

Praktisk information inför behandlingsstart med Spinraza (nusinersen)

Läkemedlet Spinraza (nusinersen) vid SMA är föremål för nationellt ordnat införande. För att möjliggöra användning av Spinraza vid SMA har NT-rådet i sin [rekommendation](#) till landstigen ställt upp kriterier för när den mycket höga behandlingskostnaden för behandling med Spinraza anses motiverad. För att tillse en jämlik bedömning över landet har NT-rådet tillsatt ett nationellt behandlingsråd (expertrgrupp) med uppdrag att ta ställning till att insättning och utsättning av Spinraza följer NT-rådets rekommendation.

Patienter som enligt NT-rådets rekommendation är aktuella för behandling med Spinraza följs vid neuromuskulära mottagningen på Sahlgrenska universitetssjukhuset, Göteborg, eller neuromuskulära mottagningen vid Karolinska universitetssjukhuset, Stockholm. Behandlingsteamet där ansvarar för behandlingen och uppföljningen av patienten i samråd med hemmakliniken. Administrering av Spinraza kan, mellan besöken i Stockholm/Göteborg, vid behov göras i hemlandstinget.

Rutin vid behandlingsstart med Spinraza

1. Remitterande läkare i hemlandstinget/hemmakliniken gör en bedömning utifrån checklistan (se nedan) om patienten kan vara aktuell för behandling med Spinraza.
2. Om patienten uppfyller kriterierna enligt checklistan, tar remitterande läkare kontakt med regionens representant i det nationella behandlingsrådet, för kontaktuppgifter se nedan.
3. Remitterande läkare förser behandlingsrådet med den information som specificeras under rubriken Patientuppgifter (se nedan).
4. Behandlingsrådet gör tillsammans med remitterande läkare en bedömning av om patienten kan erbjudas behandling enligt NT-rådets rekommendation.
5. Behandlingsrådet meddelar sitt beslut till berörd verksamhetschef i hemlandstinget och remitterande läkare.
6. Remitterande läkare journalför behandlingsrådets beslut och skickar om så är aktuellt remiss till något av behandlingsteamet.
7. Behandlande läkare vid behandlingsteamet på Sahlgrenska universitetssjukhuset eller Karolinska universitetssjukhuset ansvarar för att patienten registreras i kvalitetsregistret för SMA. Behandlande läkare samt remitterande läkare i hemlandstinget tillser att patientdata kontinuerligt registreras och följs i kvalitetsregistret.

Checklista

Alla följande kriterier ska vara uppfyllda inför att behandling med Spinraza ska kunna övervägas och behandlingsrådet därmed kontaktas.

- Inga symtom på SMA föreligger vid 1 veckas ålder
- Genetiskt verifierad diagnos SMA
- Patienten är inte varaktigt beroende av andningsstöd
- Patienten har SMA av typ 1, typ 2 eller typ 3 med symtomdebut före 3 års ålder
- Patienten är < 18 år
- Eventuell behandling med Spinraza är diskuterat på etisk rond och detta är journalfört
- Patienten och/eller vårdnadshavare är informerad om under vilka förutsättningar behandling enligt NT-rådets rekommendation kan ske och detta är journalfört.

Nationella behandlingsrådet för Spinraza

Behandlingsrådet för Spinraza är utsett av NT-rådet och består av läkare från respektive sjukvårdsregion. Läkarna är barn- och vuxenneurologer med bred kompetens inom området sällsynta diagnoser och har erfarenhet av horisontella prioriteringar. Regionrepresentanterna har adjungerat experter på SMA till rådet.

Av NT-rådet utsedda regionala representanter

| | | |
|-------------------|--|--|
| Stockholm-Gotland | Ricard Nergårdh <i>ordförande</i> Stockholms läns landsting | ricard.nergardh@ki.se |
| Södra | Jesper Petersson Region Skåne | Jesper.Petersson@skane.se |
| Västra | Ralph Bågenholm Västra Götalandsregionen | ralph.bagenholm@vgregion.se |
| Uppsala-Örebro | Eric Stenninger Region Örebro län | eric.stenninger@regionorenbrolan.se |
| Norra | Bettina Herm Region Jämtland-Härjedalen | bettina.herm@regionjh.se |
| Norra | Jenny Backlin Västerbottens läns landsting | jenny.backlin@vll.se |
| Sydöstra | Johan Wahlström Region Östergötland | johan.wahlstrom@regionostergotland.se |

Adjungerade kliniska experter på SMA

| | |
|----------------------|--|
| Christoffer Ehrstedt | Akademiska sjukhuset, Uppsala |
| Helgi Hjartarson | Karolinska Universitetsjukhuset, Stockholm |
| Thomas Sejersen | Karolinska Universitetsjukhuset, Stockholm |
| Erik Eklund | Skånes universitetssjukhus |

Patientuppgifter

Följande information fylls i och tillhandahålls behandlingsrådet inför bedömning om patienten kan behandlas med Spinraza. Informationen ska vara avidentifierad.

| | |
|--|--|
| Patientens nuvarande ålder | |
| Patientens ålder vid symtomdebut | |
| Mutationer i SMN 1-genen | |
| Antal SMN 2-kopior | |
| Nuvarande klinisk situation <ul style="list-style-type: none"> • Tillväxtkurva • Behov av andningsstöd • Motorisk förmåga | |
| Etiska överväganden inför behandling <ul style="list-style-type: none"> • I vilken form är en etisk diskussion förd om huruvida patienten bör erbjudas behandling? Hur är detta journalfört? | |

| | |
|--|--|
| <ul style="list-style-type: none">• Hur är information om under vilka förutsättningar behandling kan erbjudas given till patient och familj? Hur är detta journalfört? | |
|--|--|

Rutiner kring betalning av Spinraza

Rutiner för vidarefakturerings av behandling med Spinraza är gemensamma oavsett om behandlingen sker via Sahlgrenska Universitetssjukhuset eller via Karolinska universitetssjukhuset. Både berörda kliniker och respektive landsting (Västra Götalandsregionen och Stockholms läns landsting) har bejakat en rutin som innebär att läkemedelskostnaden faktureras med avtalspris dvs. med den avtalsreglerade rabatten avdragen. Det innebär att uppföljning och återkrävande av rabatt för de läkemedel som ges i VGR och SLL sker via dessa två landsting.

Om underhållsbehandling sker på hemmasjukhus får respektive landsting fakturera rabatt för dessa underhållsdoser själva utifrån ett underlag som tas fram och stäms av med företaget på nationell nivå via landstingens gemensamma Marknadsfunktion. Detta sker halvårsvis i efterskott.