



Diurnal Europe B.V.
Van Heuven Goedhartlaan 935 A, Amstelveen, 1181LD
Holland
Att.: Richard Bungay

19. januar 2022
Sagsnr. 2021102208

Reference usk
T +45 44 88 93 50
E usk@dkma.dk

Efmody hårde kapsler får ikke generelt eller generelt klausuleret tilskud

Afgørelse

Efmody hårde kapsler med modificeret udløsning med indhold af hydrokortison i styrkerne 5 og 10 mg får ikke generelt eller generelt klausuleret tilskud.

Sagsfremstilling

I har den 14. oktober 2021 ansøgt om generelt tilskud til Efmody hårde kapsler med modificeret udløsning med indhold af hydrokortison i styrkerne 5 og 10 mg.

Godkendt indikation

Efmody er ifølge produktresuméet¹ indiceret til behandling af adrenogenitalt syndrom (AGS) hos unge fra 12-årsalderen og voksne.

Udleveringsgruppe

Efmody er placeret i udleveringsgruppe B.

Anbefalet dosis og anvendelse

De anbefalede erstatningsdoser med hydrokortison er 10-15 mg/m²/dag hos unge fra 12 årsalderen, der ikke er helt udvokset, og 15-25 mg/dag hos fuldvoksne unge og voksne patienter med AGS.

Behandling med Efmody bør ifølge produktresuméet indledes af læger med erfaring i behandling af AGS.

Vederlagfri udlevering

Kortikosteroider kan udleveres gratis til patienter med kronisk primær binyrebarkinsufficiens, uanset at patienten ikke er indlagt på sygehuset, hvis patienten stadig anses for at være i sygehusbehandling, Det gør sig fx gældende, når der er behov for tæt styring af medicineringen og en korrekt anvendelse af lægemidlet forudsætter indgående kendskab til patienten samt en omfattende viden om lægemidlet og sygdommen, som kun besiddes af en specialafdeling. Medicin, der er omfattet af denne ordning, er opført på en særlig liste².

Adrenogenitalt syndrom (AGS)

AGS er en medfødt sygdom og er en primær binyrebarkinsufficiens som skyldes mangel på hormoner (kortisol og det saltbesparende hormon aldosteron), som normalt bliver produceret i binyrebarken. Manglen på binyrebarkhormoner kan give livstruende salttab fra nyrerne og føre til øget produktion af mandlige kønshormoner med deraf følgende påvirkning af kønsorganer i mandlig retning. AGS kan have forskellige sværhedsgrader. Sygdommen kan forekomme i en klassisk form med svær enzymmangel og i en ikke-klassisk form med let enzymmangel. Den klassiske form kan være tab af salt eller simpelt viriliserende (påvirket i mandlig retning)³.

Behandlingsvejledning

Ifølge Dansk Endokrinologisk Selskabs (DES) behandlingsvejledning⁴ *Binyrebarkinsufficiens fra 2018* indebærer behandling af AGS en livslang erstatning af de manglende hormoner. Hydrokortison er det anbefalede glukokortikoid til behandling af AGS, idet det erstatter den fysiologiske kortisol produktion. Enkelte patienter har et minimalt behov for mineralokortikoid (fludrokortisonacetat) og kan nøjes med en meget lille dosis få dage om ugen – evt. blot tilskud af bordsalt.

Selskabet skriver i sin vejledning, at behandling af AGS er en vanskelig balance mellem hyperandrogenisme og hyperkortisonisme. Underbehandling medfører risiko for Addison krise og medfører øget adrenal androgen produktion og overbehandling kan medføre nedsat vækst, forhøjet blodtryk og iatrogen Cushing's syndrom. Selskabet skriver endvidere, at behandlingen er centraliseret på højt specialiseret endokrinologisk afdeling, og kræver involvering af både endokrinologer, gynækologer, plastikkirurger samt genetisk rådgivning og undertiden psykologisk hjælp.

Sagsforløb

I har den 14. oktober 2021 ansøgt om generelt tilskud til Efmody hårde kapsler med modificeret udløsning med indhold af hydrokortison i styrkerne 5 og 10 mg.

I vores påtænkte afgørelse lægger vi op til at Efmody ikke vil blive tildelt generelt eller generelt klausuleret tilskud. Vi henviser til, at vi vurderer, at Efmody hovedsageligt anvendes i sygehusbehandling samt, at vi vurderer, at der ikke foreligger ganske særlige forhold, der kan føre til et andet resultat.

Vi har den 15. december 2021 partshørt jer over vores påtænkte afgørelse.

Vi modtog jeres hørings svar den 10. januar 2022.

Begrundelse

Det fremgår af medicintilskudsbekendtgørelsens^a § 1, stk. 2, at Lægemiddelstyrelsen ved vurderingen af, om der skal ydes generelt tilskud til et lægemiddel, lægger vægt på, 1) om lægemidlet har en sikker og værdifuld terapeutisk effekt på en velafgrænset indikation, og 2) om lægemidlets pris står i rimeligt forhold til dets behandlingsmæssige værdi, jf. dog stk. 3 og 4.

