
Spinraza som standardbehandling af spinal muskelatrofi

Kandidatspeciale 2020



AALBORG UNIVERSITET
STUDENTERRAPPORT

Institut for Økonomi og Ledelse
Fibigerstræde 2
DK-9220 Aalborg Øst
www.business.aau.dk

Titel:

Spinraza som standardbehandling af spinal muskulatrofi

Projektperiode:

Forårssemestret 2020

Projektgruppe:

Gruppe 2

Deltager(e):

Anette Brusgaard Larsen, 2015-5271

Pinar Akgül, 2015-3153

Vejleder(e):

Birgitte Gregersen

Anslag:

166.026

Antal normalsider:

69,1

Afleveringsdato:

2. juni 2020

Forord

Vi vil gerne takke de muskelsvindpatienter, som tog sig tid til at besvare vores spørgeskema. Derudover vil vi gerne takke Muskelsvindfonden for dette specialesamarbejde. Muskelsvindfonden har været yderst behjælpelig med informationer og kontakt til muskelsvindpatienter. Med det sagt, så er projektet kun udarbejdet af os, og vi står til ansvar for de resultater og konklusioner, der er angivet i projektet.

Abstract

This thesis paper will primarily discuss economic health valuations included in the decision of utilizing Spinraza as a standard treatment for patients with Spinal Muscular Atrophy (SMA). The said drug has been limited for the Danish patients with SMA since the Danish medical council (Medicinrådet) believes that Spinraza is exceedingly expensive and hence the effects of Spinraza are lacking, which accordingly led to the determination of the drug being available for severe cases only. However, the SMA patients are not convinced by the Danish medical council's aforementioned decision, as several studies within that subject prove the exact opposite; that the drug has a significant effect on patients.

Medicinrådet has made their decision based on a valuation of a cost-analysis the developer; Biogen has conducted. The analysis based on the guidance of Medicinrådet includes only a few costs, that are somehow misleading. These costs relate to the treatment of Spinraza, such as hospital administration cost and drug cost, etc. Accordingly, this master's thesis will, therefore, include other relevant costs related to the disease, like assistive devices and indirect costs.

This project will first and foremost present details concerning the SMA diagnosis as well as its possible treatments. In this respect, the calculation methods will be introduced to measure the direct/indirect costs, and lastly the respondents' state of health. Secondly, the actual costs and state of health of the respondents' will be measured and compared to, clarified in the ICER-method. Finally, its results will thus be discussed and summarized in the conclusion section.

A questionnaire has been made containing responses from 210 Danes, in which 21 of them are diagnosed with SMA. The main purpose of including a questionnaire was to collect data touching on costs that are connected to the SMA disease, and also the state of health of the respondents. The respondents' answers made it possible to collect information about the varying health stages of patients who are treated with Spinraza versus those who are not. Including both costs and the respondents' state of health in a cost-effectiveness-analysis, made it attainable for the costs per QALY being calculated. The results calculated show how much Spinraza would cost compared to the existing treatment, which is not a healing one. The results that are calculated over three years, shows that kids and youngsters are most likely to have Spinraza compared to adults.

There is not an official limit for how much extra welfare costs in Denmark, therefore it is the Danish government's decision whether or not they are willing to pay. Due to the Danish government's budget constraints, the approval of a new drug is prioritized by costs per patient, and the achievable effect of the drug.

No questions are expressed regarding the drug's effect among the respondents, but Medicinrådet is not convinced due to small improvements, that are rather valuable to the patients. Thus, the Danish Foundation for patients with muscular dystrophy (the

Muskelsvindfonden), disagrees with Medicinrådet and requires them to consider the right treatment of the patients by giving them Spinraza to prevent the development of the disease. The Muskelsvindfonden is convinced that Spinraza will be effective to all the SMA-patients and not only the severe cases among children.

Medicinrådet is reconsidering giving Spinraza for patients, because of a new study initiated in Germany, that reveals an increase in the use of Spinraza, particularly among children and adults.

Indhold

1. Indledning	7
2. Problemformulering	8
3. Metode	9
3.1. Afgrænsning	11
4. Muskelsvind	12
4.1. Behandling af SMA	14
4.1.1. Spinraza	14
4.1.2. Zolgensma	15
4.1.3. Risdiplam	15
4.1.4. Rehabilitering	15
5. Beregning af sundhed	16
5.1. Quality Adjusted Life Years (QALY)	16
5.2. Måling af sundhed	18
5.2.1. Cost-utility-analyse, CUA	19
5.2.2. Den inkrementelle omkostningseffektbrøk, ICER	21
5.2.3. Cost-of-illness-analyse, COI	21
6. Beslutningsgrundlaget for anvendelse af Spinraza	22
6.1. Medicinrådets metodevejledning	25
7. Behandling af baggrundsdata	27
7.1. Baggrundsdata	28
8. Måling af sundhed	31
8.1. Sundhedstilstande for voksne uden anvendelse af Spinraza	33
8.2. Beregning af QALY	38
8.2.1. QALY for voksne der ikke anvender Spinraza	39
8.2.2. QALY for børn der ikke anvender Spinraza	40
8.2.3. QALY for respondenter der anvender Spinraza	41
8.2.4. Sammenfatning	41
9. Direkte og indirekte omkostninger	42
9.1. Direkte omkostninger	42
9.1.1. Hjælpemidler	43
9.1.2. Støtteordninger	48
9.1.3. Overførselsindkomster	51
9.1.4. Direkte omkostninger ved anvendelse af Spinraza	54
9.1.5. Direkte omkostninger for husstanden	55
9.1.6. Sammenfatning	56

9.2. Indirekte omkostninger	58
9.2.1. Indirekte omkostninger for respondenter som ikke anvender Spinraza	59
9.2.2. Indirekte omkostninger for respondenter der anvender Spinraza . . .	62
9.2.3. Sammenfatning	62
10.Modelberegning	63
10.1. Beregning af COI	63
10.2. Beregning af ICER	65
10.2.1. ICER med direkte omkostninger	65
10.2.2. ICER med direkte og indirekte omkostninger	68
10.2.3. Sammenfatning	69
11.Sundhedsøkonomisk prioritering	70
12.Konklusion	75
13.Bilag	84

1 Indledning

I Danmark er der cirka 210 patienter med diagnosen Spinal Muskelatrofi (SMA). Meget få af disse patienter har adgang til behandling. Der har indtil 2016 ikke eksisteret en behandling mod SMA, men dette blev udviklet af medicinalvirksomheden Biogen, som første gang fik Spinraza godkendt som en behandling mod SMA i USA i dette år (Sundhedspolitisk Tidsskrift, 2019c). I 2017 blev Biogens lægemiddel Spinraza godkendt i det europæiske medicinråd (EMA), hvor det efterfølgende blev behandlet i Medicinrådet i Danmark. Spinraza blev ikke godkendt i Medicinrådet, hvilket har ført til revurdering af præparatet ad flere omgange.

Præparatet blev første gang behandlet i Medicinrådet den 12. oktober 2017, hvor det blev besluttet, at børn med diagnosen SMA-type I samt præsymptomatiske børn kan modtage Spinraza betinget af symptomdebut før seksmånedersalderen, og som ikke er i permanent respirationsbehandling (Medicinrådet, 2017). Efterfølgende blev Spinraza revurderet to gange som standardbehandling for diagnosen SMA. Den 30. januar 2018 blev Spinraza revurderet grundet en forhandlet rabat på prisen af Spinraza, men det blev vurderet til stadig at være for dyrt trods prisreduceringen (Medicinrådet, 2018). Den 30. maj 2018 blev Spinraza revurderet for anden gang, og Medicinrådet afviste endnu en gang præparatet som standardbehandling for alle patientgrupper. Medicinrådet har dog udvidet patientpopulationen, således at patienter med SMA-type II kan modtage Spinraza som behandling under visse kriterier. Disse kriterier omfatter symptomdebut før 24 måneder, maksimum fire års sygdomsvarighed ved påbegyndelse af behandling og ingen ventilationsbehov udover natligt (Medicinrådet, 2018).

SMA er en sygdom i konstant udvikling, hvor patienterne oplever en fortsat funktionsnedsættelse, uanset hvilken diagnosetype patienterne har. Dog er graden af udviklingen forskellig for diagnosegrupperne, og mange af patienterne oplever tidligt en forringet livskvalitet, hvoraf nogle også har en kortere levealder end den gennemsnitlige dansker (Medicinrådet, 2018). Trods et langvarigt studie på syv år, kaldt SHINE, som har vist fremskridt eller stabilisering i funktionsevne for børn i alderen 2-15 år, har Medicinrådet besluttet, at Biogens lægemiddel kun skal være tilgængeligt for særlige tilfælde af sygdommen (Sundhedspolitisk Tidsskrift, 2019c).

Denne form for selektion går imod den danske vision for sundhedsvæsenet: lige sundhed for alle. Denne vision kan være vanskelig at opfylde for alle diagnosegrupper i Danmark på grund af budgetrestriktioner. Medicinrådet er derfor oprettet med det formål at påtage sig opgaven om at prioritere hvilke behandlinger, der skal anbefales som standardbehandling og dermed investeres i (Danske Regioner, 2015). Spinraza er blevet nedprioriteret af Medicinrådet grundet manglende evidens for effekten af præparatet samt en urimelig høj pris (Muskelsindfonden, 2015).

På trods af den frie og lige adgang til sundhedsvæsenet, oplever særlige diagnosegrupper en forskelsbehandling som følge af prioriteringen i sundhedsvæsenet. Ofte nedprioriteres lægemidler til små sjældne diagnosegrupper, idet udviklingen af lægemidlet er relativt

dyrere på grund af den lave efterspørgsel, hvilket betyder, at der er få patienter at fordele udgifterne på (Jespersen, S. T., 2020).

Muskelsvindfonden finder ikke Medicinrådets beslutning, om ikke at anbefale Spinraza som standardbehandling, etisk eller menneskelig forsvarlig (Muskelsvindfonden, 2017). Ifølge Muskelsvindfonden, tager Medicinrådet ikke højde for, at selv den mindste effekt er af stor værdi for sygdomsgruppen, eller det faktum at behandlingen ikke kun forbedrer SMA-patienternes tilstand, men stopper en forværret udvikling af deres bevægelighed (Muskelsvindfonden, 2017). Muskelsvindfonden ønsker derfor, at Spinraza kan anbefales som standardbehandling og være tilgængelige for alle SMA-patienter i Danmark.

2 Problemformulering

Medicinrådets beslutning om ikke at anbefale Spinraza som standardbehandling er baseret på Amgros' vurdering af Biogens omkostningsanalyse af præparatet. Vurderingen fra Amgros blev baseret på en omkostningsanalyse bestående udelukkende af de behandlingsrelaterede omkostninger. Det er derfor værd at revurdere, om der kan være øvrige vigtige omkostninger at inddrage i omkostningsanalysen. Disse omkostninger skal ses i forhold til den bedre livskvalitet, der er mulig at opnå ved behandling med Spinraza. Dette har ledt frem til følgende problemformulering.

"Hvilke sundhedsøkonomiske vurderinger kan inddrages i beslutningen om at give Spinraza som standardbehandling til SMA-patienter?"

Formålet med projektet er at undersøge, hvilke sundhedsøkonomiske aspekter, der kan have en indflydelse på beslutningen om at anbefale Spinraza som standardbehandling for SMA-patienter. Begrundelsen for Medicinrådets afvisning af Spinraza som standardbehandling er den manglende effekt i forhold til den høje pris, som er foretaget på baggrund af Amgros' vurdering af Biogens omkostningsanalyse af præparatet. Analysen sammenligner omkostningerne ved Spinraza-behandlingen med BSC-behandlingen, som er det bedste alternativ til behandling (dette forklares nærmere i afsnit 6).

Medicinrådets vurdering af Biogens omkostningsanalyse er baseret på beregning af de behandlingsrelaterede omkostninger, som blev besluttet til at være for omkostningskrævende i forhold til den opnåede forbedring af livskvalitet, sammenlignet med ikke at behandle med Spinraza. Der vil i de efterfølgende afsnit i projektet inddrages øvrige omkostninger, som er forbundet med en SMA-sygdom, og som er relevante at inkludere.

Øvrige relevante omkostninger defineres som de direkte og indirekte omkostninger, der ikke er inddraget i Biogens omkostningsanalyse. De direkte omkostninger består af sygdomsrelaterede omkostninger såsom hjælpemidler, støtteordninger og overførselsindkomster. De indirekte omkostninger består af de indkomståndringer, der er sket i SMA-patientens husstand. Disse ændringer er indirekte, eftersom de afspejler et tab af indkomst for staten gennem færre skatteindtægter.

Biogens omkostningsanalyse er foretaget kun med udgangspunkt i de direkte behandlingsrelaterede omkostninger, hvilket kan være misvisende, idet der ses bort fra direkte sygdomsrelaterede og indirekte omkostninger, som kan have en væsentlig betydning for resultatet. Af denne årsag tager projektets analyseafsnit udgangspunkt i både de direkte og indirekte omkostninger ved ikke at behandle med Spinraza kontra omkostninger ved behandling.

Vigtigheden af at inkludere de direkte og indirekte omkostninger er, at ressourcerne allokeres effektivt ved en omfordeling i budgetteringen for de forskellige sundhedsområder. Mere præcist kan det være muligt, at omkostningerne, ved indførelse af Spinraza, substituerer de øvrige omkostninger, som der ellers vil være foruden behandlingen.

Udover omkostningerne ved behandling med Spinraza, er det også vigtigt at opgøre den sundhedsmæssige ændring, som patienterne oplever. Medicinrådet argumenterer for, at der er manglende evidens for effekten af præparatet, og derfor fokuseres der i projektet på patienternes livskvalitet med og uden behandling med Spinraza for at vise effekten af præparatet. Effekten måles som QALY-værdier beskrevet ud fra patienternes egne oplevelser, hvorfor der anerkendes at være en betydelig effekt af præparatet.

Videre i projektet bliver der forud for beskrivelsen af de øvrige omkostninger i afsnit 9, først redegjort for sygdommen SMA samt behandlinger i forbindelse med sygdommen. Efterfølgende gives der en beskrivelse af målemetoderne for sundhed, hvor QALY, COI og ICER indgår. I afsnit 6 præsenteres resultaterne af Biogens omkostningsanalyse samt Medicinrådets og Amgros' vurdering heraf. Dernæst begynder behandlingen af de indsamlede data. Ud fra den indsamlede data fra spørgeskemaundersøgelsen beregnes respondenternes sundhedstilstande samt de øvrige omkostninger ved SMA-diagnosen i afsnit 8 og 9. I det efterfølgende afsnit 10 beregnes omkostningseffektiviteten af Spinraza samt samfundsudgifterne, som sygdommen udgør. Til sidst vil resultaterne af analysen diskuteres i forhold til prioritering.

3 Metode

I dette afsnit redegøres der for, hvilke metodiske og teoretiske overvejelser der ligger til baggrund for udarbejdelsen af projektet og dermed besvarelsen af problemformuleringen. Der er forud for udarbejdelsen af projektet indsamlet data om SMA-patienter i Danmark for at kunne vurdere de sundhedsøkonomiske beslutninger, der ligger bag bestemmelsen for ikke at anvende Spinraza som standardbehandling mod SMA.

I projektet er der indhentet kvantitativ data gennem en survey-undersøgelse. Denne undersøgelse, som er målrettet personer med diagnosen SMA-type I, II og III, er udarbejdet i samarbejde med Muskelsvindfonden. Ved udarbejdelsen af spørgeskemaet var det vigtigt at finde ud af, hvad der præcist skulle undersøges for, at de rigtige spørgsmål blev stillet. Formålet med spørgeskemaundersøgelsen var at indsamle data, som forklarer noget, om de sundhedstilstande SMA-patienter befinder sig i samt undersøge baggrundsinforma-

tioner for populationen. Spørgsmålene i spørgeskemaundersøgelsen er derfor designet til at besvare problemstillingen, om Spinraza forbedrer SMA-patienters livskvalitet. Ved at udarbejde en survey-undersøgelse er sundhed forsøgt målt objektivt. Spørgeskemaet er tredimensionelt opbygget, således at der spørges ind til den økonomiske forandring samt den sociale ændring, diagnosen har medført, og den sundhedsmæssige tilstand. Den økonomiske forandring er med til at give et indblik i, hvilke omkostninger diagnosen har medført i husstanden.

Populationen består cirka af 210 SMA-patienter, hvoraf der blev foretaget en stikprøveundersøgelse ved hjælp af en medarbejder fra Muskelsvindfonden, der lagde spørgeskemaet ud på facebookgruppen ”Medicinsk behandling af SMA”. Facebookgruppen har 201 medlemmer, hvilket inkluderer patienter, pårørende, og andre med interesse for sygdommen. Modsat almindelige stikprøver, som kun foretages ud fra populationen, der ønskes undersøgt, blev denne stikprøve foretaget i et forum med andre individer end SMA-patienter. Stikprøven er ikke en almindelig stikprøve, eftersom respondenterne ikke er udvalgt specifikt til at forebygge skæv fordeling, men den er i stedet baseret på tilfældig udvælgelse.

I alt besvarede 21 respondenter spørgeskemaet, svarende til 10 procent af populationen. Det kan diskuteres, hvorvidt stikprøven er repræsentativt, men ud fra de indsamlede besvarelser var der en rimelig fordeling mellem SMA-typerne, alder, køn med mere, hvorfor respondenterne antages at være repræsentative.

Spørgeskemaet består af i alt 50 spørgsmål, som er målrettet til SMA-patienter over og under 18 år. Afhængig af dette er der reelt kun 30 spørgsmål i forhold til aldersgruppen, idet spørgsmålene er skrevet ud fra, om man er et individ med SMA-diagnose, eller om man er en pårørende, der hjælper med at udfylde spørgeskemaet. Derudover kan antallet af spørgsmål afhænge af svar på et tidligere spørgsmål, hvorfor antallet kan variere fra 26-30 spørgsmål. De fleste spørgsmål har flere svarmuligheder, mens der er få spørgsmål med fritekst. Dette skyldes, at der blev taget hensyn til respondenternes nedsatte funktionsevne og derfor deres mulighed for at gennemføre en spørgeskemaundersøgelse. Det fulde spørgeskema er vedlagt som bilag 1.

Efter besvarelserne er indsamlet og sorteret, behandles dataen kvantitativt. Respondenternes besvarelser anvendes i analyseafsnittet, hvor respondenternes sundhedstilstand måles ud fra de fem EQ-5D spørgsmål, som var inkluderet i spørgeskemaet. Derudover skulle respondenterne rangere deres sundhedstilstand på en skala fra 0 - 10 uden behandling og fra 0 - 10 med behandling for de respondenter, som modtager behandling med Spinraza.

Der var i analysen behov for uddybelse af sundhedstilstandene, hvorfor der efterfølgende blev taget kontakt til i alt ni respondenter, som havde givet tilsagn til yderligere kontakt. Ud af de ni var det muligt at få uddybet fem respondenteres sundhedstilstande, herunder tre voksne, et barn uden behandling og et barn med behandling med Spinraza.

De to fokuselementer i projektet er omkostninger (direkte og indirekte) samt livskva-

litet. Ved at spørge respondenterne om de hjælpemidler, støtteordninger og overførselsindkomster, de modtager, samt hvordan husstandens økonomiske situation har ændret sig, som følge af en SMA-diagnose, kan respondenternes omkostningerne i forbindelse med en SMA-diagnose beregnes. Ved at spørge ind til respondenternes sundhedstilstande og deres rangering af øvrige sundhedstilstande, kan livskvaliteten beregnes. De to elementer kan derefter benyttes til at besvare problemstillingen.

