

NT- rådet

Hälso- och sjukvårdsdirektörs-  
nätverket

## NT-rådets yttrande till landstingen gällande Spinraza (nusinersen) vid 5q spinal muskelatrofi

### NT-rådet rekommenderar landstingen

- Att generellt avvakta med behandling med Spinraza till dess att det finns tillräckligt kunskapsunderlag, inklusive en hälsoekonomisk värdering, för NT-rådet att fastställa en rekommendation.
- Att till dess i undantagsfall överväga behandling av selekterade patienter med stor risk för irreversibelt kraftigt försämrat tillstånd eller livshotande tillstånd inom kort tid
- Att behandlade patienter följs upp i relevant kvalitetsregister

### Bakgrund

Spinraza (nusinersen) är godkänt för behandling av 5q spinal muskelatrofi (SMA). NT-rådet har utsett Spinraza till nationellt ordnat införande. För att NT-rådet ska kunna göra en fullständig bedömning av behandlingens värde med hänvisning till den etiska plattformen behöver en utvärdering av kostnadseffektiviteten göras. NT-rådet har därför beställt en hälsoekonomisk värdering av TLV, vilken uppskattas bli klar hösten 2017. I väntan på att detta kunskapsunderlag blir tillgängligt så att NT-rådet kan fastställa en rekommendation, rekommenderas därför landstingen att avvakta med användning av Spinraza. Undantag kan övervägas vid behandling av selekterade patienter med stor risk för irreversibelt kraftigt försämrat tillstånd eller livshotande tillstånd inom kort tid.

För NT-rådet

Gerd Lärfars, ordförande