Der fremgår af § 1, stk. 3, at med mindre ganske særlige forhold gør sig gældende, ydes der ikke generelt tilskud til et lægemiddel, hvis

- 1) iværksættelse af behandling med lægemidlet kræver særlig undersøgelse og diagnosticering,
- 2) der er nærliggende risiko for, at lægemidlet vil blive anvendt uden for den godkendte indikation,
- 3) lægemidlet udelukkende eller overvejende anvendes til formål, hvortil der ikke med rimelighed kan forventes tilskud fra regionsrådet,
- 4) lægemidlets effekt ikke er klinisk dokumenteret,

^a Bekendtgørelse nr. 1781 af 18. december 2018 om medicintilskud. Tilgængelig fra: <https://www.retsinformation.dk/>

- 5) der er risiko for, at lægemidlet anvendes som førstevalg, uanset dette efter Lægemiddelstyrelsens vurdering ikke bør være tilfældet,
- 6) det er uafklaret, om eller hvornår lægemidlet skal anvendes som førstevalg,
- 7) der er nærliggende risiko for, at lægemidlet gøres til genstand for misbrug,
- 8) lægemidlet hovedsageligt anvendes i sygehusbehandling, eller
- 9) lægemidlet på grund af en særlig lægemiddelform ikke kan indtages af patienten selv.

Efmody opfylder ikke kriterierne for generelt tilskud.

Vi vurderer, at Efmody hovedsageligt anvendes i sygehusbehandling og dermed ikke opfylder kriteriet for generelt tilskud i medicintilskudsbekendtgørelsens § 1, stk. 3, nr. 8.

Vi lægger ved denne vurdering vægt på, at det af Dansk Endokrinologisk Selskabs (DES) behandlingsvejledning *Binyrebark-insufficiens* fra 2018 fremgår, at behandlingen af AGS er centraliseret på højt specialiseret endokrinologisk afdeling, og kræver involvering af både endokrinologer, gynækologer, plastikkirurger samt genetisk rådgivning og undertiden psykologisk hjælp.

Vi lægger endvidere vægt på, at kortikosteroider ifølge Danske Regioners liste over "Vederlagsfri udlevering af medicin til særlige ikke-indlagte patientgrupper, der er i fortsat sygehusbehandling", kan udleveres gratis til patienter med kronisk primær binyrebark-insufficiens, hvor der er behov for tæt styring af medicineringen og en korrekt anvendelse af lægemidlet forudsætter indgående kendskab til patienten samt en omfattende viden om lægemidlet og sygdommen, som kun besiddes af en specialafdeling. Det vurderer vi med henvisning til Dansk Endokrinologisk Selskabs (DES) behandlingsvejledning *Binyrebark-insufficiens* fra 2018 om behandling af AGS gør sig gældende for Efmody.

Vi vurderer, at der ikke foreligger ganske særlige forhold, der kan føre til et andet resultat.

Det følger af medicintilskudsbekendtgørelsens § 1, stk. 4, at Lægemiddelstyrelsen i overensstemmelse med kriterierne fastsat i § 1, stk. 2 og 3, vurderer, om regionsrådets tilskud skal betinges af, at lægemidlet ordineres med henblik på behandling af bestemte sygdomme eller persongrupper (generelt klausuleret tilskud).

Vi kan ikke identificere bestemte sygdomme eller persongrupper til behandling af hvilke Efmody opfylder kriterierne for generelt tilskud. Begrundelsen herfor er som ovenfor nævnt.

I jeres høringsvar af 10. januar 2022, anfører I, at der efter opstart vil være patienter, der ikke har behov for tæt styring fra hospitalet og anmoder om vores stillingtagen til, om dette forhold kan udgøre ganske særlige forhold, som kan føre til, at Efmody får generelt klausuleret tilskud til patienter omfattet af den godkendte indikation.

Vi vurderer fortsat, at Efmody hovedsageligt anvendes i sygehusbehandling og at der ikke foreligger ganske særlige forhold, der kan føre til et andet resultat. Dette gælder også, hvis et generelt tilskud blev klausuleret til patienter omfattet af

indikationen. Vi lægger vægt på, at endokrinologerne skriver i deres behandlingsvejledning, at behandlingen er centraliseret på højt specialiserede endokrinologiske afdelinger, og det forhold, at der måtte være enkelte patienter, der ikke bliver fulgt på en sådan afdeling, mener vi ikke udgør ganske særlige forhold, der kan føre til et andet resultat.

Retsregler


Afgørelsen er truffet med hjemmel i § 1, stk. 3, nr. 8, sammenholdt med stk. 4. i medicintilskudsbekendtgørelsen^b.

Revurdering

Afgørelsen er truffet på baggrund af oplysninger til rådighed på afgørelsestidspunktet. Hvis disse senere ændrer sig, kan vi revurdere afgørelsen.

Tilskudsstatus for Efmody bliver revurderet i forbindelse med den regelmæssige revurdering af lægemidlers tilskudsstatus.

Med venlig hilsen



Ulla Kirkegaard Madsen
Sektionsleder

Referencer

¹ Produktresumé for Efmody. European Medicines Agency. Offentliggjort 14. juni 2021. Opdateret 6. juli 2021. Besøgt 29. november 2021. Tilgængelig fra: https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/efmody-epar-product-information_da.pdf

² Vederlagsfri udlevering af medicin til særlige ikke-indlagte patientgrupper, der er i fortsat sygehusbehandling. Listen har virkning fra den 22. februar 2021 <https://www.regio-ner.dk/media/14714/vederlagsfri-liste-februar-2021.pdf>

³ Sundhed.dk. Lægehåndbogen. Adrenogenitalt syndrom. Opdateret 1. oktober 2020. besøgt 30. november 2021. <https://www.sundhed.dk/sundhedsfaglig/lægehaandbogen/sjaeldne-sygdomme/sjaeldne-sygdomme/adrenogenitalt-syndrom/>

⁴ Dansk Endokrinologisk Selskab. Binyrebarkinsufficiens. 1. november 2018. besøgt 30 november 2021. <https://endocrinology.dk/nbv/hypofyse-og-binyresygdomme/binyrebarkinsufficiens/>

^b Bekendtgørelse nr. 1781 af 18. december 2018 om medicintilskud. Tilgængelig fra: <https://www.retsinformation.dk/>