De beregningsmetoder, der er udvalgt til at besvare problemformuleringen, er CUA, COI og ICER. Teorien bag CUA vejleder til beregningen af sundhedstilstandene, hvor de opgøres som QALY-værdier. Disse QALY-værdier benyttes til at beregne forskellen i sundhedstilstande med og uden behandling, samt hvilke økonomiske konsekvenser der er ved disse forskelle, hvilket beregnes i ICER. Derudover beregnes der i COI den samfundsudgift, sygdommen udgør uden en behandling med Spinraza, hvilket kan bidrage til at anskue de indirekte omkostninger, en SMA-diagnose medfører. De direkte og indirekte omkostninger samt QALY beregnes først, da disse komponenter udgør de faktorer, der skal inkluderes i den videre analyse. Efterfølgende beregnes COI, som bidrager med en beregning af produktionstab, som en SMA-diagnose koster samfundet. Til sidst vil de beregnede omkostninger og QALY indgå i en ICER-analyse, hvor omkostningseffektiviteten af behandling med Spinraza udregnes.

Det indsamlede data forventes at kunne påvise, hvorvidt der er en kausal sammenhæng mellem behandlingen med Spinraza og respondenternes sundhedstilstande. Dog kan resultatet af ICER ikke vise, hvor høj betalingsvilligheden er for at opnå en bedre livskvalitet. Betalingsvilligheden hænger desuden sammen med prioritering, som begge senere vil diskuteres.

Resultaterne for omkostningerne og den opgjorte livskvalitet af ICER og COI sammenlignes med de resultater, Biogen har beregnet i den omkostningsanalyse, de indsendte til Medicinrådet tilbage i 2017, hvor de første gang forsøgte at få Spinraza godkendt som standardbehandling mod SMA. Derudover inddrages en publikation fra Det Ethiske Råd om etik og prioritering i sundhedsvæsenet, og hvorfor det er så svært. Yderligere indgår der en case fra Det Ethiske Råd, som beskriver prioritering i det danske sundhedsvæsen med fokus på SMA.

3.1 Afgrænsning

I projektet er det nødvendigt at foretage en evalueringsanalyse for at kunne beregne gevinsten/tabet ved at anvende Spinraza som standardbehandling mod SMA. Der er tre mulige evalueringsmetoder: CBA, CUA og CEA

Cost-benefit-analyse, CBA, anvendes til at vurdere den sundhedsmæssige gevinst i kroner og øre ved at sammenligne omkostninger og den forventede gevinst af behandlingen. Overstiger gevinsten omkostningerne, er behandlingen optimal. Cost-utility-analyse,

CUA, anvendes til at sammenligne livskvalitet for forskellige diagnoser ved at beregne nytten kontra omkostningerne ved et præparat. CUA anvender QALY som måleenhed for sundhedstilstande. Cost-effective-analyse, CEA, anvendes, ligesom ved CUA, til at beregne de sundhedsmæssige gevinster, der er ved en behandling. Selvom CEA og CUA er sammenlignelige på mange punkter, differentierer de sig på det punkt, der omhandler sundhedsmæssige enheder. CEA opgøres i forskellige enheder tilknyttet sundhedstilstanden, eksempelvis BMI ved overvægt, hvor CUA kun anvender QALY som enhed uanset sundhedstilstanden (Pedersen, 2017).

Da CBA beregner gevinsten i kroner og øre, og CEA beregner forskellige måleenheder tilknyttet specifikke sygdomme, fravælges disse metoder, eftersom det ønskes at måle gevinsten i kvalitetsjusteret leveår.

For at kunne opgøre CUA anvendes VAS-metoden til beregning af individets livskvalitet ved, at individet prioriterer en række sundhedstilstande fra 'meget godt' til 'meget dårligt'. Andre alternative metoder til at beregne livskvaliteten er Standard Gamble (SG), Time Trade Off (TTO) og Person Trade Off (PTO). SG er en lotterimetode, hvor individet gambler med en sikret sundhedstilstand mod enten en yderligere forværret sundhedstilstand eller en perfekt sundhedstilstand. Tidsmetoden, TTO, beskriver ved hvilken tid (antal år), individet er indifferent mellem to sundhedstilstande, en perfekt sundhedstilstand og en imperfekt sundhedstilstand. Det antages, at et individ er mere villig til at opgive mere tid for at forbedre livskvaliteten, jo ringere individets tilstand i forvejen er. PTO anvender derimod personer som målestok for at værdisætte sundhedstilstande. Dette gøres ved at kigge på, hvor mange personer der kan behandles for de forskellige tilgængelige behandlinger, eksempelvis kan kun én person behandles med det ene dyre præparat, mens tre personer kan behandles med et billigere præparat (Pedersen, 2017). Yderligere informationer omkring SG, TTO og PTO kan findes i bogen 'Sundhedsøkonomi' af Kjeld Møller Pedersen. Disse metoder er hyppigere anvendt af sundhedsøkonomer til værdisætning af sundhed, da de har et økonomisk grundlag. Dog er det projekts formål at opgøre sundhedstilstande og det økonomiske grundlag hver for sig, hvorfor VAS-metoden foretrækkes, og der afgrænses dermed fra de øvrige metoder.

4 Muskelsvind

Muskelsvind er en svær funktionsnedsættende sygdom. Muskelsvind omfatter neuromuskulære sygdomme, hvilket betegner sygdomme i nerveceller, nerver, overgangen mellem nerve og muskel eller i selve musklen (Muskelsvindfonden, 2020c). Muskelsvind er oftest en genetisk arvelig sygdom, hvor muskelkraften gradvist forsvinder, hvilket betyder, at musklerne atroferer, det vil sige, at de bliver tyndere. Afhængigt af diagnosen ses der tilfælde af forstørrede muskler, kaldet pseudohypertrofi, som er en falsk forstørrelse, idet muskelkraften stadig er svag (Muskelsvindfonden, 2020a).

Muskelsvindsygdomme diagnosticeres i forskellige aldre, afhængig af diagnosen, funk-

tionsevne og den motoriske udvikling. Diagnosticering af de forskellige symptomer kan for nogle muskelsvindpatienter være svær, eftersom graden af muskelsvaghed kan forekomme forskelligt for patienterne og optræde på forskellige tidpunkter i livet. Afhængigt af diagnosen og dertilhørende symptomer er levetiden varierende (Muskelsvindfonden, 2020a).

Sygdomsbetegnelsen inkluderer cirka 25 forskellige diagnoser med yderligere underdiagnoser, hvor Amyotrofisk lateral sklerose (ALS) og Spinal muskelatrofi (SMA) er de mest udbredte neuromuskulære diagnoser (Muskelsvindfonden, 2020a). Sygdomsudviklingen for ALS er hurtigt fremadskridende og kan påvirke patientens vejrtrækning, idet kroppens muskler gradvist lammes. Ved ALS påvirkes hverken hørelse, syn eller følesans. SMA er en diagnose, der grupperes i tre typer, afhængig af alderen for symptomernes fremkomst og graden af udviklingen i sygdommen. Ved SMA-type I viser symptomerne sig i alderen 0-6 måneder, mens symptomerne ved SMA-type II viser sig i alderen 6-12 måneder, og for SMA-type III viser symptomerne sig fra 18 måneder og op til voksenalderen (Muskelsvindfonden, 2020c). SMA-type I kendetegnes ved nedsat muskelkraft, hvorfor barnet også kan opleve vejrtrækningsproblemer. I Danmark består gruppen af SMA-type I af cirka 10 patienter, og årligt diagnosticeres der cirka 1-2 nye tilfælde (RCFM, 2018a). SMA-type II kendetegnes ved en funktionsnedsættelse hovedsageligt i benene, hvorfor barnet har behov for en kørestol. Desuden er der også nedsat funktion i barnets skuldre, mens arme og hænder er mindre påvirket ved SMA-type II. Der diagnosticeres årligt cirka 2 nye tilfælde af SMA-type II, og gruppen består af i alt cirka 100 patienter (RCFM, 2018b). Ved SMA-type III er funktionsnedsættelsen primært størst i hofter, skuldre og krop, hvor den gradvist bliver værre i albuer og knæ. Som for SMA-type I og SMA-type II er benene hovedsageligt svagere end armene (Muskelsvindfonden, 2020c). Jo tidligere symptomerne viser sig, jo værre vil funktionsnedsættelsen være, hvorfor SMA-type III er den mildeste type af SMA-diagnosen. Der er cirka 100 SMA-type III patienter i Danmark, hvor der sker 1-2 nye tilfælde årligt (RCFM, 2018c).

Yderligere informationer om de øvrige diagnosegrupper kan findes på Muskelsvindfondens hjemmeside.

Diagnosen muskelsvind stilles på baggrund af en række undersøgelser såsom undersøgelse af muskel og led, motoriske færdigheder, blodprøver, elektromyografi (EMG), muskelbiopsi og scanninger. Ved undersøgelse af den enkelte patients muskel og led undersøges musklernes svaghed, idet muskelsvinddiagnosen stort set er kendetegnet ved svage muskler i hoften samt skuldrene. Musklerne kan desuden også være meget tynde ved sygdomme i rygmargens nerveceller. Derudover ses der ved muskelsvind en svaghed i leddene, hvorfor ledfunktionen også undersøges. Svaghed i muskler og led kan bremse den motoriske udvikling, således en funktionsnedsættelse opstår (Muskelsvindfonden, 2020a).

Udover de fysiske undersøgelser kan muskelsvind blandt andet bekræftes af blodprøver, hvori det undersøges, om muskelenzymet Creatinkinase (CK) overstiger den normale grænseværdi på 200 U/l. Denne CK-værdi kan være forhøjet til mange tusinde U/l ved en

muskelsvinddiagnose. EMG er en af de mere sjældne undersøgelser, idet undersøgelsen er ubehagelig, eftersom den foretages ved anvendelse af tynde nåle, som stikkes direkte ind i musklerne. Formålet med denne undersøgelse er at måle den elektriske aktivitet i musklerne, som kan følges på en skærm. En lignende metode kan anvendes til at måle nerveledningshastigheden. En yderligere undersøgelse kan bestå af en muskelbiopsi, som kan anvendes til at diagnosticere de mere sjældne sygdomme (Muskelsvindfonden, 2020a).

En tidlig diagnosticering kan være essentiel i forhold til forebyggelse af muskelsvind, hvorfor indførelse af screening af spædbørn kan være et vigtigt værktøj (Mahoney, A., 2019). Denne screening er indført i lande som Belgien, Bulgarien, Spanien, dele af Italien og USA, hvor det har medført positive resultater. Et studie fra USA har påvist, at screening af spædbørn årligt reducerer brugen af respirator for mellem 16-100 børn med SMA-type I (HRSA, 2018). Studiet viser desuden, at der hvert år konstateres 364 spædbørn med diagnosen SMA-type I, og at der årligt sker en reduktion af mellem 14-68 dødstilfælde (HRSA, 2018). En sådan screening for SMA er endnu ikke indført i Danmark.

4.1 Behandling af SMA

Omfanget af sygdomsgruppen SMA er relativ mindre, hvorfor behandlingsmulighederne er begrænset. I EU er Spinraza den eneste tilgængelige, hvorfor det også er den mest anvendte behandling mod SMA. Dog findes der yderligere to præparater til behandling af SMA: Zolgensma og Risdiplam. Zolgensma blev i maj 2020 godkendt i EMA, mens Risdiplam forventes at blive godkendt i EMA i 2021 (European Medicine Agency, 2020)(Muskelsvindfonden, 2020b). Behandlingerne suppleres desuden med rehabilitering, således patienterne opnår de nødvendige værktøjer til selvstændighed.

4.1.1 Spinraza

Spinraza, som er udviklet af medicinalvirksomheden Biogen, er den eneste mulige behandling for SMA-patienter i Danmark. Raske mennesker bærer både generne SMN1 og SMN2, der medvirker til dannelsen af Survival Motor Neuron (SMN) proteinet, som styrer muskelbevægelserne. SMA-patienter mangler genet SMN1, hvorfor produktionen af SMN-proteinet er kort, og dermed giver en nedsat funktionsevne. Behandlingen med Spinraza forlænger proteinet, som SMN2 producerer, således muskelfunktionen forbedres ved reduktion af symptomer (European Medicines Agency, 2018).

Medicinalvirksomheden Biogen angiver merværdien for Spinraza til at være klinisk vigtig for SMA-type II og III, mens det for SMA-type I har stor klinisk merværdi. Medicinrådet mangler evidens på effekten af Spinraza for SMA-type II og III, hvorfor den kliniske merværdi for disse angives til at være lille og ikke-dokumenterbar. Amgros har udført en sundhedsøkonomisk analyse af Spinraza, hvilket har medvirket til Medicinrådets beslutning om kun at tilbyde behandlingen til SMA-patienter i aldersgruppen 0-6 år. Norge og Sverige tilbyder derimod behandlingen op til 18-årsalderen, mens det i andre lande såsom Finland, Japan, Luxemborg, Tyrkiet, Tyskland, USA og Østrig er en standardbehand-

ling for SMA-patienter (Medicinrådet, 2017). Prisen for det første år ved behandling med Spinraza er 3.720.000 kroner, mens det koster 1.860.000 kroner de efterfølgende år (Medicinrådet, 2017). Dette inkluderer seks doser det første år og tre doser de efterfølgende år, som sprøjtes direkte ind i rygsøjlen (Torpegaard, H., 2019).

4.1.2 Zolgensma

Ydermere findes den permanente genterapeutiske behandling Zolgensma, hvor SMN1-genet erstattes med et fungerende gen, således sygdomsudviklingen bremses. For at opnå den optimale effekt af behandlingen er det betinget, at anvendelsen finder sted før symptomerne på SMA fremtræder, hvilket betyder, at behandlingen primært gives til spædbørn. Et vigtigt værktøj i denne proces er screening af nyfødte for SMA, da sygdommen ikke mistænkes før symptomerne fremtræder, hvilket kan være for sent i forhold til at modtage Zolgensma. Behandlingen er, ud fra opfyldelsen af de rette kriterier, succesfuldt i 95 procent af tilfældene, eftersom 5 procent vil danne antistoffer, og de er derfor ikke egnet til behandlingen. Zolgensma er godkendt til brug ved Food and Drug Administration (FDA) i USA samt ved French Muscular Dystrophy Association (AFM) i Frankrig. European Medicines Agency (EMA) har siden juni 2019 haft præparatet under behandling, som i maj 2020 blev godkendt som en mulig behandling af SMA i EU, og af denne grund kan Zolgensma muligvis behandles i Medicinrådet i juni 2020 som en mulig standardbehandling mod SMA (e-mail, 20. maj, 2020 (se bilag 2)). Prisen på denne behandling ligger på 2,125 millioner dollars svarende til 14,2 millioner danske kroner. Det er derfor det hidtil dyreste lægemiddel, der er på markedet (Torpegaard, H., 2019).

4.1.3 Risdiplam

Risdiplam er et nyt præparat for alle tre SMA-grupper, der afventer tilladelse til markedsføring, hvorfor det endnu ikke er tilgængeligt i Danmark. I modsætning til Spinraza og Zolgensma indtages lægemidlet oralt. Risdiplam producerer fuld længde SMN-proteiner for SMN2-genet, hvilket forstærker musklerne. Siden 2016 er præparatet blevet testet på forskellige aldersgrupper, og det har løbende vist positive resultater (SMA News Today, 2020). Præparatet er under behandling ved FDA og forventes afsluttet den omkring den 24. august 2020. Ved godkendelse forventes Risdiplam at markedsføres som Evrysdi (SMA News Today, 2020). Der forventes desuden en ansøgning om markedsføringstilladelse til EMA-rådet i midten af 2020, hvor det forventes afsluttet i 2021 (Muskelsvindfonden, 2020b). Det er først muligt at indsende en ansøgning til Medicinrådet efter en afslutning i EMA-rådet i 2021, hvorfor der er lang udsigt til behandling med Risdiplam i Danmark.

4.1.4 Rehabilitering

Udover de medicinske behandlinger er der supplerende fysiologiske behandlinger. I RehabiliteringsCenter for Muskelsvind (RCFM) tilbydes der ledet aktiv træning, herunder fysioterapi og ergoterapi, hvor målrettet træningsprogrammer udarbejdes ud fra den en-

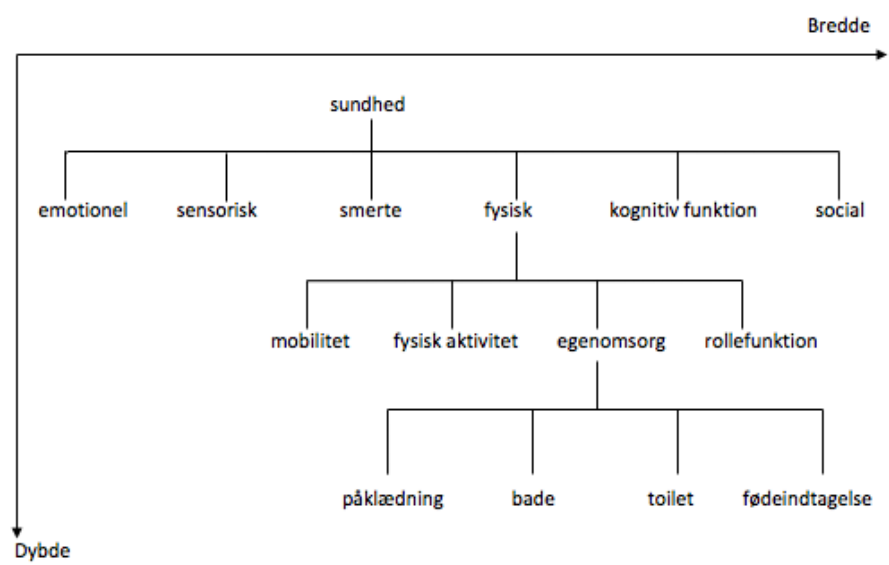
kelte patients behov (RCFM, 2019). Udover disse træningsprogrammer, som tilbyder selvhjælpende værktøjer, tilbydes der yderligere forebyggende træning mod videreudviklende komplikationer af sygdommen som rygsækvhed og respiratoriske problemer. I RCFM tilbydes der ikke kun rehabilitering af muskelsvindpatienter, men også pårørende til patienterne med muskelsvinddiagnosen får tilbudt rådgivning, oplysning og undervisning (RCFM, 2019).

5 Beregning af sundhed

5.1 Quality Adjusted Life Years (QALY)

Et af de mest omtalte begreber i sundhedsøkonomi er QALY, som er en forkortelse for kvalitetsjusterede leveår. Kvalitetsjusterede leveår opgøres ud fra ændring i det enkelte individs tilstand, hvorfor en definition af sundhed er vigtig, dog er en konkret definition af denne mindre sandsynlig (Pedersen, 2017). World Health Organization (WHO) definerer sundhed som *"A state of complete physical, mental and social well-being and not merely the absence of disease or infirmity"* (WHO, 2011). På trods af uenigheder om denne definition, er den udbredt blandt forskere inden for sundhedssektoren i forhold til måling og værdisætning af sundhed. WHO's definition på sundhed stiller krav til individets overordnede sundhedstilstand og ikke kun til individets fysiske velvære, som samfundet ofte har en tendens til at vurdere ud fra. Det enkelte individs egen opfattelse af sundhed er varierende, idet det afhænger af livskvaliteten, og den overordnede opfattelse er derfor blot et givet estimat. Forskel i livskvaliteten er betinget af den enkeltes værdier og erfaringer med sit helbred. En person, som har været syg hele sit liv, har muligvis en anden præferenceskala end en person, der har været rask hele sit liv, men som pludselig oplever sygdom. På trods af samme sygdomsdiagnose er livskvaliteten ikke altid sammenlignelig, hvilket blandt andet kan skyldes sygdommens forløb, individets smertetærskel, og hvor fremskreden sygdommen er, og så videre. Sundhed er derfor individuelt og varierende, men afspejler sig som kvalitet i hverdagen. Nedenstående figur 1 illustrerer sundhed og herunder livskvalitet.

