksperter og den almindelige kliniske opfattelse blandt eksperter i Europa – besluttet, at der ikke er evidens for at udvide behandlingstilbuddet. Det indebærer bl.a., at den gruppe af børn og unge med SMA, der i dag ikke får tilbudt behandlingen i Danmark, heller ikke fremover vil få tilbudt behandlingen, selv ved en yderligere reduktion i prisen på nusinersen.

Danske Patienter er uenige i denne tilsidesættelse af faglige eksperters vurdering og i, at den relevante patientgruppe som følge heraf ikke får tilbudt behandling.