Figur 1: Sundhed



Kilde: "Sundhedsøkonomi" af Kjeld Møller Pedersen (Pedersen, 2017, s. 153)

I ovenstående figur fremgår det, hvorledes sundhed påvirkes af gængse faktorer såsom smerter, kognitiv samt fysisk funktion mv. Den fysiske funktion afhænger ligeledes af en række faktorer som fysisk aktivitet og egenomsorg, som indebærer påklædning, badning, toiletbesøg og fødeindtagelse. Ud fra figuren kan det ses, at sundhed indeholder almindelige ubevidste funktioner i hverdagen, som definerer livskvaliteten.

QALY anvendes ofte i omkostnings- og nytteanalyser, som foretages i forbindelse med beslutningstagning for indførelse af nye behandlinger. Ovenstående beskriver QALY i den praktiske forståelse, hvor der nu beskrives det teoretiske grundlag for opfattelsen og målbarheden af QALY. Kjeld Møller Pedersen beskriver teorien om QALY ud fra to dimensioner, som er vigtige for en konkret anvendelse af QALY: sammenhængen mellem sundhed og velfærdsøkonomi samt sammenhængen mellem sundhed og et nytteteoretisk grundlag (Pedersen, 2017). Ved den første dimension, velfærdsøkonomi, er en velfærdsforbedring en vigtig betingelse for opfyldelsen af begrebet, da en generel velfærdforbedring ikke nødvendigvis er Pareto-optimal, hvorfor nogle individers velfærd forringes ved forbedringen af andre individers velfærd. Eftersom Pareto-kriteriet ikke kan opfyldes, anvendes Kaldor-Hicks hypotetiske kompensationskriterium, som beskriver, hvordan en velfærdsforbedring kan fremkomme ved, at velfærdsvinderne kompenserer taberne, således der samlet set er en nettogevinst. I praksis er betalingsvilje og -evne afgørende for velfærdsøkonomiske tiltag, hvilket ikke er i overensstemmelse med den oprindelige teori bag QALY, hvor de økonomiske aspekter ikke er af afgørende betydning. Desuden er teorien bag QALY tiltænkt sundhedsvæsener, hvor ligevægten på markedet ikke er selvjusterende, hvorfor markedsmekanismen er sat delvis ud af kraft (Pedersen, 2017).

Den simple nytteteoretiske fortolkning af QALY tager afsæt i den oprindelige teori, hvor de økonomiske aspekter ikke indgår. Denne fortolkning kan udtrykkes således:

$$QALY = H \cdot Y \quad (1)$$

Ovenstående ligning viser, at QALY afhænger af faktorerne H og Y, hvor H angiver den relative præferencevægt mellem 0 og 1, der er knyttet til en konkret sundhedstilstand, mens Y er antal år i denne sundhedstilstand (Pedersen, 2017). Ligning 1 opfyldes på baggrund af tre forudsætninger. Den første forudsætning, nytte-uafhængighed, er, når et individ er indifferent mellem to scenarier af leveår. Et eksempel på dette er, hvis individet er indifferent mellem valget af at leve to år mere eller af en 50/50 chance for at leve mellem et og fire år med en højere sundhedstilstand. Den næste forudsætning omhandler et konstant proportionalt ombytningsforhold mellem H og Y, hvilket betyder, at individets villighed til at opgive en andel af sin restlevetid for at opnå en bedre sundhedstilstand, skal kunne overføres til enhver anden sundhedstilstand samt restlevetid. Den tredje og sidste forudsætning er risiko-neutralitet over leveår. Individet kan vælge mellem med sikkerhed at leve y antal år eller ved lotteri at risikere en procentandel af individets restlevetid mod en mulig gevinst i form af flere leveår. Dette trade-off kaldes konstant proportional risiko-holdning. Med disse tre forudsætninger kan ligning 1 omskrives til:

$$U(y, q) = y \cdot H(q) \quad (2)$$

Ligning 2 viser, at QALY udtrykker nytten, U, ved behandling, som betinges af sundhedstilstanden, q, vægten af sundhedstilstanden, H, og antal år, y.

Udfaldet af de tre forudsætninger betyder, at nytten har samme værdi uanset alder. Dette kan dog ikke understøttes empirisk, selvom det ikke er urealistisk.

5.2 Måling af sundhed

QALY anvendes som måleenhed i cost-utility-analysis (CUA), hvor optimering af de sundhedsmæssige effekter inden for det givet sundhedsbudget er formålet. For opgørelse af QALY anvendes metoden Visual Analog Scale (VAS) til udregningen af individets livskvalitet. Individet skal på en skala vurdere sin egen sundhedstilstand, som efterfølgende skal indgå i QALY.

Omkostningsnytteanalysen ser bort fra den økonomiske faktor, som er forbundet med den sundhedsmæssige gevinst, hvorfor CUA ikke angiver budgettets størrelse.

Det teoretiske grundlag for analysemetoderne er væsentlig for forståelsen og udførelsen af disse analyser. I dette afsnit vil de teoretiske grundlag bag CUA og cost-of-illness-analyse (COI) beskrives. COI benyttes til at fastslå den samfundsøkonomiske byrde udgift, som forskellige sygdomme medfører, i dette projekt diagnosen SMA. Den inkrementelle omkostningseffektbrøk (ICER) anvendes som et værktøj under CUA, der angiver beslutningskriteriet for valg af det bedste alternativ i forhold til den givne diagnose.

5.2.1 Cost-utility-analyse, CUA

QALY blev første gang beskrevet i 1968, som et forsøg på at sammenligne livskvaliteten ved to forskellige behandlinger ved nyresvigt. Den ene behandling var dialyse, hvor den anden behandling var nyretransplantation (Poetz, A. og Hoch, J. S., 2006). Gennem 1970’erne blev QALY et mere anvendt udtryk i litteratur, hvor specielt George Torrance fra McMaster University benyttede QALY som en økonomisk evaluering. I 1981 blev QALY første gang nævnt som en omkostningsnytteanalyse (CUA). QALY åbnede op for muligheden for at sammenligne behandlingsalternativer, hvor forskellige omstændigheder såsom restlevetid, livskvalitet med mere gør sig gældende. Den økonomiske evaluering muliggjorde desuden også sammenligneligheden af omkostninger per QALY.

For opgørelse af QALY kan metoden VAS, også kaldt linealmetoden, anvendes. Denne metode værdisætter sundhed ved hjælp af en skala, som måler differencen mellem de forskellige sundhedstilstande ved hjælp af intervalegenskaber. Først måles sundhedstilstande gennem spørgeskemaer, som angiver forskellige dimensioner af sundhed, og dernæst værdisættes sundhedstilstandene ved brug af VAS-metoden. Nedenstående tabel 1 viser, hvorledes sundhedstilstande kan måles ud fra to dimensioner af sundhed (Pedersen, 2017).

Tabel 1: Måling af sundhedstilstande

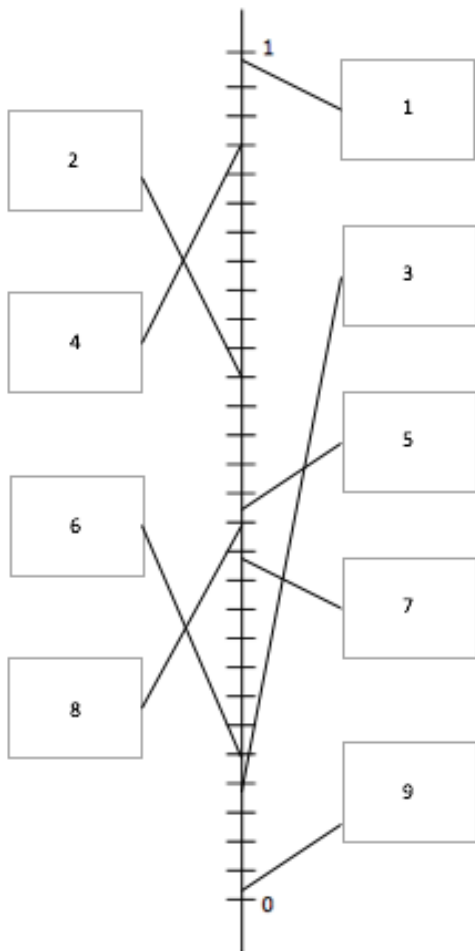
Mobilitet	1. 'Jeg har ingen problemer med at gå omkring'	2. 'Jeg har nogle problemer med at gå omkring'	3. 'Jeg er bundet til sengen'
Smerter			
1. 'Jeg har ingen smerter eller ubehag'	1	2	3
2. 'Jeg har moderate smerter eller ubehag'	4	5	6
3. 'Jeg har ekstreme smerter eller ubehag'	7	8	9

Kilde: "Sundhedsøkonomi" af Kjeld Møller Pedersen (Pedersen, 2017, s. 158)

De to sundhedsdimensioner i tabel 1 illustrerer to spørgsmål vedrørende individets sundhedstilstand. Dimensionerne kan være bevægelighed, fysiske smerter, psykiske lidelser med mere. Dimensionerne i tabel 1 er smerter og mobilitet. De to dimensioner har hver tre svarmuligheder, som opgøres i point, herunder 1, 2 og 3 point. Pointene angiver sværhedsgraden af den sundhedstilstand, som dimensionen henvender sig til: 1 point er det bedste, og 3 point er det dårligste. Som det kan ses på ovenstående figur, giver de to dimensioner ni forskellige sundhedstilstande, hvor 1 angiver den bedste tilstand, mens 9 angiver den dårligste.

Målingen af sundhedstilstandene muliggør nu værdisætning af disse ved hjælp af VAS-metoden. Først skal svarpersonerne sortere de ni sundhedstilstande efter den mest foretrukne rækkefølge. Dernæst skal der angives i, hvor høj grad den ene sundhedstilstand er bedre eller dårligere end de øvrige sundhedstilstande (Pedersen, 2017). Derfor vil den bedste sundhedstilstand kunne placeres forskelligt på linealen, som er illustreret i figur 2.

Figur 2: Linealmetoden



Kilde: "Sundhedsøkonomi" af Kjeld Møller Pedersen (Pedersen, 2017, s. 159)

Som det fremgår af ovenstående er 1 på linealen den bedste sundhedstilstand, mens 0 er den dårligste. Kasserne angiver de forskellige sundhedstilstande, som blev opgivet i tabel 1. Tilknytningen af kasserne til linealen afhænger af det enkelte individs foretrukne rækkefølge af sundhedstilstande. Individet kan være indifferent imellem to tilstande, eksempelvis sundhedstilstand 8 og 6. Individet kan også have en stærk præference for den ene tilstand fremfor den anden, således at individet kan ønske at være bundet til sengen og have moderate smerter eller ubehag fremfor at have nogle problemer med at gå og have ekstreme smerter eller ubehag.

Linealen illustrerer præferencevægtene for de forskellige sundhedstilstande, der kan anvendes til at se effekten af en ændret behandling. Ændringen i individets sundhedstilstand ved ny behandling angiver en ny QALY-vægt, som er differencen mellem den gamle og den nye præferencevægt. Ved at benytte linealmetoden måles sundhedstilstanden, og ud fra det kan QALY beregnes. For at finde den mest omkostningseffektive behandling benyttes den inkrementelle omkostningseffektbrøk, hvor QALY er en afgørende faktor (Pedersen,

2017).

5.2.2 Den inkrementelle omkostningseffektbrøk, ICER

I ICER beregnes forskellen mellem omkostningerne og QALY'erne af to behandlinger. Differencen mellem to behandlinger, i forhold til individets diagnose, kan angive den mest omkostningseffektive behandling, som giver mest mulig sundhed per krone. Ligning 3 viser beregningen af ændringen i omkostningerne per QALY ved ny behandling (Pedersen, 2017).

$$ICER = \frac{Omkostninger_1}{QALY_1} - \frac{Omkostninger_2}{QALY_2} = \frac{\Delta Omkostninger}{\Delta QALY} \quad (3)$$

Eftersom standardbehandlingen er sat som baseline, vil ændringerne i omkostninger per QALY afhænge af den nye behandling. Hvis ICER er positiv, er omkostningerne per QALY større for den nye behandling, end den er for standardbehandlingen. En negativ ICER betyder derimod lavere omkostninger per QALY for den nye behandling end for standardbehandlingen, hvorfor omkostningseffektiviteten er størst ved den nye behandling.

Omkostninger er et vidt begreb, hvorfor det skal specificeres med henblik på den økonomiske opgørelse som udføres. Der kan både inkluderes direkte og indirekte omkostninger i økonomiske evalueringer. Resultatet af ICER kan blive mindre ved inkludering af både direkte og indirekte omkostninger i forhold til kun at inkludere de direkte omkostninger.

5.2.3 Cost-of-illness-analyse, COI

CUA benyttes til at beregne omkostningseffektiviteten, der er forbundet ved en udskiftning af den givne behandling, hvor COI benyttes til at beregne det samlede omfang af omkostninger forbundet med individets sygdom. COI tager derfor ikke hensyn til individets forbedring eller forværring, men kigger udelukkende på den økonomiske samfundsbelastning, som sygdommen medfører. Omkostninger består af både direkte og indirekte omkostninger, hvilket syner af større omkostninger end ved andre beregninger, hvor kun direkte omkostninger indgår. De større omkostninger betyder ikke, at omkostningerne er steget, men at de indirekte omkostninger endelig tages højde for i analysen. De indirekte omkostninger har derfor altid været der, men har ikke altid været medregnet i de forskellige analyser på trods af, at det giver et mere retvisende billede (Pedersen, 2017).

Analyserne for direkte og indirekte omkostninger tager udgangspunkt i humankapitalteorien, hvor individet anses som fysisk kapital. I dette tilfælde vil et individ kunne sammenlignes med en maskine, hvor de direkte og indirekte omkostninger er vedligeholdelsesomkostninger og produktionstab ved nedbrud. Individets vedligeholdelsesomkostninger kan eksempelvis være hospitalsbehandling, mens produktionstab ved nedbrud kan være sygefravær eller udtrædelse fra arbejdsmarkedet (Pedersen, 2017).

Der er tre beregningsmetoder for COI: incidensmetoden, prævalensmetoden og friktionsmetoden. Incidensmetoden beregner omkostningerne ved sygdommen ved at sammenligne

omkostningerne ved den valgte sygdomsgruppe med en kontrolgruppe uden sygdommen. Prævalensmetoden opgør de indirekte omkostninger indtil pensionsalderen. Ved fratrædelse på arbejdsmarkedet før tid vil de tabte arbejdsår opgøres som summen af de diskonterede årlige lønindtægter fra opgørelsesåret og indtil pensionsalderen. Ved beregning af de indirekte omkostninger er det vigtigt at opgøre for, hvilket område beregningen skal foretages for ikke at lave dobbeltberegning. Man kan enten fokusere på kasseøkonomi, hvor offentlige udgifter indgår, eller fokusere på samfundsøkonomi, hvor den alternative indtjening på arbejdsmarkedet indgår. Den samfundsøkonomiske beregning er den mest korrekte, idet den mere retvisende angiver værdien af den tabte produktion, som individet kunne have bidraget med foruden sygdommen. Der argumenteres imod brugen af kasseøkonomi, fordi omkostningerne for det offentlige blot angiver en omfordeling af pengene mellem syge og raske. Den sidste metode, friktionsmetoden, beregner kun indirekte omkostninger for det tidsrum, hvor individet forlod arbejdspladsen, til en ny medarbejder tiltrådte.

6 Beslutningsgrundlaget for anvendelse af Spinraza

Medicinrådet, som blev etableret den 1. januar 2017 af Danske Regioner, udarbejder anbefalinger af, hvilke nye præparater der skal godkendes som standardbehandling på de danske sygehuse. Disse anbefalinger er baseret på vurderingen mellem den kliniske værdi og omkostningerne, som er forbundet med præparatet (Medicinrådet, 2020c). Dette gøres ved hjælp af en udarbejdet model, som inkluderer seks forskellige kategorier:

Kategori 1: Stor merværdi sammenlignet med standardbehandling/ andre behandlinger,
Kategori 2: Vigtig merværdi sammenlignet med standardbehandling/ andre behandlinger,
Kategori 3: Lille merværdi sammenlignet med standardbehandling/ andre behandlinger,
Kategori 4: Ingen merværdi sammenlignet med standardbehandling/ andre behandlinger,
Kategori 5: Negativ merværdi sammenlignet med standardbehandling/ andre behandlinger, Kategori 6: Ikke-dokumenterbar merværdi sammenlignet med standardbehandling/ andre behandlinger (Andersen, T. og Vilhelmsen A., 2016).

Medicinrådet har placeret Spinraza i kategori 2, vigtig merværdi, for præsymptomatiske børn og patienter med SMA-type I. SMA-type II er placeret i kategori 3, lille merværdi, og SMA-type III er placeret i kategori 6, ikke-dokumenterbar værdi (Medicinrådet, 2017). Disse kategoriseringer har medført en aldersbegrænsning på behandling med Spinraza, mens andre lande har vurderet effekten anderledes, og de har derfor ikke samme begrænsning. I Tyskland samt flere andre europæiske lande er der fuld adgang til Spinraza som behandling mod SMA. Der er dog begrænset adgang til præparatet i de øvrige skandinaviske lande, hvor begrænsningen er på 18 år i Norge og Sverige (Sundhedspolitisk Tidsskrift, 2019d).

I dette afsnit vil der kigges nærmere på beslutningsgrundlaget for anvendelse af Spinraza i begrænset omfang. Det, der ligger til grund for Medicinrådets beslutning, er Biogens omkostningsanalyse og Amgros' vurdering heraf.

Medicinrådet har, ved behandlingen af ansøgningen om Spinraza som standardbehandling, forespurgt Amgros om en økonomisk vurdering af præparatet. Biogens analyse viser de gennemsnitlige meromkostninger per SMA-patient samt budgetkonsekvenserne for regionerne ved anvendelse af Spinraza som standardbehandling (Medicinrådet, 2017). Amgros vurderer resultaterne ud fra, hvilke omkostninger der er inkluderet, og om der er taget de rette forbehold i forhold til beregningen af omkostningerne. Resultaterne af denne økonomiske analyse præsenteres ud fra den oprindelige analyse fra 2017.

I analysen opgøres omkostninger ved præparatet Spinraza som standardbehandling ved at sammenligne Best Supportive Care (BSC) med Spinraza + BSC. Behandlingen BSC er den bedst mulige behandling uden en faktisk kur mod sygdommen, hvor komplikationer reduceres og forebygges (Medicinrådet, 2017). BSC-behandling for SMA-patienter kan eksempelvis være operation mod skoliose, som er et kendt symptom af SMA, smertestillende behandling, hjælpemidler og medicin til bronkodilaterende symptomer med mere. Omkostninger per dose med Spinraza er 620.000 kroner, hvoraf patienten vil modtage seks doser det første år og derefter cirka tre doser om året. I det første år vil omkostningerne til Spinraza derfor udgøre 3.720.000 kroner for behandling per SMA-patient, og derefter vil omkostningerne være 1.860.000 kroner per år.

Behandlingsrelaterede omkostninger ved BSC inkluderer bronkodilaterende lægemidler, som både er til inhalation og systemisk behandling. I forbindelse med behandling med Spinraza er der opgjort administrationsomkostninger til 4.941 kroner, som dækker over ambulant besøg, yderligere gebyr for neurologi og lumbalpunktur. Disse administrationsomkostninger er beregnet på baggrund af DAGS-takster fra Sundhedsdatastyrelsen i 2017 (Medicinrådet, 2017). Yderligere indeholder Biogens analyse nogle alternative omkostninger såsom transportomkostninger, som er angivet til at være 831 kroner (Medicinrådet, 2017). Udover de behandlingsrelaterede omkostninger består BSC yderligere af hospitalsomkostninger og øvrige omkostninger, som er forskellige afhængigt af SMA-diagnosen. I den nedenstående tabel 2 illustreres de gennemsnitlige omkostninger ved anvendelse af Spinraza og BSC indenfor en 24 måneders periode på tværs af diagnosetyperne. Se bilag 3 for beregninger.

Tabel 2: Gennemsnitlige omkostninger ved anvendelse af præparatet Spinraza for SMA-type I, II og III

I DKKR	Spinraza	BSC	Øgning/reducering
Lægemiddelomkostninger	6.095.314,50	515.314,50	5.580.000
Behandlingsrelaterede omkostninger	51.947	0	51.947
Hospitalsomkostninger	324.031	324.031	0
Øvrige omkostninger	4.468.419	4.468.419	0
Omkostninger, total per patient	10.939.711,50	5.307.764,50	5.631.947

Kilde: Udarbejdet ud fra tabel 9 og 10 i ”Baggrund for Medicinrådets anbefaling vedrørende nusinersen til patienter med 5q spinal muskelatrofi” (Medicinrådet, 2018)

Tabellen viser de gennemsnitlige behandlingsrelaterede omkostninger for patienter med SMA-type I, II og III. I de oprindelige tabeller fra Amgros’ rapport er de inddelt i to grupper, nemlig en gruppe af patienter med SMA-type I og en alternativ gruppe af patienter med SMA-type II og III. Som det fremgår af tabel 2, er lægemiddelomkostningerne den højeste omkostning, hvor de behandlingsrelaterede omkostninger udgør de laveste omkostninger. For den næsthøjeste omkostning, øvrige omkostninger, udgøres over halvdelen af omkostningerne af patienter med SMA-type I (Amgros, 2017). Det samme gælder for hospitalsomkostningerne, hvor patienter med SMA-type I redegør for 80 procent af omkostningerne. Lægemiddelomkostninger udgøres kun af patienter med SMA-type II og III for behandling med BSC. Disse omkostninger er de eneste, hvor patienter med SMA-type I ikke har de højeste omkostninger, eller hvor de har lige store omkostninger som for type II og III (Amgros, 2017). De totale omkostninger per patient for behandling med Spinraza opgøres næsten ligeligt mellem patienter med SMA-type I og med SMA-type II og III, hvor der for de totale omkostninger per patient for behandling med BSC er en fordeling på 70/30 til patienter med SMA-type I (Amgros, 2017). Den endelige konklusion for omkostninger per patient er, at de overordnet er meget højere for patienter med SMA-type I, end de er for patienter med type II og III.

Efterfølgende er der udarbejdet en følsomhedsanalyse af behandling med Spinraza til de tre forskellige diagnosegrupper. Følsomhedsanalysen beregner, hvorvidt der er forskelle i behandlingen med Spinraza + BSC og BSC, hvilket Biogen fra start har antaget, at der ikke er. Forskellen mellem de to behandlingsforløb er vurderet til at være usikker, eftersom det er vurderet, at der for SMA-type I og II sker en hindring af udviklingen af sygdommen med præparatet Spinraza (Medicinrådet, 2017). Medicinrådet vurderer, at Spinraza reducerer dødeligheden for SMA-type I, hvor patienterne forventes at leve i hele undersøgelsesperioden, hvilket ikke nødvendigvis er tilfældet med kun BSC (Medicinrådet, 2017).

Til sidst har Biogen udarbejdet en budgetkonsekvens-analyse over fem år, som er udarbejdet ud fra to scenarier: 1) Spinraza anbefales som standardbehandling for SMA-patienter og 2) Spinraza anbefales ikke som standardbehandling. Forskellen mellem de to analyser udgør budgetkonsekvenserne. I det første år vil budgetkonsekvenserne udgøre 56.548.151 kroner for hele SMA-diagnosegruppen, og for det femte år vil budgetkonsekvenserne udgøre 245.667.014 kroner, hvor budgetkonsekvenser er størst for SMA-type III og mindst for SMA-type I (Medicinrådet, 2017).

Meromkostningerne ved Spinraza er høje sammenlignet med BSC for de tre forskellige diagnosegrupper. Disse omkostninger udgøres primært af lægemiddelomkostningerne, men er også påvirket af administrationsomkostninger og de øvrige omkostninger. Eftersom Medicinrådet vurderer en reduceret dødelighed for patienter med SMA-type I, vil meromkostningerne stige i takt med, at flere SMA-patienter lever i længere tid (Medicinrådet, 2017). Amgros argumenterer, at der ikke er taget højde for, at visse meromkostninger eventuelt vil reduceres ved anvendelse af Spinraza, idet at der fra starten af analysen er antaget, at BSC-omkostningerne ikke ændres ved anvendelse af præparatet (Medicinrådet, 2017). Meromkostningerne kan blandt andet bestå af motoriske hjælpemidler og ventilationsbehov.

På baggrund af Amgros' økonomiske vurdering, vurderede Medicinrådet, at Spinraza ikke skal anbefales som standardbehandling grundet den urimelige høje pris. Den kan dog anvendes i særlige tilfælde for patienter med SMA-type I under bestemte kriterier. I 2018 tog Medicinrådet igen Spinraza op til overvejelse som standardbehandling mod SMA, hvilket igen blev afvist på grund af den høje pris til trods for en prisreduktion. Dog blev kriterierne for at modtage Spinraza udvidet, således at patienter med SMA-type II også kan modtage behandlingen i særlige tilfælde (Medicinrådet, 2018).

6.1 Medicinrådets metodevejledning

Medicinrådet har udarbejdet en udførlig metodevejledning for ansøgerne, der består af en række kriterier for, hvordan en omkostningsanalyse af et lægemiddel skal udføres. Metodevejledningen er udarbejdet med det formål at tydeliggøre de væsentligste resultater, der danner grundlag for vurderingen, samt at muliggøre en sammenlignelighed mellem de forskellige lægemidlers vurderinger (Medicinrådet, 2020b). Kravene for analysen er illustreret i nedenstående tabel.

Tabel 3: Medicinrådets metodevejledning

Element i analysen	Standardanalyse
Patientpopulation	Beskriv patientpopulationen inklusive beskrivelse af sygdommen
Lægemidlet	Lægemidlet der ansøges om ibrugtagning som standardbehandling
Komparatoren/komparatorerne	Den eller de behandlinger, som anvendes i den endelige ansøgning til Medicinrådet
Analysens perspektiv	Samfundsperspektiv, inklusive patienters og pårørendes tidsforbrug (eksklusive produktions-tab/gevinster)
Tidshorisont	Så lang, at alle vigtige forskelle i omkostninger mellem alternativerne opfanges
Ressourceforbrug og omkostninger	Direkte behandlingsrelaterede omkostninger samt afledte behandlingsrelaterede omkostninger i alle sektorer inden for det relevante tidsperspektiv
Metode til håndtering af usikkerhed	Relevante følsomhedsanalyser

Kilde: ”Metodevejledning for omkostningsanalyser af nye lægemidler og indikationer i hospitalssektoren” af Medicinrådet (Medicinrådet, 2020b)

Kravene i tabel 3 beskriver, hvordan tilgangen til analysen skal foretages. Yderligere er det vigtigt at redegøre for resultaterne, og hvordan disse resultater er opnået. Dette inkluderer en præsentation af metode og resultat, diskussion af omkostningsanalysen og budgetkonsekvenser (Medicinrådet, 2020b).

Biogens omkostningsanalyse starter ud med en beskrivelse af sygdommen SMA og patientpopulationen, som er inddelt efter diagnosetype, årlige tilfælde, sygdomsdebut, karakteristika og gennemsnitlig overlevelse. Yderligere gives en beskrivelse af præparatet Spinraza og behandlingen med dette. Spinraza sammenlignes i omkostningsanalysen med en alternativ behandling, som i dette tilfælde er BSC. Præparatet Spinraza sammenlignes med BSC, idet der endnu ikke er en anden godkendt medicinsk behandling mod SMA. Biogens omkostningsanalyse er udarbejdet for en 24 måneders tidsperiode, til trods for Medicinrådets forespørgsel efter en 15 måneders periode. Amgros vurderede, at en diskontering påvirkede resultatet i ubetydelig grad ved en ændring af tidshorisonten fra 24 måneder til 15 måneder, hvorfor det først blev ændret i beregningen af følsomhedsanalyserne, som beskrives senere i afsnittet. I Medicinrådets metodevejledning er det beskrevet, at omkostningerne skal diskonteres ved en tidshorisont på mere end ét år. Dette regulerede Biogen efter henvendelse fra Amgros. De første omkostninger, som præsenteres, er de direkte behandlingsrelaterede omkostninger, hvor prisen per dosis af Spinraza indgår. De direkte omkostninger består yderligere af bronkodilaterende lægemidler og samlede hospitals- og administrationsomkostninger. De afledte behandlingsrelaterede omkostninger er opgjort

som transportomkostninger og tid brugt på hospitaler.

Biogen har udført følsomhedsanalyser ud fra en tidshorisont på 15 måneder og en prisreduktion af Spinraza på 15 procent samt justeret ressourceforbrug. Omkostningerne for Spinraza er forskellige for den valgte tidshorisont på 15 måneder og firmaets grundscenarior på 24 måneder. Med udgangspunkt i Biogens hovedanalyse har Amgros foretaget sin egen følsomhedsanalyse ud fra Medicinrådets ændrede kriterier til analysen. Amgros har foretaget følsomhedsanalyser af forskellige tidshorisonter på 5, 10 og 25 år, hvor tidshorisonten i grundscenariet er 15 måneder. Derudover illustrerer Amgros' følsomhedsanalyse meromkostningerne ved forskellige prisreduktioner.

Et yderligere kriterie til omkostningsanalysen er budgetkonsekvenserne, som beregnes ud fra antallet af patienter i de tre diagnosegrupper samt antallet af patienter, som vil modtage behandling med og uden anbefaling. På baggrund af dette beregnes et estimat af de samlede omkostninger, som behandlingen kan medføre. Til sidst diskuteres hovedanalysens resultater, hvor flere usikre argumenter, såsom udelukkelse af direkte omkostninger til motoriske hjælpemidler og ventilationsbehov, inddrages (Medicinrådet, 2020b).

Ud fra resultaterne af Biogens omkostningsanalyse blev det i Medicinrådet besluttet, at Spinraza kun skal tilbydes i et begrænset omfang. Dette skyldes, at Medicinrådet vurderer, at der kun er en evidens for forbedring ved de patienter, der er hårdest ramt af SMA, herunder præsymptomatiske børn og patienter med SMA-type I. Dog overvejer Medicinrådet endnu engang at behandle sagen om Spinraza som standardbehandling for SMA-patienter. Eftersom der er fremkommet ny data for behandling med Spinraza for SMA-patienter, vil sagen om Spinraza som standardbehandling genoptages i juni 2020, hvor der indhentes nye priser fra Biogen (Medicinrådet, 2020a).

7 Behandling af baggrundsdata

I dette afsnit behandles respondenternes baggrundsdata for at sammenligne respondenternes repræsentativitet for populationen ud fra fordelingen af baggrundsoplysningerne.

Som det fremgår af tabel 4, har spørgeskemaet været åbnet for besvarelse 49 gange, hvoraf der er gennemført 21 besvarelser, som svarer til cirka 43 procent. Derudover er der to delvise besvarelser, som svarer til cirka 4 procent, og de resterende 53 procent har ikke besvaret spørgeskemaet.

Tabel 4: Oversigt over antal besvarelser

	Besvaret	Delvist besvaret	Ikke besvaret	Total
Antal	21	2	26	49
Procent	43	4	53	100

På baggrund af de gennemførte besvarelser kan det ses i tabel 5, at der cirka er 9,5 procent respondenter med diagnosen SMA-type I, cirka 52,5 procent med SMA-type II og cirka 38

procent med SMA-type III. Der er cirka 210 patienter i Danmark med diagnosen SMA, hvoraf SMA-type II udgør cirka 47,5 procent, og det samme er gældende for SMA-type III, som også udgør cirka 47,5 procent svarende til cirka 100 personer (RCFM, 2018b)(RCFM, 2018c). Kommunikations- og Udviklingsmedarbejder Annette Mahoney fra RCFM (e-mail, 19. marts, 2020) bekræfter, at SMA-type I udgør cirka 10 personer svarende til 5 procent. Mailen er vedlagt som bilag 4.

Tabel 5: Antal besvarelser i forhold til SMA-patienter i Danmark, i procent

	Alle SMA-patienter	Besvarelser
SMA-type I	5	9,5
SMA-type II	47,5	52,5
SMA-type III	47,5	38
Total	100	100

Der er modtaget 21 besvarelser ud af 210 SMA-patienter, hvilket svarer til 10 procent af populationen. Eftersom antal besvarelser er lav, og SMA-type I udgør en større andel af resultaterne end ud af populationen, og SMA-type II udgør en mindre andel af resultaterne, kan der ses en uoverensstemmelse mellem besvarelserne og den reelle fordeling, hvilket medfører en skæv forvridning af resultaterne i analysen.

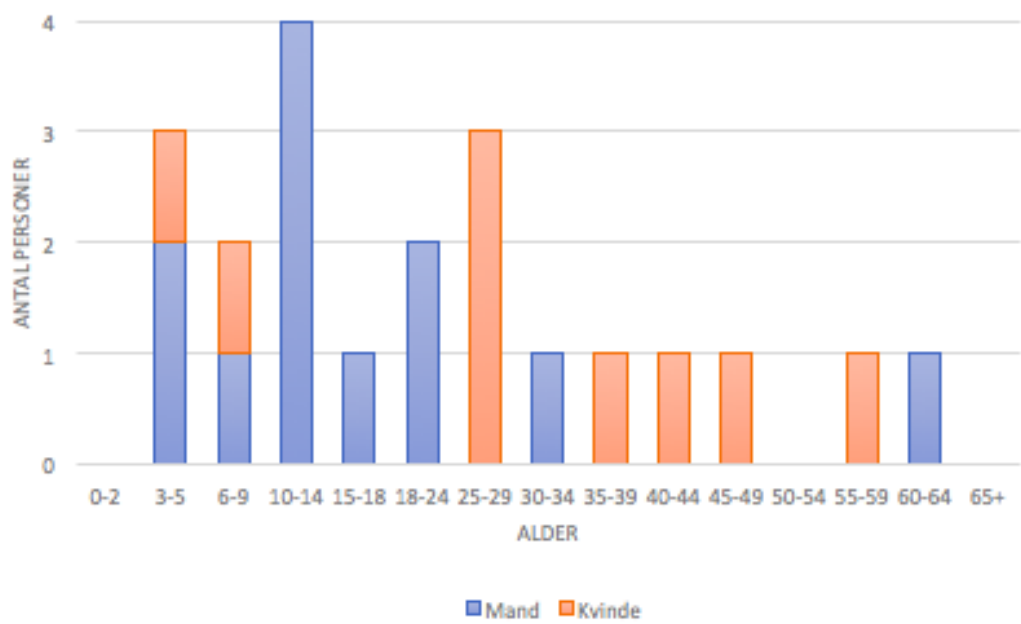
Projektets analyseafsnit består af fire dele: Behandling af baggrundsdata, Måling af sundhed, Direkte og indirekte omkostninger og Modelberegning. Den første del vil indeholde baggrundsoplysninger for populationen, hvilket vil belyse, hvem respondenterne er. Den anden del, Måling af sundhed, angiver respondenternes sundhedstilstand, som anvendes til beregning af QALY. Den tredje del af analysen, Direkte og indirekte omkostninger, vil belyse de forskellige omkostninger, som er forbundet med diagnosen SMA. Dette afsnit er vigtigt for sammenligningen med omkostningerne ved behandling af SMA. Den fjerde og sidste del af analysen, Modelberegning, vil opsamle resultaterne fra de tre første dele af analysen. Disse vil indgå i modellerne ICER og COI, hvor resultater heraf sammenlignes med resultater fra Amgro's vurderingsrapport.

7.1 Baggrundsdata

Det indsamlede data består af baggrundsoplysninger såsom alder, køn, arvelighed, diagnose-type og -alder for respondenterne. Spørgeskemaet er besvaret af 21 respondenter, hvoraf 11 personer selv har svaret på spørgeskemaet, svarende til 52,5 procent, og 10 personer, svarende til 47,5 procent, har fået hjælp af en forælder eller anden voksen. Blandt respondenterne er der otte drenge, to piger, fire mænd og syv kvinder, hvilket i det efterfølgende opgøres som 12 mænd og ni kvinder. Aldersmæssigt strækker respondenterne sig fra den yngste, som befinder sig i intervallet 3-5 år, til den ældste, som ligger i intervallet 60-64 år. De inddelte aldersintervaller er angivet i nedenstående figur 3. Figuren illustrerer kun kønsfordelingen for respondenterne af spørgeskemaet, hvilket ikke skal fortolkes som et

repræsentativt resultat af kønsfordelingen for alle SMA-patienter.

Figur 3: Alder og køn på respondenter

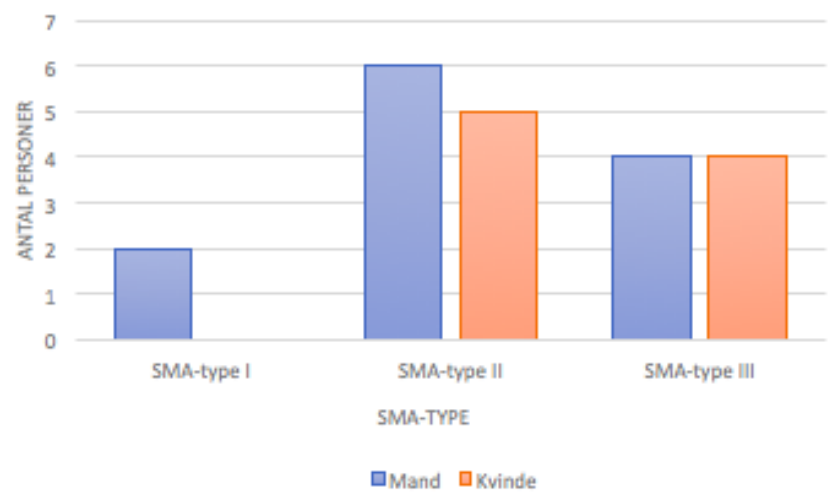


Kilde: Spørgeskema, spørgsmål nr. 2-5 (Bilag 1).

Som det fremgår af figur 3, ses størstedelen af respondenter i de lave aldersintervaller, det vil sige under 25 år, hvoraf den største andel ses for aldersintervallet 10-14 år. Disse intervaller består primært af mænd, mens de højere aldersintervaller primært består af kvinder. Af de kvindelige respondenter er der flest i aldersintervallet 25-29 år. De eneste intervaller, som består af både mænd og kvinder, er aldersgrupperne 3-5 år og 6-9 år. En forklaring på dette kan være, at flere ældre patienter har nedsat funktionsevne, og de er derfor ikke i stand til at besvare spørgeskemaet, hvorimod de yngre patienter har fået hjælp af deres raske forældre. Ud af de 15 aldersintervaller er der tre tomme intervaller, herunder 0-2 år, 50-54 år og 65+ år. Dette skal ikke forstås som, at der ikke er nogen SMA-patienter i disse aldersintervaller, men blot at spørgeskemaet ikke er besvaret af en respondent indenfor disse intervaller.

Udover de forskellige aldersintervaller er det også interessant at kigge på fordelingen af køn på de tre typer af SMA. Denne fordeling kan ses i figur 4. Igen er figuren blot en illustration af respondenternes besvarelser og ikke et repræsentativt resultat af virkeligheden.

Figur 4: Fordeling af køn på SMA-type

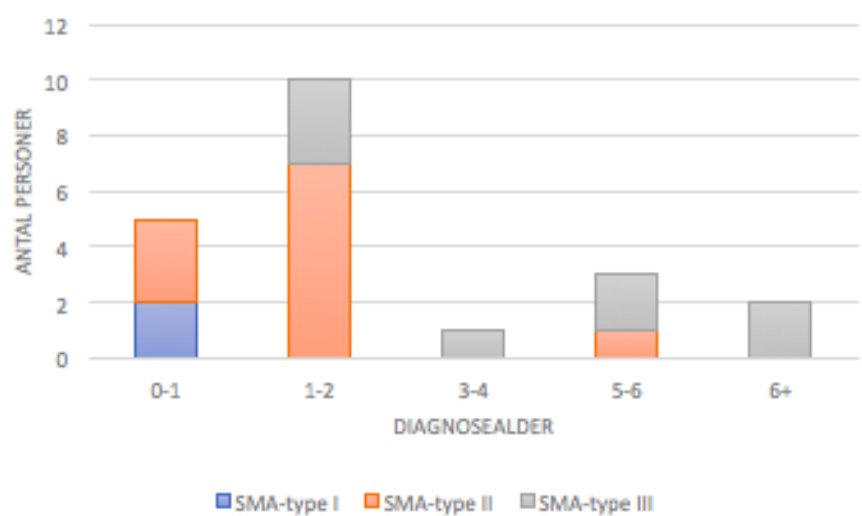


Kilde: Spørgeskema, spørgsmål nr. 2-3 og 6-7 (Bilag 1).

Ovenstående figur 4 viser, at den største andel af respondenter udgøres af diagnosen SMA-type II, mens den mindste andel af respondenterne har SMA-type I. Ud fra figuren ses det, at respondenterne i diagnosegruppe SMA-type I kun består af mænd. Diagnosegruppen SMA-type I er den mindste diagnosegruppe af de tre, eftersom mange af patienterne dør indenfor de første to leveår. Ud af de 10 patienter med SMA-type I har to respondenter besvaret spørgeskemaet svarende til 20 procent. Diagnosegruppen SMA-type II består af cirka 100 patienter, hvoraf der er 11 har besvaret spørgeskemaet, hvilket svarer til 11 procent. Den laveste procent findes for diagnosegruppen SMA-type III, som har otte procent besvarelser, hvilket kun er otte respondenter ud af cirka 100 med denne diagnose.

De tre forskellige diagnosegrupper diagnosticeres ud fra forskellige kriterier, herunder alder, hvorfor det er relevant at kigge på diagnosealderen for den senere analyse af de direkte og indirekte omkostninger, som diagnosen har medført.

Figur 5: Fordeling af diagnosealder på SMA-type



Kilde: Spørgeskema, spørgsmål nr. 6-9 (se bilag 1).

I figur 5 ses respondenternes diagnosealder fordelt på de tre SMA-typer. Diagnosealderen

er inddelt i fem grupper, som er baseret på respondenternes besvarelser, hvilket vil sige, at grupperingerne er opdelt efter besvarelserne er indgivet og ikke før, som er tilfældet for de andre intervaller. Dette skyldes ønsket om en simplificering af de mange varierende besvarelser af diagnosealderen. Ud fra figuren kan det ses, at størstedelen af respondenterne blev diagnosticeret i alderen 1-2 år. Det kan tydeligt ses, at patienter med SMA-type I bliver diagnosticeret indenfor det første år, hvilket stemmer overens med sygdomsbeskrivelsen, som angiver, at barnet typisk har symptomer indenfor de første seks måneder af dets levetid. Grupperingen 6+ år består af to respondenter med en diagnosealder på henholdsvis 16 og 25 år. Disse to personer har diagnosen SMA-type III, hvilket giver en overenstemmelse mellem diagnosealderen og sygdomsbeskrivelsen, eftersom symptomer typisk fremkommer fra 18 måneder og op til voksenalderen. En respondent har fået diagnosen SMA-type II i alderen 5-6 år, hvilket er atypisk i forhold til sygdomsbeskrivelsen, hvor symptomerne typisk fremtræder i alderen 6-12 måneder.

SMA-diagnosen har en 25 procent sandsynlighed for at være arvelig, hvis begge forældre er bærer af sygdomsanlægget (RCFM, 2018b). Det er derfor hurtigere at stille diagnosen, hvis man i forvejen ved, om en slægtning har diagnosen. Der er yderligere 50 procent sandsynlighed for at være en rask bærer af sygdomsanlægget uden selv at have diagnosen, hvilket betyder, at der er 25 procent sandsynlighed for, at et individ hverken er bærer af sygdomsanlægget eller får en SMA-diagnose (RCFM, 2018a). Ud af 21 besvarelser af spørgeskemaet har fem respondenter angivet, at de har en søskende med en SMA-diagnose, hvilket svarer til en arvelighed på cirka 24 procent. Dette stemmer fint overens med teorien om arvelighed for SMA-patienter.

Baggrundsdataen for analysen skal i den videre analyse bruges i sammenhæng med beregning af de sygdomsrelaterede omkostninger. Inden da skal der dog først redegøres for respondenternes sundhedstilstande i næste afsnit.

8 Måling af sundhed

I dette afsnit opgøres respondenternes sundhedstilstande. Det er vigtigt at opgøre respondenternes sundhed for at kunne beregne på, hvilken effekt præparatet Spinraza har på en patient med en SMA-diagnose. Præparatets effekt vil være større ved en meget dårlig sundhedstilstand uden behandling med Spinraza, mens effekten vil være mindre for en patient med en bedre sundhedstilstand. Der beregnes derfor også på den sundhedstilstand, som patienter, der modtager Spinraza, har.

For at måle respondenternes sundhed er der i spørgeskemaet stillet fem spørgsmål, som ofte benyttes i sammenhæng med sundhedsøkonomiske analyser. Disse spørgsmål er de velkendte EQ-5D spørgsmål, som er tilpasset respondenterne af spørgeskemaet, således at spørgsmålene afhænger af, om SMA-patienten selv besvarer, eller om en forælder eller en anden voksen besvarer spørgeskemaet på deres vegne. Af denne årsag er der 10 spørgsmål

til respondenternes sundhedstilstand, men nedenfor er disse kombineret, således at der bliver fem spørgsmål, som er målrettet begge grupper af respondenter.

1. *Hvordan vurderer du dit/dit barns bevægelighed?*
2. *Hvordan vurderer du dit/dit barns evne til selvpleje?*
3. *Hvordan vurderer du dit/dit barns evne til sædvanlige aktiviteter?*
4. *Hvordan vurderer du dit/dit barns smerter/ubehag?*
5. *Lider du/dit barn af angst/depression?*

For måling af respondenternes sundhedstilstande i analysen bliver to spørgsmål fra EQ-5D udvalgt til at beskrive kombinationen af sundhedstilstande. De to udvalgte spørgsmål er spørgsmål 1 *"Hvordan vurderer du dit/dit barns bevægelighed?"* og spørgsmål 4 *"Hvordan vurderer du dit/dit barns smerter/ubehag?"*. Spørgsmål 1 er sammenhængende med spørgsmål nummer 2 og 3, da bevægelighed også er nødvendig for udførelse af selvpleje og sædvanlige aktiviteter. Spørgsmål 1 blev valgt, fordi den er dækkende for tre spørgsmål i EQ-5D spørgeskemaet. Spørgsmål 4 er valgt, idet smerter forbindes med en fysiologisk sundhedstilstand, hvilket for mange mennesker er nemmere at forholde sig til end det psykologiske. Det antages derfor, at det er nemmere for respondenterne at angive, om de lider af smerter fremfor, om de lider af angst eller depression. Derudover er 10 ud af 21 respondenter forældre til børn, hvor det antages, at forældrene nemmere kan vurdere den fysiske end den psykiske tilstand.

Tabel 6 angiver ni kombinationer af disse to spørgsmål.

Tabel 6: Kombination af sundhedstilstande

Mobilitet	1. 'Jeg har ingen problemer med at gå omkring'	2. 'Jeg har nogle problemer med at gå omkring'	3. 'Jeg er bundet til sengen'
Smerter			
1. 'Jeg har ingen smerter eller ubehag'	Jeg har ingen problemer med at gå omkring, og jeg har ingen smerter eller ubehag	Jeg har nogle problemer med at gå omkring, og jeg har ingen smerter eller ubehag	Jeg er bundet til sengen, og jeg har ingen smerter eller ubehag
2. 'Jeg har moderate smerter eller ubehag'	Jeg har ingen problemer med at gå omkring, og jeg har moderate smerter eller ubehag	Jeg har nogle problemer med at gå omkring, og jeg har moderate smerter eller ubehag	Jeg er bundet til sengen, og jeg har moderate smerter eller ubehag
3. 'Jeg har ekstreme smerter eller ubehag'	Jeg har ingen problemer med at gå omkring, og jeg har ekstreme smerter eller ubehag	Jeg har ingen problemer med at gå omkring, og jeg har ekstreme smerter eller ubehag	Jeg er bundet til sengen, og jeg har ekstreme smerter eller ubehag

Ovenstående ni sundhedstilstande rangeres af respondenterne på en skala fra nul til en. De voksne respondenter, det vil sige de respondenter, som selv har besvaret spørgeskemaet, og som har givet tilladelse til at kontakte dem yderligere, er blevet yderligere kontaktet efter indsendelse af besvarelse. Disse rangeringer skal anvendes til beregning af QALY i den videre analyse.

8.1 Sundhedstilstande for voksne uden anvendelse af Spinraza

I dette afsnit opgøres der sundhedstilstande for tre voksne respondenter: Respondent 1, 2 og 3. Der opgøres kun sundhedstilstande for voksne og ikke for børn og unge. Det er svært for børn at rangere ni sundhedstilstande, og forældrene kan ikke gøre det på deres vegne, da de ikke 100 procent ved, hvad de tænker. Det kan også være svært for voksne, men de har en bedre forståelse for de forskellige ni sundhedstilstande, og de kan derfor bedre rangere.

Der er i alt blevet kontaktet seks voksne respondenter, hvoraf tre respondenter har rangeret de ni sundhedstilstande efter egne præferencevægte. De tre respondentes nuværende sundhedstilstande samt hele deres sygehistorik er forskellig, hvorfor det er tre interessante tilfælde at sammenligne.

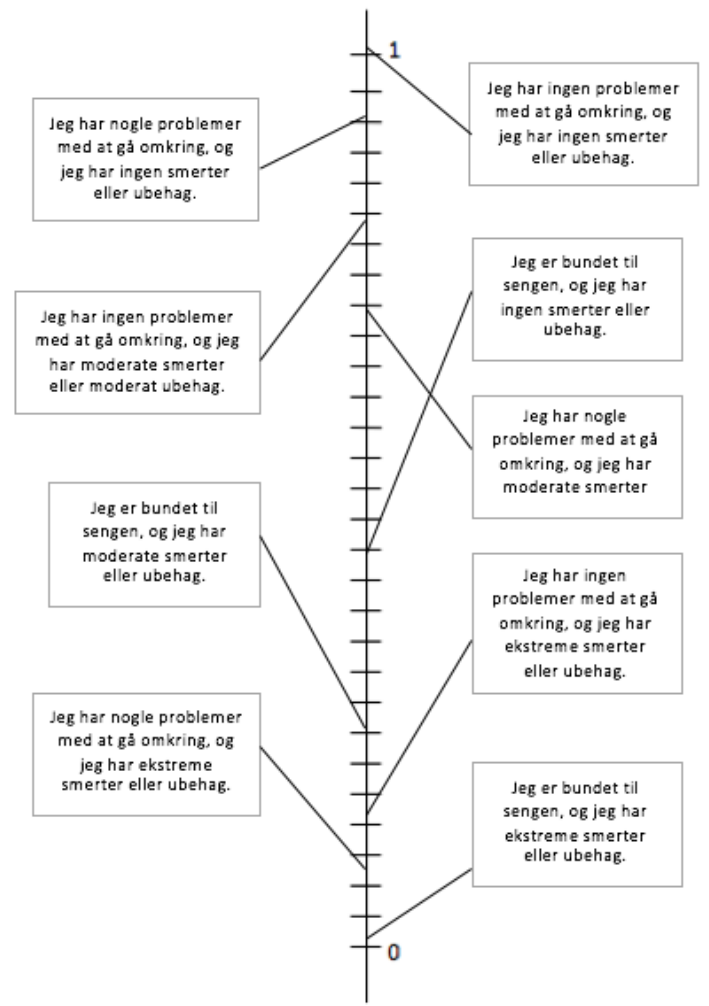
Respondent 1, som har rangeret de ni sundhedstilstande, er en kvinde med SMA-type III. Respondenten har angivet, at hun er bundet til sengen, og at hun hverken har smerter eller ubehag. Hendes faktiske sundhedstilstand er, at hun sidder i kørestol, og hun er der-

for ikke bundet til sengen, men ud fra svarmulighederne i spørgeskemaet fandt hun svaret ”Jeg er bundet til sengen” mest passende. Hendes historik er, at hun allerede som to-årig fik diagnosen, og hun har derfor levet med sygdommen hele sit liv.

”SMA er et livsvilkår, jeg altid har haft, og som min mand har kendt altid. Så det er ikke til at vide, hvordan det havde været uden SMA. Så havde vi nok ikke mødt hinanden”
- Citat fra respondent 1.

Respondent 1 har rangeret de ni sundhedstilstande på en skala fra 0 til 1, hvor nul er den dårligste sundhedstilstand, og 1 er den bedste sundhedstilstand. Respondent 1’s rangering af hendes ni sundhedstilstande er illustreret i figur 6.

Figur 6: Respondent 1’s rangering af de ni sundhedstilstande



Note: Illustration ud fra den første respondents rangering af ni sundhedstilstande

Det kan ses at ekstreme smerter og ubehag er rangeret lavest, men det at være bundet til sengen er også rangeret i den lave halvdel af linealen. Den bedst tænkelige sundhedstilstand, synes respondenterne, er ”Jeg har ingen problemer med at gå omkring, og jeg har ingen smerter eller ubehag”. Den sundhedstilstand respondent 1 mindst foretrækker er ”Jeg er bundet til sengen, og jeg har ekstreme smerter eller ubehag”. Dette kan ses ud fra, at respondent 1 har rangeret denne sundhedstilstand lig med 0.

Ud fra linealmetoden vil det være muligt at beregne de kvalitetsjusterede leveår, hvor den højeste værdi på 1 angiver et helt kvalitetsjusteret leveår, mens en mindre værdi på eksempelvis 0,3 kvalitetsjusterede leveår angiver 30 procent af et år, som er med perfekt helbred.

Respondent 1's kvalitetsjusterede leveår er ud fra de givne rangeringer i linealmetoden illustreret i tabel 7. Respondenten opnår et 100 procent kvalitetsjusteret leveår, når respondenten har et perfekt helbred. Et perfekt helbred er, når et individ har fuldkommen livskvalitet. Når respondenten har rangeret en sundhedstilstand lig med 0, er der ingen kvalitet i et leveår, hvilket for nogens vedkommende kan sammenlignes med en kvalitet, som er lig med eller værre end at være død.

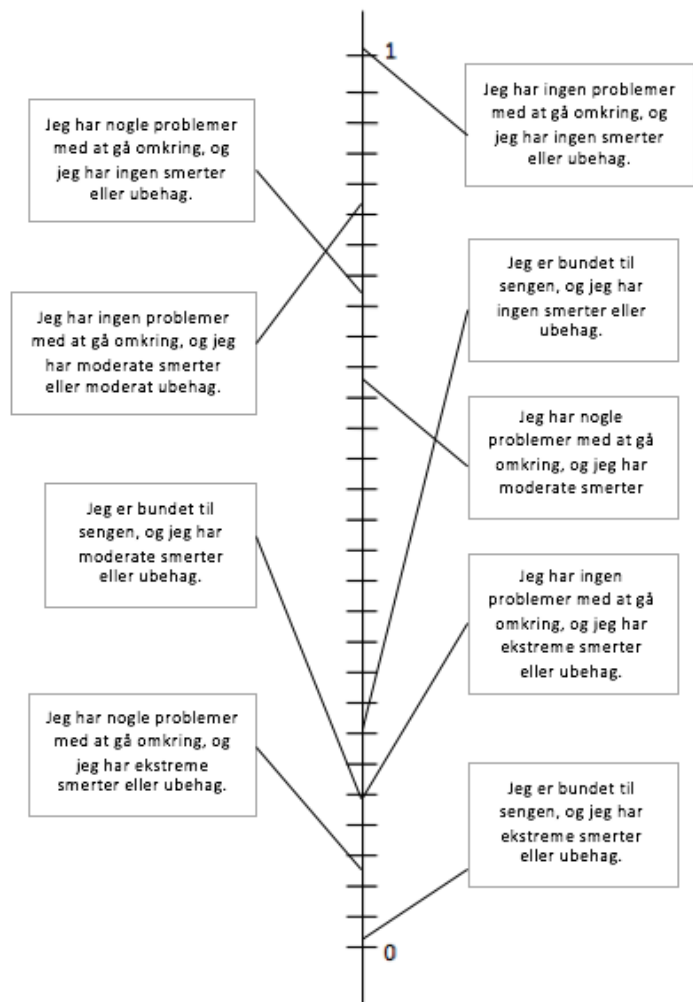
Tabel 7: Præferencevægte for respondent 1

Mobilitet Smerter	1. 'Jeg har ingen problemer med at gå omkring'	2. 'Jeg har nogle problemer med at gå omkring'	3. 'Jeg er bundet til sengen'
1. 'Jeg har ingen smerter eller ubehag'	1	0,9	0,5
2. 'Jeg har moderate smerter eller ubehag'	0,8	0,7	0,3
3. 'Jeg har ekstreme smerter eller ubehag'	0,2	0,1	0

Ovenstående tabel opsummerer respondent 1's præferencevægte for de ni sundhedstilstande. Ekstreme smerter er vægtet mindre end at være bundet til sengen. Dette kan ses ud fra rangering på 0,2 og 0,1 for ekstreme smerter, og en rangering på 0,5 og 0,3 for at være bundet til sengen.

Respondent 2, som har rangeret de ni sundhedstilstande, er en mand med SMA-type II. På trods af at have levet med sygdommen i hele hans liv, og at han har nogle problemer med at gå omkring, ikke kan udføre sædvanlige aktiviteter og har nogler smerter eller ubehag, er han fuldstidsarbejdende. Respondenten har rangeret de ni sundhedstilstande, som er illustreret i nedenstående figur 7.

Figur 7: Respondent 2’s rangering af de ni sundhedstilstande



Note: Illustration ud fra den anden respondents rangering af ni sundhedstilstande

Som det kan ses ud fra linealmetoden ovenfor, har respondenten flere lavere præferencevægte end høje. Ligesom for respondent 1, foretrækker respondent 2 en sundhedstilstand, hvor de hverken har problemer med at gå omkring eller har smerter eller ubehag. Dog er deres præcise præferencevægte fordelt lidt forskelligt. Dette kan ses i tabel 8.

Tabel 8: Præferencevægte for respondent 2

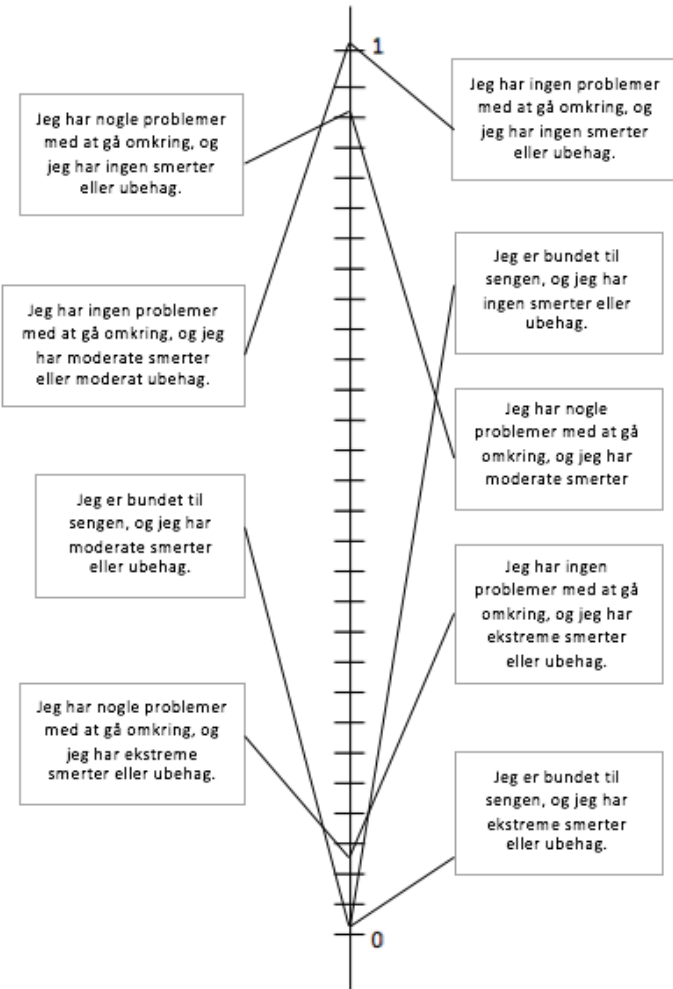
	1. 'Jeg har ingen problemer med at gå omkring'	2. 'Jeg har nogle problemer med at gå omkring'	3. 'Jeg er bundet til sengen'
Mobilitet			
Smerter			
1. 'Jeg har ingen smerter eller ubehag'	1	0,7	0,3
2. 'Jeg har moderate smerter eller ubehag'	0,8	0,6	0,2
3. 'Jeg har ekstreme smerter eller ubehag'	0,2	0,1	0

Præferencevægtene for respondent 2 er lavere for sundhedstilstanden ”Jeg er bundet til sengen”, end den er for respondent 1. Desuden vægter han også ”Jeg har nogle problemer

med at gå omkring”og ”Jeg har ingen eller moderate smerter eller ubehag”lavere end den respondent 1.

Respondent 3 er også en mand, som har en anden historik end den anden mandlige respondent. Den tredje respondent har SMA-type III, som han fik diagnosticeret som 25-årig, hvilket adskiller ham fra de øvrige respondenter. Dette skyldes, at han ikke altid har siddet i kørestol eller været besværet af sygdommen på anden vis, som de to første respondenter har. Grundet hans sene sygdomsdebut, har det været muligt for respondent 3 at være aktiv på arbejdsmarkedet indtil, han var middelaldrene. Ud fra hans sygehistorik og erfaringer, har respondenten mere forskellige præferencer end de to første respondenter. Dette kan ses i figur 8

Figur 8: Respondent 3’s rangering af de ni sundhedstilstande



Note: Illustration ud fra den tredje respondents rangering af ni sundhedstilstande

Den tredje respondent har rangeret de ni sundhedstilstande enten meget høje eller meget lave. Det ses tydeligt i figuren, at respondenten foretrækker muligheden for at kunne gå omkring, og han rangerer smerter og ubehag samt at være bundet til sengen dårligst.

”Hvis jeg bliver bundet til sengen, kan jeg lige så godt være død” - citat fra den tredje respondent

Respondentens præferencevægte for de ni sundhedstilstande er angivet i nedenstående tabel 9.

Tabel 9: Præferencevægte for respondent 3

Mobilitet	1. 'Jeg har ingen problemer med at gå omkring'	2. 'Jeg har nogle problemer med at gå omkring'	3. 'Jeg er bundet til sengen'
Smerter			
1. 'Jeg har ingen smerter eller ubehag'	1	0,9	0
2. 'Jeg har moderate smerter eller ubehag'	1	0,9	0
3. 'Jeg har ekstreme smerter eller ubehag'	0,1	0,1	0

Ovenstående tabel viser, at respondent 3 kun har anvendt fire præferencevægte for de ni sundhedstilstande. Respondenten er næsten indifferent mellem at være bundet til sengen og at have ekstreme smerter eller ubehag. At være bundet til sengen er angivet som den dårligste sundhedstilstand, idet det anses som en tilværelse uden livskvalitet. Yderligere rangerer respondenten evnen til at gå mellem 0,9 og 1, hvilket angiver høj livskvalitet.

Den tredje respondents præferencevægte er ekstreme, hvilket vurderes at påvirke resultatet i en sådan grad, at resultatet ikke er repræsentativt for voksne SMA-patienter i Danmark. Af denne årsag, vil respondentens præferencevægte ikke indgå i den videre analyse. Den tredje respondents præferencer antages at være ekstreme grundet den sene debutalder og respondentens bevidsthed om manglen på sin bevægelighed. Konsekvenserne ved ikke at inkludere respondent 3 er, at jo færre respondenter analysen baseres på, jo mindre sandsynlighed er der for at opnå repræsentative resultater. Det vurderes dog, at respondent 3 påvirker resultaterne i et større omfang ved at inkluderes end ekskluderes.

8.2 Beregning af QALY

I dette underafsnit vil QALY beregnes for voksne og børn og unge uden behandling med Spinraza samt for børn, der behandles med Spinraza. Formålet med dette er, at se på livskvaliteten for de to aldersgrupper samt for en børn og unge i behandling kontra ikke i behandling med Spinraza. Der vil ikke beregnes QALY for voksne respondenter, som modtager behandling med Spinraza, idet der i Danmark ikke findes voksne SMA-patienter, som modtager denne behandling. Den QALY der beregnes for børn, er ud fra angivelse fra en forælder om barnets nuværende sundhedstilstand. En forælder har et andet perspektiv, end et barn har, eftersom deres vurdering er baseret på egne observationer, og det er derfor usikkert, hvor præcis denne rangering er. Resultaterne af disse beregninger skal benyttes i den senere analyse, hvor ICER beregnes.

I spørgeskemaet skulle respondenterne angive deres sundhedstilstand på en skala fra

0 til 10. I projektet rangeres sundhedstilstandene derimod på en skala fra 0 til 1, hvorfor de indsamlede sundhedstilstande divideres med 10, så resultaterne er sammenlignelige. I spørgeskemaet blev der også spurgt ind til respondenternes sundhedstilstand efter medicinsk behandling (se bilag 1). Dette kunne kun besvares af de børn og unge, som modtager behandling med Spinraza, hvilket er den sundhedstilstand, som danner grundlag for QALY-beregningen ved behandling med Spinraza. QALY for de voksne samt børn og unge, som ikke modtager Spinraza, beregnes ud fra sundhedstilstanden uden medicinsk behandling. For de voksne respondenter beregnes en gennemsnitlig QALY, eftersom to voksne respondenter har angivet deres nuværende sundhedstilstande i forbindelse med udarbejdelse af de ni sundhedstilstande i forrige afsnit 8.1. Der tages et gennemsnit af de to respondenters QALY for at opnå et mere repræsentativt resultat. Eftersom det ikke har været muligt at få kontakt til mere end én forælder til et barn, som behandles med Spinraza, og mere end én forælder til et barn, som ikke behandles med Spinraza, vil de faktiske QALY anvendes fremfor et gennemsnit.

8.2.1 QALY for voksne der ikke anvender Spinraza

Der beregnes nu kvalitetsjusterede leveår for voksne respondenter, som ikke anvender Spinraza. For at simplificere den videre analyse, vil der beregnes et gennemsnit af præferencevægtene for respondent 1 og 2, som har rangeret de ni sundhedstilstande i afsnit 8.1. Årsagen til dette er at undgå for mange unødvendige beregninger, hvor de gennemsnitlige værdier er tilstrækkelig repræsentative. QALY vil beregnes for hver af de to respondenter, og efterfølgende vil et gennemsnit af disse beregnes. Til beregningen af QALY, vil ligning 1 benyttes.

Begge respondenter har i spørgeskemaet haft svært ved at angive deres bevægelighed, idet de ikke kan gå omkring, men at de heller ikke er bundet til sengen. Respondenterne har ved en uddybende telefonsamtale og mail angivet, at de befinder sig imellem sundhedstilstand 2 og 3, eftersom de ingen smerter eller ubehag har. Da respondenterne befinder sig mellem to sundhedstilstande, tages der et gennemsnit af disse, der vil indgå som en præferencevægt i ligningen. Respondent 1's gennemsnitlige præferencevægt for sundhedstilstand 2 og 3 er 0,7. Nedenstående ligning udtrykker den kvindelig respondents QALY.

$$QALY = 0,7 \cdot 37 = 25,9 \quad (4)$$

Respondent 1 er 35-39 år, og fordi hun har oplyst, at hun fik diagnosticeret SMA-type III som to-årig, angives hendes antal af år i den nuværende sundhedstilstand til at være 37 år. Denne angivelse har været nødvendig, eftersom det ikke var muligt at kommunikere mere med respondenterne. Der er derfor den mulighed, at respondentens nuværende sundhedstilstand har været i færre år, end det den er angivet til. Resultatet af QALY er 25,9, hvilket indikerer, at respondenterne har haft 25,9 års perfekt livskvalitet ud af de 37 år i sundhedstilstanden.

Den samme udregning af QALY foretages for respondent 2. Gennemsnittet af respondents præferencevægte giver 0,5, hvilket er angivet i ligning 5. Denne præferencevægt ganges med antal år, som respondenteren har været i den nuværende sundhedstilstand.

$$QALY = 0,5 \cdot 28 = 14 \quad (5)$$

Respondent 2 har altid befundet sig i hans nuværende sundhedstilstand, men fordi han først fik diagnosen som to-årig, er disse år fratrullet hans alder, hvilket giver 28 år. Respondentens QALY, uden behandling med Spinraza, er 14 år med perfekt helbred ud af 28 år. Dette indikerer, at respondenteren kun har haft 100 procent kvalitet i halvdelen af hans levetid med den nuværende sundhedstilstand.

Den gennemsnitlige QALY for respondent 1 og 2 er 19,5 og kan ses i nedenstående ligning 6.

$$QALY = \frac{37 + 28}{2} \cdot \frac{0,7 + 0,5}{2} = 19,5 \quad (6)$$

En QALY på 19,5 betyder, at respondenterne i gennemsnit har haft 19,5 leveår med 100 procent kvalitet i deres nuværende sundhedstilstand ud af 32,5 år. Beregningen af præferencevægtene skal bruges i den senere beregning af ICER, hvor sundhedstilstanden sammenlignes med omkostningerne, som er forbundet med en SMA-diagnose. Desuden skal de gennemsnitlige leveår også anvendes til beregning af de samlede omkostninger i ICER, hvorfor de gennemsnitlige år i sundhedstilstanden for respondent 1 og 2 er beregnet til 32,5 år.

8.2.2 QALY for børn der ikke anvender Spinraza

Der beregnes nu livskvalitet for børn, der ikke modtager behandling med Spinraza. Der er fem ud af 10 respondenter under 18 år, som ikke modtager Spinraza. Beregningen af livskvaliteten for børn og unge, der ikke modtager Spinraza, er vigtig, idet det skal bruges til opgørelsen af ICER i den senere analyse. Der er taget kontakt til to forældre til børn, der ikke modtager Spinraza, hvoraf én har svaret.

Den første respondent under 18 år, kaldt respondent 4, som ikke modtager behandling med Spinraza, er en dreng med SMA-type III i alderen 10-14 år. Forælderen til respondenteren oplyser, at barnet har nogle problemer med at gå omkring samt har moderate smerter eller ubehag. Denne sundhedstilstand, som respondent 4 har befundet sig i i et år, vurderer forælderen til at være 4 på en skala fra 0 til 10. Sundhedstilstanden vurderes af en forælder, hvorfor det kan være mindre retvisende i forhold til barnets egen vurdering. QALY for respondent 4 er beregnet i ligning 7.

$$QALY = 0,4 \cdot 1 = 0,4 \quad (7)$$

Ligning 7 viser, at respondent 4 har et kvalitetsjusteret leveår på 0,4 år i sin nuværende sundhedstilstand, som han har befundet sig i i et år. Respondenteren kan stadig selv gå omkring, men han har oplevet en klar forringelse af bevægeligheden det seneste år, hvorfor

forælderen til respondenten har rangeret respondentens sundhedstilstand til 0,4. Respondent 4's forælder argumenterer, at sønnen højst sandsynligt vil opnå en højere livskvalitet ved behandling med Spinraza, men han opfylder desværre ikke kriterierne for at modtage behandling med præparatet.

"Han har ikke fået behandling, da han ikke tilbydes Spinraza. Jeg mener, at han ville komme så tæt på almindelig som muligt, hvis han ville få behandling i tide" - Citat fra forælder til respondent 4.

8.2.3 QALY for respondenter der anvender Spinraza

Der vil her beregnes livskvalitet for børn og unge, der modtager Spinraza som behandling mod SMA. Der er fem respondenter af spørgeskemaundersøgelsen, som modtager behandling med Spinraza. Ud af de fem er forældre til to respondenter kontaktet, hvoraf én har svaret. Respondent 5's QALY beregnes i ligning 8.

Respondent 5 er en ung dreng med SMA-type II i aldersgruppen 6-9 år. En forælder til respondenten angav i spørgeskemaet, at respondent 5 er bundet til sengen og har moderate smerter eller ubehag. Ved en yderligere uddybning vedrørende spørgeskemaet, blev det oplyst, at respondent 5, til trods for sin sundhedstilstand, har haft megen fremgang ved behandling med Spinraza. Forælderen rangerer barnets nuværende sundhedstilstand til at være 7 på skalaen fra 0 til 10, hvilket omregnes til 0,7.

$$QALY = 0,7 \cdot 3 = 2,1 \quad (8)$$

Ovenstående ligning 8 angiver 0,7 kvalitetsjusteret leveår, hvilket svarer til, at respondent 5 har haft en perfekt livskvalitet i 2,1 år ud af tre år i den nuværende sundhedstilstand. Respondent 5 står lige nu over for en operation, hvorefter hans sundhedstilstand forventes at forbedres yderligere. Desuden oplyste forælderen til respondent 5, at respondenten har en lillebror med samme diagnose, stillet blot tre uger efter fødslen. Lillebror modtager også behandling med Spinraza, og han har ligeledes opnået en positiv fremgang med præparatet. Respondent 5's forælder er meget positiv overfor behandlingen med Spinraza og ønsker, flere SMA-patienter kan få muligheden for behandling med præparatet.

8.2.4 Sammenfatning

Ud fra den gennemsnitlige beregning på QALY for de to voksne respondenter ligger den gennemsnitlige præferencevægt på 0,6, og den gennemsnitlige QALY er beregnet til 19,5 for 32,5 år i den sundhedstilstand. Dette indikerer, at respondent 1 og 2 gennemsnitligt har 13 år uden perfekt livskvalitet ud af de 32,5 år, som de har haft i den nuværende sundhedstilstand. Respondent 4, som ikke modtager Spinraza, har den laveste præferencevægt i forhold til sin nuværende sundhedstilstand. Respondenten har derfor ikke haft 100 procent livskvalitet i 7,2 måneder indenfor det seneste år, hvor respondenten har befundet

sig i sin nuværende sundhedstilstand. Sammenlignet med de tre andre respondenter i afsnit 8.2, har respondent 5 den bedste præferencevægt for sin nuværende sundhedstilstand. Ud af respondent 5's 3-årige periode i sundhedstilstanden, har respondenteren haft perfekt livskvalitet i 2,1 år, svarende til 2 år og 1,2 måneder.

Kigger man på præferencevægtene er det tydeligt at se, at respondenteren, der modtager behandling med Spinraza, har den højeste livskvalitet. Den laveste livskvalitet er for respondent 5, som er under 18 år og ikke modtager behandling med Spinraza. Denne respondent har i modsætning til de tre andre respondenter ikke tidligere haft behov for en kørestol, hvorfor respondentens præferencevægt afspejles af tabet af sin bevægelighed, som har givet mindre livskvalitet. De øvrige respondenter har ikke samme referenceramme, hvorfor deres livskvalitet ikke har ændret sig i ligeså høj grad, og de derfor også har en højere præferencevægt for deres nuværende sundhedstilstand.

9 Direkte og indirekte omkostninger

Medicinerådet anbefaler ikke præparatet Spinraza som standardbehandling for SMA-patienter grundet den urimelige høje pris (Medicinerådet, 2017). Vurderingen er baseret på en omkostningsanalyse, som ikke tager højde for alle behandlingsrelaterede omkostninger ved BSC-behandlingen, hvorfor det forventes, at et anderledes resultat fremkommer ved inddragelse af flere omkostninger. Dette afsnit vil oplyse om yderligere relevante omkostninger, der er i forbindelse med en BSC-behandling for SMA-patienter. Omkostningerne inddeles i direkte og indirekte omkostninger, hvilket vil give et mere retvisende billede af de samlede omkostninger, som er relateret til behandling uden Spinraza. Alle udregningerne for omkostningerne i afsnit 9 er vedlagt som bilag 5.

9.1 Direkte omkostninger

I Biogens omkostningsanalyse for Spinraza består direkte omkostninger af øvrige omkostninger samt hospitals- og administrationsomkostninger. Til trods for at både Amgro og Biogen er blevet kontaktet, har det ikke været muligt at få opgjort yderligere informationer om de anvendte øvrige hospitals- og administrationsomkostninger. Det er dog vurderet, at de er blevet beregnet på et retvisende grundlag, hvorfor de medtages i beregningen af ICER i afsnit 10.2. Omkostningerne vil desuden suppleres med de direkte omkostninger indsamlet fra spørgeskemaet. De direkte omkostninger består af hjælpemidler, støtteordninger og overførselsindkomster.

De direkte omkostninger analyseres først for respondenterne, som ikke er i behandling med Spinraza, og efterfølgende analyseres omkostningerne for respondenter, som modtager behandling med Spinraza. Formålet med dette er at se, hvilke forskelle der er i de sygdomsrelaterede omkostninger ud fra, om patienterne modtager behandling med Spinraza eller ej. Figuren angiver omkostningerne for hjælpemidler, støtteordninger og overførselsindkomster for alle 21 respondenter, mens tabellerne særskilt angiver omkostningerne for de respondenter, som modtager behandling med Spinraza, og for de respondenter,

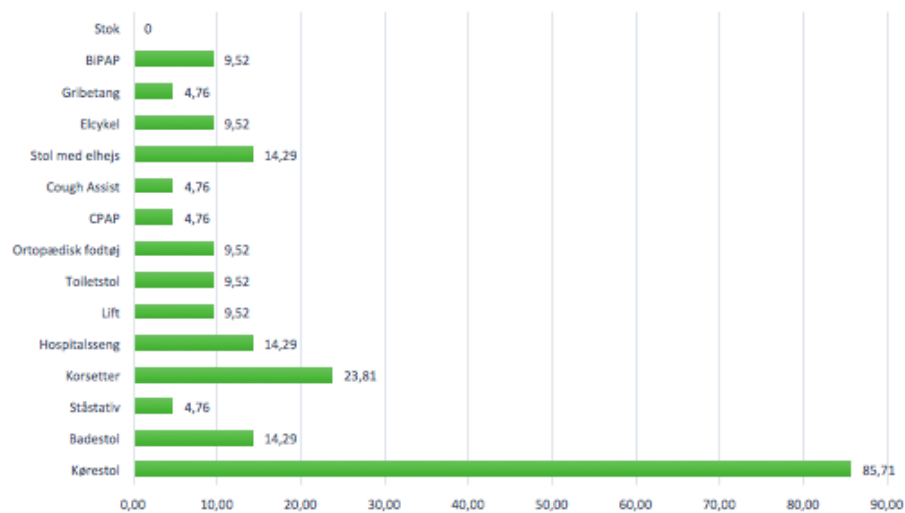
som ikke modtager behandlingen.

Priserne for hjælpemidler, støtteordninger og overførselsindkomster er ens uanset, om SMA-patienten modtager behandling med eller uden Spinraza. Omkostningerne for respondenterne vil derfor kun præsenteres i afsnit 9.1.1 - 9.1.3., hvor de samlede omkostninger kun er angivet for respondenter, som ikke bliver behandlet med Spinraza. I afsnit 9.1.4 beregnes kun de samlede omkostninger for patienter i behandling med Spinraza. I afsnit 9.1.5 præsenteres de direkte udgifter for husstanden, som respondenterne har angivet.

9.1.1 Hjælpemidler

Omkostningerne for de specifikke hjælpemidler er angivet ud fra de højeste og laveste tilgængelige priser. De forskellige hjælpemidler, som SMA-patienter gør brug af, er opgivet i besvarelse af spørgeskemaet. I spørgeskemaet er spørgsmålene, som er målrettet hjælpemidler, multichoice-spørgsmål med mulighed for at skrive en kommentar. Respondenterne kunne angive hjælpemidlerne: stok, ortopædisk fodtøj, kørestol, med mere. (jævnfør bilag 1). Udover disse svarmuligheder, har respondenterne blandt andet angivet hjælpemidler som: badestol, hospitalsseng, hostemaskine (Caugh Assist) (jævnfør bilag 1). Disse ekstra svar øger sandsynligheden for et mere retvisende billede, eftersom der vil tages højde for flere yderligere omkosninger, som er tilknyttet en SMA-diagnose. Eftersom sygdommen udvikler sig i forskellige retninger, har det været svært at inkludere alle tilgængelige hjælpemidler, da det var uvist, hvilke hjælpemidler der tilbydes til SMA-patienter. En samlet oversigt over alle hjælpemidlerne kan ses i figur 9.

Figur 9: Hjælpemidler i procent



Kilde: Spørgeskema, spørgsmål nr. 43 (se bilag 1).

I ovenstående figur kan det ses, at 85 procent af alle 21 respondenter, svarende til 18 personer, anvender en kørestol. Eftersom patienter med SMA har svage muskler, og de dermed har besvær med at gå, anvender størstedelen af SMA-patienterne en kørestol. Disse patienter har ofte behov for korsetter, som forebygger eller regulerer rygskævhed, eftersom dette er en kendt komplikation af en SMA-diagnose, og det er derfor det næstmest anvendte hjælpemiddel for SMA-patienter, hvilket også kan ses på figur 9. De øvrige

hjælpemidler modtages af 1-3 respondenter, som svarer til mellem cirka fem og 14 procent. Iltbehandling, der indgik i spørgeskemaet som en svarmulighed, er ikke inkluderet i figuren, da ingen respondenter har valgt denne. Respondenterne har derimod præciseret deres brug af iltbehandling, så dette hjælpemiddel indgår i stedet for som BiPAP, CPAP og Cough Assist i figuren. Respondenterne anvender ikke stok som et hjælpemiddel, hvorfor det ikke vil indgå i den videre analyse.

For at kunne opgøre de omkostninger, som hjælpemidlerne udgør, vil priserne på disse undersøges. Priserne på hjælpemidlerne svinger meget efter behovet og kvaliteten, og der er derfor i analysen opstillet tre forskellige priser på hjælpemidlerne: lav, middel og høj. Formålet med dette er at beregne den usikkerhed, der er forbundet med manglende data på de faktiske omkostninger. Disse omkostninger er svære at beregne, eftersom kommuner, regioner, staten med flere kan opnå en ukendt rabat, som kan variere fra kommune til kommune og region til region. Priserne, der er angivet på hjælpemidlerne, er markedspriser, hvilket angiver den fulde pris, som er højere end prisen, som kommuner, regioner og staten køber til. Der er indsamlet en lavest og højest pris på hjælpemidlerne, hvorefter der er beregnet en middel pris på baggrund af disse. Det er vigtigt at bemærke, at de indsamlede priser er de tilgængelige priser, og derfor kan priserne på nogle hjælpemidler i realiteten være højere eller lavere end de indsamlede. Dette skyldes, at nogle hjælpemidler er speciallavet, og der er derfor ingen standardpriser på disse hjælpemidler. Enkelte hjælpemidler er kun tilgængelige enten for voksne eller børn og unge, hvorfor tabel 10 er inddelt i voksne og børn og unge. Desuden kan der også ses en variation i nogle af priserne på hjælpemidlerne for voksne og børn og unge.

Tabel 10 angiver først enhedsomkostningerne for børn og unge og voksne og derefter de samlede omkostninger for hjælpemidlerne til børn og unge og voksne. De samlede omkostninger er beregnet ud fra antallet af respondenter, som modtager det pågældende hjælpemiddel. Derudover beregnes de totale omkostninger på baggrund af de samlede omkostninger, fordelt ud fra lav, middel og høj pris, samt antallet af respondenter, der anvender hjælpemidlerne. De totale omkostninger bruges til at beregne de gennemsnitlige omkostninger for antallet af respondenter. De gennemsnitlige omkostninger er beregnet i forhold til størrelsen på de to aldersgrupper, som henholdsvis består af fem børn og unge uden bedhandling med Spinraza og 11 voksne respondenter.

Tabel 10: Priser på hjælpemidler fordelt på lav, middel og høj pris

	Kørestol	Badestol	Stå- stativ	Korsetter	Hospitals- seng	Lift	Toiletstol	Ortopædisk fodtøj	CPAP	BiPAP	Cough Assist	Elstol	Elcykel	Gribe- tang	Total	Total årlig	Gnms. omk.
Enhedsomk.																	
Børn og unge																	
Lav	9.362,5	440	11.105	12.500	14.790	13.030	1.143,75	1.506	8.000	10.766,61	24.780,35	16.800	11.600	99			
Middel	96.187,5	2.117,5	30.407,5	21.875	32.690	16.327,5	2.061,88	4.984	8.062,5	15.684,03	28.222,07	19.400	13.147,5	229,5			
Høj	183.012,5	3.795	49.710	31.250	50.590	19.625	2.980	7.291	8.125	20.601,44	31.663,78	22.000	14.695	360			
Voksne																	
Lav	9.362,5	440	12.855	12.500	14.790	13.030	1.143,75	1.506	0	10.766,61	0	16.800	11.600	99			
Middel	96.187,5	2.117,5	31.282,5	21.875	32.690	16.327,5	1.506,25	4.984	0	15.684,03	0	19.400	13.147,5	229,5			
Høj	183.012,5	3.795	49.710	31.250	50.590	19.625	1.868,75	7.291	0	20.601,44	0	22.000	14.695	360			
Samlede omk.																	
Børn og unge																	
Lav	46..812,5	440	11.105	25.000	14.790	13.030	1.143,75	0	8.000	10.766,61	24.780,35	16.800	11.600	0	184.268,21	36.853,64	7.370,73
Middel	480.937,5	2.117,5	30.407,5	43.750	32.690	16.327,5	2.061,88	0	8.062,5	15.684,03	28.222,07	19.400	13.147,5	0	692.807,97	138.561,59	27.712,32
Høj	915.062,5	3.795	49.710	62.500	50.590	19.625	2.980	0	8.125	20.601,44	31.663,78	22.000	14.695	0	1.201.347,72	240.269,55	48.053,91
Voksne																	
Lav	93.625	880	0	12.500	29.580	13.030	1.143,75	0	0	10.766,61	0	16.800	11.600	99	190.024,36	38.004,87	3.454,99
Middel	961.875	4.235	0	21.875	65.380	16.327,5	1.506,25	0	0	15.684,03	0	19.400	13.147,5	229,5	1.119.659,78	223.931,96	20.357,45
Høj	1.830.125	7.590	0	31.250	101.180	19.625	1.868,75	0	0	20.601,44	0	22.000	14.695	360	2.049.295,19	409.859,04	37.259,91

Note: ”Total” angiver de samlede omkostningerne for hjælpemidler for aldersgrupperne.

”Total årlig” angiver de årlige samlede omkostningerne for hjælpemidler for aldersgrupperne, beregnet ud fra en levetid på fem år.

”Gnms. omk.” angiver de gennemsnitlige omkostninger for hjælpemidler fordelt på 11 voksne respondenter og fem børn og unge

Det antages, at alle respondenterne, der er kørestolsbrugere, har en elektrisk kørestol, eftersom patienter med en SMA-diagnose primært får problemer med benmuskler samt skuldermuskulaturen, hvorfor patienterne ikke har kræfter til at anvende en manuel kørestol (RCFM, 2018b). Ud fra de indsamlede priser, kan markedsprisen på en elektrisk kørestol svinge fra cirka 9.000 kroner (Swemed, 2020a) og op til cirka 183.000 kroner (Hjælpemiddelbasen, 2020b). De samlede omkostninger for en kørestol er de højeste omkostninger, der er til hjælpemidler, sammenlignet med de øvrige. Der er i alt 15 respondenter uden behandling med Spinraza, der har behov for dette hjælpemiddel, hvoraf de fem er børn og unge. Omkostningerne heraf er beregnet til at være mellem 46.812,5 kroner og 915.062,5 kroner for en kørestol per barn og ung, hvor omkostningerne for en kørestol per voksen er mellem 93.625 kroner og 1.830.125 kroner.

Hjælpemidlerne til personlig pleje inkluderer badestol og toiletstol. Priserne for en badestol er den samme uafhængig af alder, hvor den dyreste pris for toiletstolen er forskellig. Eftersom middelpriisen er beregnet som en gennemsnitspris af den dyreste og den billigste pris, er den for toiletstolen derfor også højere for børn og unge end for voksne. Det antages, at de patienter, der har brug en badestol, har brug for særdeles støtte, så der er derfor kun fundet priser på badestol med ryglæn. De samlede omkostninger for badestol og toiletstol er nogle af de mindre omkostninger, der er til hjælpemidler. De samlede omkostninger for badestol for børn og unge og voksne er mellem 440 kroner og op til 7.590 kroner. For en toiletstol er prisintervallet for børn og unge og voksen 1.143,75 kroner til 2.980 kroner.

Hospitalsseng, lift og ståstativ kan være nødvendige hjælpemidler til patienter med SMA, især til dem med fremskreden sygdom. Hospitalssengen er en af de hjælpemidler, hvor omkostningerne har en stor prisvariation, og enhedsomkostningerne udgør mellem 14.790 kroner og 50.590 kroner uanset alder (Swemed, 2020b). De samlede omkostninger ligger i intervallet 14.790 kroner og 101.180 kroner uanset alder. Eftersom der findes flere varianter af lifte, og respondenterne ikke har præciseret, hvilken type de anvender, antages det, at de har en personløfter. Denne antagelse bygger på, at det er et anvendeligt hjælpemiddel til den uafhængige patient, og SMA-patienterne antages at tilpasse sig forholdene så vidt muligt, så der eksempelvis er mindre behov for en trappelift. Variationen mellem priserne på liften er mindre end variationen mellem priserne for hospitalssenge. Den dyreste pris for et ståstativ er ens uanset alder, mens den billigste pris er 11.105 kroner for børn og unge og 12.855 kroner for voksne (Hjælpemiddelbasen, 2020e) (Hjælpemiddelbasen, 2020a).

Til SMA-patienter benyttes der primært tre forskellige slags korsetter: softbrace, dystrofi- og stofstøttekorset (Sahva, 2020). Priserne for disse korsetter ligger i intervallet 10.000 kroner til 25.000 kroner eksklusiv moms, alt efter om det er moduler der købes, eller om det laves efter mål. De priser der indgår i tabellen, er beregnet med moms, og middelpriisen er beregnet som et gennemsnit mellem den højeste og laveste pris. Der er to børn og unge

og en voksen, som anvender korsetter, hvilket giver en samlet omkostning på henholdsvis mellem 25.000 kroner til 62.500 kroner for børn og unge og 12.500 kroner til 31.250 kroner for de voksne respondenter.

Nogle SMA-patienter har behov for ortopædisk fodtøj. Graden af respondenternes behov for ortopædisk fodtøj er ukendt, hvorfor der er indsamlet priser for tre mulige varianter: Individuelt fremstillet fodtøj (håndsyet), semiortopædisk fodtøj og ortopædisk fabriksfremstillet fodtøj (Bandagist-Centret A/S, 2016). Priserne for ortopædisk fodtøj er uafhængig af alder. Ortopædisk fabriksfremstillet fodtøj udgør den billigste pris på 1.506 kroner per par. Den dyreste pris betales for et par individuelt fremstillet fodtøj, hvor prisen er 7.291 kroner per par. Det antages, at respondenterne kun er i besiddelse af et par, eftersom de fleste har besvær med at gå, og skoene slides derfor langsomt.

Priserne på respirationsunderstøttende behandling CPAP, BiPAP og Cough Assist er fundet både på danske og udenlandske hjemmesider. Disse tre hjælpemidler har ingen aldersbegrænsning, men priserne er kun fundet for den aldersgruppe, der i spørgeskemaet har angivet, at de benytter sig af hjælpemidlet. Priserne er ikke angivet for de øvrige aldersgrupper, idet det ikke er relevant for den videre analyse, dog antages det, at priserne for de to aldersgrupper er identiske. Priserne på CPAP ligger i et interval mellem 8.000 kroner og 8.125 kroner, som er omregnet ud fra kurs 7,46 danske kroner per euro den 12. maj 2020 (CPAPstore.eu, 2017) (ResMed, 2020). Sammenlignet med prisintervallet for CPAP, er priserne for BiPAP meget varierende; den billigste og dyreste BiPAP koster henholdsvis 10.767 kroner og 20.601 kroner, der er beregnet til kurs 4,44 danske kroner per australsk dollar den 12. maj 2020 (The CPAP clinic, 2020). Den billigste pris for Cough Assist er omregnet til 24.780,35 kroner, mens den dyreste pris er omregnet til 31.663,78 kroner, som er beregnet ud fra kurs 6,87 danske kroner per amerikansk dollar den 12. maj 2020 (Vitality medical, 2020). De samlede omkostninger er identiske med enhedsomkostningerne, eftersom de tre hjælpemidler kun har én respondent hver.

Tre respondenter anvender en specialstol med elektrisk hejs, og priserne for dette hjælpemiddel ligger mellem 16.800 kroner og 22.000 kroner (Vela, 2020). Priserne er indhentet ved Vela, som er forhandler af arbejdsstole til folk med ekstra behov. Arbejdsstolene er speciallavede, og priserne svinger derfor ud fra forbrugerens ønsker samt behov, hvorfor det var nødvendigt at kontakte en forhandler om priserne, eftersom der kun er standardpriser tilgængelige online.

Elektrisk cykel som et hjælpemiddel er omdiskuteret, da det i Ankestyrelsen i 2016 blev afgjort, at forbrugsgodet er helt almindeligt indbo (Gigtforeningen, 2016). Dog er en trehjulet-elcykel et hjælpemiddel til at lette den daglige tilværelse, hvorfor det ikke kan anses som almindeligt indbo (Sundhed.dk, 2020). Eftersom SMA-patienter har svage mus-

kler, og de dermed kan have balanceproblemer, antages det, at respondenterne anvender en trehjulet-elcykel, som der er indhentet priser for.

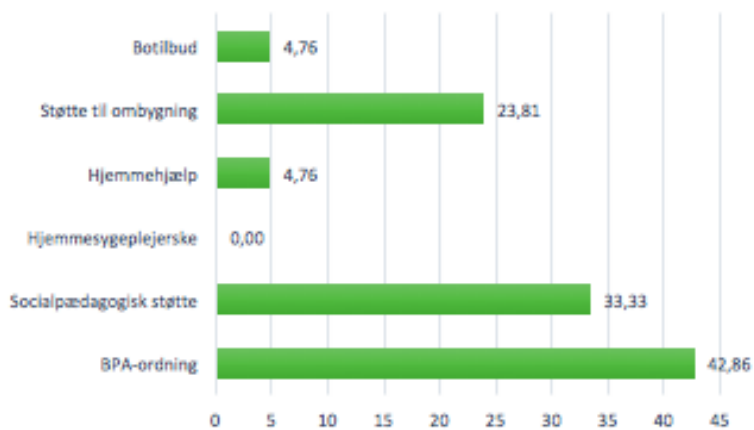
En gribetang er et værktøj, som blandt andet giver mere selvstændighed som et simpelt men brugbart hjælpemiddel. Den billigste pris er fundet ud fra kvaliteten, det vil sige, at der var andre billigere varianter, hvis funktioner var for ringe til en SMA-patient som forbruger. Den billigste pris er angivet til 99 kroner (Hjælpemiddelbasen, 2020c), hvor den dyreste pris er angivet til 360 kroner (Hjælpemiddelbasen, 2020d).

De totale omkostninger for hjælpemidler til børn og unge svinger mellem 184.268,21 kroner og 1.201.347,72 kroner, mens de totale omkostninger for de voksne er mellem 190.024,36 kroner og 2.049.295,19 kroner. Disse omkostninger angiver de totale omkostninger, der i alt er til alle respondenterne indenfor den pågældende aldersgruppe. Der er derfor ikke taget højde for de årlige omkostninger, som hjælpemidlerne udgør, hvorfor der i tabellen beregnes total årlige omkostninger. Det er antaget, at hjælpemidlerne har en gennemsnitlig levetid på fem år, hvorfor der ikke er beregnet en årlig pris per hjælpemiddel, men en samlet årlig pris. Det er selvfølgelig forskelligt, hvor lang en levetid de forskellige hjælpemidler har, men ud fra kvaliteten og behovet for hjælpemidlet, antages det, at den anvendte gennemsnitlige levetid er brugbar. Eksempelvis kan behovet for en kørestol være konstant, hvorfor den hurtigt slides op i forhold til kvaliteten, hvor en gribetang ikke nødvendigvis opfylder et konstant behov og derfor ikke opslides i samme fart. En af de hjælpemidler, hvor antagelsen ikke nødvendigvis passer, er for ortopædisk fodtøj. En levetid på fem år for fodtøj er urealistisk, medmindre omfanget af brugen af skoene er begrænset. Den fem-årige levetid er blot et gennemsnit af de forskellige hjælpemidlers levetid, hvorfor den nødvendigvis ikke passer på alle hjælpemidlerne, men den er vurderet til at passe på de fleste, hvorfor antagelsen regnes for at være passende.

9.1.2 Støtteordninger

Udover hvilke hjælpemidler respondenterne modtager, er spørgeskemaets 21 respondenter også blevet spurgt ind til, hvilke støtteordninger de modtager. De havde svarmulighederne: BPA-ordning, socialpædagogisk støtte, hjemmesygeplejerske, hjemmehjælp, støtte til ombygning og botilbud. I figur 10 er det angivet, hvor mange af respondenterne, der benytter sig af de forskellige støtteordninger.

Figur 10: Støtteordninger i procent



Kilde: Spørgeskema, spørgsmål nr. 41-42 (se bilag 1).

I ovenstående figur 10 kan det ses, at næsten halvdelen af respondenterne benytter BPA-ordning. Eftersom BPA-ordningen kun er tilegnet voksne over 18 år, har 10 ud af 11 voksne respondenter angivet i spørgeskemaet, at de benytter sig af denne ordning. Den næststørste anvendte støtteordning er socialpædagogisk støtte, som består af alt fra støtte til kontakt og samvær, personlig pleje og medicinhåndtering til støtte til uddannelse og beskæftigelse (Socialstyrelsen, 2020). To respondenter har angivet, at de har hjælpere i skolen, hvilket er betragtet som socialpædagogisk støtte, eftersom det falder under kategorien 'støtte til uddannelse og beskæftigelse'. Som det er angivet i figuren, er der ingen af respondenterne, der tilses af en hjemmesygeplejerske, hvorfor denne støtteordning ikke medregnes i den videre analyse.

Fem respondenter har modtaget støtte til ombygning af bolig, herunder fire voksne og ét barn. Det har ikke været muligt at finde tilgængelige priser på denne støtteordning, hvorfor der er taget kontakt til flere personer, som desværre ikke kunne oplyse priser. Af denne årsag vil omkostningerne for støtte til ombygning af boliger ikke indgå i den videre analyse.

Omfanget af de forskellige støtteordningers omkostninger er varierende. Ligesom for hjælpemidler, er der støtteordninger, der kun er tilknyttet den ene aldersgruppe, hvorfor der ikke er angivet en pris for støtteordningen for den øvrige gruppe. Der ses derudover en forskel i prisen afhængig af alderen. Omkostningerne for de forskellige støtteordninger er angivet i tabel 11. Denne tabel er ligeledes inddelt efter enhedsomkostninger og samlede omkostninger for de tre prisniveauer: lav, middel og høj.

Tabel 11: Årlige priser på støtteordninger fordelt på lav, middel og høj pris

	BPA	Socialpædagogisk	Hjemme-	Botilbud	Total	Gnms. omk.
		støtte	hjælp			
Enhedsomk.						
Børn og unge						
Lav	0	113.000	0	599.000		
Middel	0	113.000	0	599.000		
Høj	0	113.000	0	599.000		
Voksne						
Lav	1.178.000	76.000	28.600	599.000		
Middel	1.178.000	76.000	56.450	599.000		
Høj	1.178.000	76.000	84.300	599.000		
Samlede omk.						
Børn og unge						
Lav	0	226.000	0	0	226.000	45.200
Middel	0	226.000	0	0	226.000	45.200
Høj	0	226.000	0	0	226.000	45.200
Voksne						
Lav	10.602.000	152.000	28.600	599.000	11.381.600	1.034.690,91
Middel	10.602.000	152.000	56.450	599.000	11.409.450	1.037.222,73
Høj	10.602.000	152.000	84.300	599.000	11.437.300	1.039.754,55

Note: "Total" angiver de samlede omkostningerne for støtteordninger for aldersgrupperne.

"Gnms. omk." angiver de gennemsnitlige omkostninger for støttordninger fordelt på 11 voksne respondenter og fem børn og unge.

Omkostningerne for BPA-ordning er i Socialpolitisk Redegørelse fra Social- og Indenrigsministeriet fra 2019 opgjort til at udgøre 1.178.000 kroner årligt. Eftersom 9 ud af 11 voksne respondenter modtager denne støtteordning, udgør de samlede omkostninger 10.602.000 kroner. Denne støtteordning er derfor den største enhedsomkostning, der er forbundet med en SMA-diagnose. De socialpædagogiske enhedsomkostninger er angivet som to forskellige priser afhængig af, om støtteordningen er tildelt børn og unge eller en voksen (over 18 år). Prisen for socialpædagogisk støtte til børn og unge er 113.000 kroner om året, og for voksne udgør støtteordningen 76.000 kroner årligt (Social- og Indenrigsministeriet, 2019). Der er i alt to børn og to voksne, som modtager socialpædagogisk støtte, hvorfor de samlede omkostninger udgør henholdsvis 226.000 kroner og 152.000 kroner. Der er ikke en lavest og højest pris for BPA, socialpædagisk hjælp og botilbud, og eftersom der ikke er tilgængelige tal for alle 98 kommuner, er det antaget, at den fastsatte gennemsnitlige pris på tværs af kommunerne er brugbar for alle prisniveauer i denne analyse. En enkelt voksen respondent har angivet støtteordningen botilbud, som er et botilbudslignende tilbud omfattet af socialtilsyn, der er opgjort til en pris på 599.000 kroner.

Der er kun opgivet hjemmehjælp for de voksne SMA-patienter, da alle børn og unge

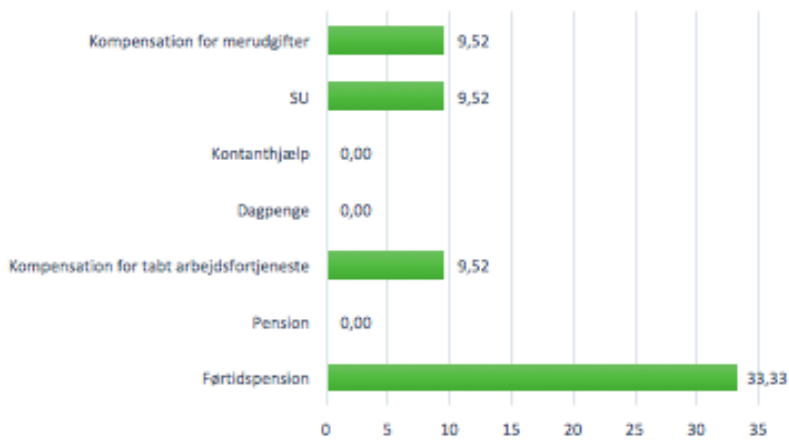
antages at være hjemmeboende, og derfor ikke har behov for denne støtteordning. Prisen for hjemmehjælp varierer mellem kommunerne, hvorfor der er fundet den laveste og højeste pris for hjemmehjælp på tværs af kommunerne. Den laveste pris er 28.600 kroner om året, og den højeste pris er 84.300 kroner (Forskningscenter for Forebyggelse og Sundhed, 2016).

De årlige gennemsnitlige omkostninger til støtteordninger udgør 45.200 kroner for børn og unge uden behandling med Spinraza, mens de for de voksne respondenter udgør mellem 1.034.690,91 kroner og 1.039.754,55 kroner. Eftersom respondenterne under 18 år kun modtager støtteordningen socialpædagogisk støtte, der er angivet som en fast pris, er deres årlige gennemsnitlige omkostninger ens for de tre prisniveauer. Modsat hjælpemidler, er statens største omkostninger for støtteordninger til de voksne respondenter.

9.1.3 Overførselsindkomster

Den sidste af de direkte omkostninger er overførselsindkomster. Respondenterne har i besvarelserne af spørgeskemaet angivet, at de modtager 4 ud af 7 tilgængelige overførselsindkomster. I figur 11 er andelen af respondenterne, der modtager de forskellige overførselsindkomster illustreret.

Figur 11: Overførselsindkomster i procent



Kilde: Spørgeskema, spørgsmål nr. 12-13 og 45-46 (se bilag 1).

9 ud af 21 respondenter har besvaret, at de modtager overførselsindkomster, hvoraf to af disse er forældre til to børn med en SMA-diagnose. Af ovenstående figur 11 fremgår det, hvilke overførselsindkomster respondenterne modtager. En stor del af respondenterne modtager førtidspension, hvilket er tilfældet for de voksne respondenter, som er over 18 år og har en nedsat arbejdsevne (Ældresagen, 2020). 7 ud af 11 voksne respondenter modtager førtidspension, hvilket svarer til 63,6 procent. Ud af de 11 voksne respondenter er der tre studerende, hvoraf den ene modtager førtidspension. De to andre studerende har ikke angivet en overførselsindkomst, og det er uvist, om de to studerende har misforstået spørgsmålet om overførselsindkomster, og derfor ikke har besvaret spørgsmålet korrekt, men det antages, at de to andre modtager SU. Dette antages ud fra, at begge respondenter er berettiget til SU, da de er mellem 18 og 24 år. Af figuren ses det des-

uden, at to respondenter kompenseres for tabt arbejdsfortjeneste, hvilket svarer til 9,52 procent. Disse to respondenter er forældre til to børn med en SMA-diagnose. Yderligere ses det, at to respondenter kompenseres for merudgifter, hvoraf den ene er en forælder, og den anden er en voksen respondent. Ingen af respondenterne er modtagere af følgende tre overførselsindkomster: kontanthjælp, dagpenge og pension. Disse tre overførselsindkomster vil derfor ikke indgå i den videre analyse.

Statens udgifter til overførselsindkomster er beregnet ud fra antagelser om alder samt besvarelser i spørgeskemaet. Der er tre studerende respondenter, hvoraf den ene har angivet, at personen modtager førtidspension, og de to øvrige har angivet, at de ikke modtager overførselsindkomster. I analysen er der dog antaget, at de to studerende modtager SU, idet de begge er mellem 18 og 24 år og ikke modtager anden form for overførselsindkomster. Af nedenstående tabel 12 fremgår de årlige enhedsomkostninger og de samlede omkostninger for de forskellige overførselsindkomster, som respondenterne modtager.

Tabel 12: Årlige priser på overførselsindkomster fordelt på lav, middel og høj pris

		Førtidspension	Kompensation for	SU	Kompensation for	Total	Gnms.
			tabt arbejdsfortjeneste		merudgifter		omk.
Enhedsomk.							
Børn og unge							
	Lav	0	44.060,54	0	12.480		
	Middel	0	61.684,76	0	24.972		
	Høj	0	105.745,30	0	31.224		
Voksne							
	Lav	194.748	0	74.916	12.480		
	Middel	229.104	0	74.916	24.972		
	Høj	229.104	0	170.916	31.224		
Samlede omk.							
Børn og unge							
	Lav	0	44.060,54	0	0	44.060,54	8.812,11
	Middel	0	61.684,76	0	0	61.684,76	12.336,95
	Høj	0	105.745,30	0	0	105.475,30	21.149,06
Voksne							
	Lav	1.363.236	0	149.832	12.480	1.525.548	138.686,18
	Middel	1.603.728	0	341.832	24.972	1.970.532	179.139,27
	Høj	1.603.728	0	341.832	31.224	1.976.784	179.707,64

Note: "Total" angiver de samlede omkostningerne for overførselsindkomster for aldersgrupperne.
"Gnms. omk." angiver de gennemsnitlige omkostninger for overførselsindkomster fordelt på 11 voksne respondenter og fem børn og unge.
Kilde: Spørgeskema, spørgsmål nr. 12-13 og 45-46 (se bilag 1).

Den største overførselsindkomst blandt respondenterne er førtidspension, og den årlige indkomst for en enlig førtidspensionist er 229.104 kroner, som udgør den højeste pris. Det antages, at størstedelen af de voksne respondenter, der er førtidspensionister, er enlige, eftersom intet i spørgeskemaet hentydede til deres civilstatus, og derfor udgør de 229.104 kroner også middelpriisen, da der kun er to satser for førtidspension (Ældresagen, 2020). Dette bekræftes af en opgørelse fra Danmarks Statistik, som angiver at 37 procent af alle voksne er enlige (Danmarks Statistik, 2015). 2 ud af de 11 voksne respondenter har selv angivet i fritekst, at de er i et forhold, og en samlevende førtidspensionist modtager i stedet 194.748 kroner om året. Eftersom der er syv modtagere af førtidspension, er de samlede omkostninger for førtidspension beregnet til at være mellem 1.363.236 kroner og 1.603.728 kroner.

Der er én respondent, som modtager kompensation for tabt arbejdsfortjeneste. Da omfanget af den tabte arbejdsfortjeneste ikke er opgivet i besvarelsen af spørgeskemaet, er der opstillet tre antagelser om antal arbejdstimer, som respondenteren kan få kompensation for. De tre priser for kompensation af tabt arbejdsfortjeneste er beregnet på baggrund af tre forskellige eksempler på deltid: 32 timer, 30 timer og 25 timer. Dette vil sige, at respondenterne skal kompenseres for fem, syv og tolv timer, hvilket svarer til 44.060,54 kroner, 61.684,76 kroner og 105.745,30 kroner årligt. Deltid på 32 timer er baseret på det ugentlige gennemsnitlige antal arbejdstimer for en dansker, som er 32,1 timer (Deltidsansat.dk, 2020). Prisen på timerne er udregnet på baggrund af den gennemsnitlige danskers årlige indkomst på 326.048 kroner i 2018 (Danmarks Statistik, 2020).

De to studerende respondenter, som ikke modtager førtidspension, antages begge at være på videregående uddannelse, eftersom de er i aldersgruppen 18-24 år, og ungdomsuddannelser oftest afsluttes i alderen 18-19 år (Erhvervsministeriet, 2016). Satsen for en studerende på en videregående uddannelse er 6.243 kroner om måneden, hvilket svarer til en årlig indkomst på 74.916 kroner. Derudover er det muligt at modtage et handicaptillæg på 8.800 kroner om måneden svarende til 105.600 kroner om året. Den lave enhedsomkostning udgøres af SU-satsen for videregående uddannelse, fordi det antages, at det kan være svært at få tildelt handicaptillæg. Dette tillæg er betinget af generne, varigheden, arten og graden af sygdommen samt behandlingsmulighederne. De to respondenter kan i nogen grad opfylde betingelserne, men da begge respondenter angiver, at de ikke er bundet til sengen eller ikke kan udføre sædvanlige aktiviteter, er deres berettigelse til dette tillæg uvist, men det antages, at de er berettiget til tillægget. SU-satsen plus handicaptillægget udgør derfor både den middel og den høje enhedsomkostning. Den årlige indkomst for disse to respondenter vil derfor være 170.916 kroner, hvis de modtager den høje SU med tillæg.

1 ud af 21 respondenter modtager en årlig kompensation for de merudgifter, som diagnosen har medført (Social- og Indenrigsministeriet, 2019). Kompensationen for merudgifterne varierer fra 1.040 kroner om måneden til 2.602 kroner om måneden. De tre priser, der er angivet for lav, middel og høj, er givet ud fra tre intervaller af merudgifter. For det laveste interval 556 - 1.561 kroner er kompensationen 1.040 kroner, for det andet interval 1.562 - 2.601 kroner er kompensationen 2.081, hvor man for det tredje interval, som går fra 2.602 og op efter, bliver kompenseret 100 procent. I tabellen er den højeste pris angivet som den laveste kompensation mulig for det højeste interval, hvilket er 2.602 kroner. De tre prisintervaller svarer til en årlig enhedsomkostning på henholdsvis 12.480 kroner, 24.972 kroner og 31.224 kroner.

De samlede gennemsnitlige omkostninger til overførselsindkomster er for de fem børn og unge i intervallet 8.812,11 kroner og 21.149,06 kroner, mens overførselsindkomsterne i gennemsnit for de 11 voksne respondenter er mellem 138.686,18 kroner og 177.707,64 kroner. Der er derfor en variation mellem de to aldersgrupper på minimum 117.530,12 kroner.

9.1.4 Direkte omkostninger ved anvendelse af Spinraza

Der er i afsnit 9.1.1 - 9.1.3 beregnet de gennemsnitlige direkte omkostninger for respondenter uden behandling med Spinraza, og der skal nu beregnes de gennemsnitlige direkte omkostninger for respondenter, som modtager behandling med Spinraza. Fem ud af 10 respondenter under 18 år har i besvarelsen af spørgeskemaet angivet, at de modtager behandling med Spinraza. Tabel 13 viser disse respondenteres samlede omkostninger for tre prisniveauer for hjælpemidler, støtteordninger og overførselsindkomster. Der er ikke vist mellemregninger på priserne, eller antal personer, der modtager de forskellige former for støtte. Der er benyttet de samme prisniveauer for hjælpemidlerne, støtteordningerne og overførselsindkomsterne, som der er for de direkte omkostninger for patienter uden behandling med Spinraza.

Tabel 13: Årlige udgifter for patienter i behandling med Spinraza, fordelt på lav, middel og høj pris

	Hjælpemidler	Støtteordninger	Overførselsindkomster	I alt
Total				
Lav	93.399,50	339.000	56.540,54	488.940,04
Middel	391.618	339.000	86.656,76	817.274,76
Høj	687.494,50	339.000	136.969,30	1.163.463,80
Gnms. omk.				
Lav	18.679,90	67.800	11.308,11	97.788,01
Middel	78.323,60	67.800	17.331,35	163.454,95
Høj	137.498,90	67.800	27.393,86	232.692,76

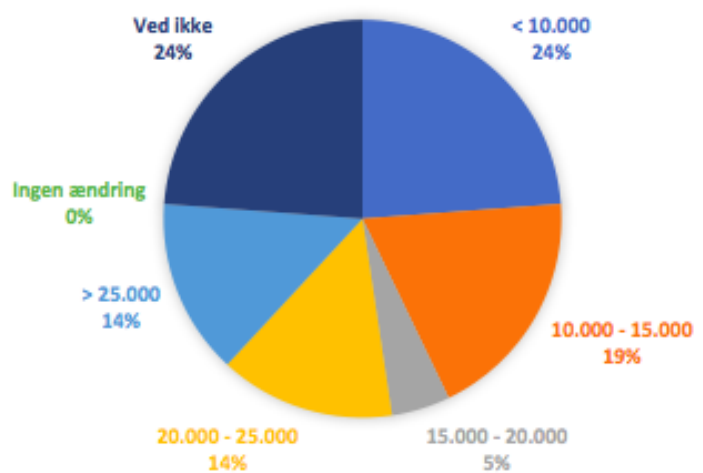
Note: De samlede gennemsnitlige sygdomsrelaterede omkostninger er udregnet for fem børn og unge.

Af tabel 13 fremgår det, at de største omkostninger udgøres af hjælpemidler, som har en gennemsnitsomkostning mellem 18.679,90 kroner og 137.498,90 kroner. De fem børn og unge, som modtager Spinraza, modtager kun støtteordningen socialpædagogisk støtte, hvilket udgøres af en bestemt enhedspris, hvorfor omkostningerne er ens for de tre prisniveauer. Overførselsindkomster udgør mellem 11.308,11 kroner og 27.393,86 kroner, hvilket dækker over de overførselsindkomster, som forældrene modtager i forbindelse med, at de har et barn med en SMA-diagnose. Staten vil årligt have omkostninger mellem 97.788,01 kroner og 232.692,76 kroner per barn, som modtager behandling med Spinraza.

9.1.5 Direkte omkostninger for husstanden

Der er i afsnit 9.1.1 - 9.1.4 beregnet de direkte gennemsnitlige omkostninger, som staten har per patient med en SMA-diagnose. Der vil nu beregnes de omkostninger, som respondenternes husstande har i forbindelse med en SMA-diagnose. Nedenstående figur 12 angiver respondenternes besvarelser for de årlige udgifter, som deres diagnose har medført. Der tages ikke højde for, om patienterne modtager Spinraza som behandling eller ej.

Figur 12: Ændringer i udgifter i procent



Note: Intervallerne er angivet i danske kroner.
Kilde: Spørgeskema, spørgsmål nr. 48 (se bilag 1).

Figuren viser fem prisintervaller for, hvor respondenternes udgifter ligger. Intervallerne angiver udgifter fra mindre end 10.000 kroner og op til over 25.000 kroner. Fem respondenter har svaret, at de ikke ved, hvor mange årlige udgifter de har, mens der ikke er nogen respondenter, der har angivet 'Ingen ændring'. Årsagen til de fem respondents svar 'Ved ikke' kan være, at de hele deres liv har levet med en SMA-diagnose, og derfor ikke kan skelne mellem almindelige udgifter og merudgifter. Den udgift med flest respondenter er <10.000 kroner, hvor fire ud af fem respondenter, som har valgt udgiften, er forældre til børn og unge. Dette kan eventuelt forklares ud fra graden af sygdommen, hvor det antages, at udgifterne stiger jo ældre patienten bliver, da patientens behov for yderligere støtte stiger.

Eftersom udgiftsændringerne er opgjort i intervaller, er der en usikkerhed i forhold til respondenternes præcise udgifter, hvorfor der i tabel 14 er beregnet samlede udgifter for

både de nedre og øvre grænser i intervallerne.

Tabel 14: Årlige priser for udgifter fordelt på lav, middel og høj pris

	<10.000	10.000-15.000	15.000-20.000	20.000-25.0000	>25.000	Gnms. udgifter
Lav	5.000	40.000	15.000	60.000	75.000	9.285,71
Middel	27.497,5	49.998	17.499,5	67.498,5	75.001,5	11.309,29
Høj	49.995	59.996	19.999	74.997	78.000	13.475,57

Note: De gennemsnitlige udgifter er beregnet for ti børn og unge og 11 voksne respondenter.

Beregningen for de samlede udgifter tager udgangspunkt i tre prisniveauer: lav, middel og høj. For prisintervallet <10.000 kroner er den nedre grænse valgt til at være 1.000 kroner, og den øvre grænse er valgt til at være 9.999 kroner. Den nedre grænse er valgt ud fra en antagelse om, at respondenterne ville oplyse, at de ikke har oplevet en udgiftsændring, hvis udgifterne havde været mindre end 1.000 kroner. Den øvre grænse for prisintervallet >25.000 kroner er 26.000 kroner, hvilket er valgt ud fra samme antagelse, om at en udgift på under 1.000 kroner om året ikke vil medregnes i respondentens totale udgifter. Eftersom de gennemsnitlige udgifter er mellem 9.285,71 kroner og 13.332,86 kroner, antages det desuden, at respondenterne med udgifter, der overstiger 25.000 kroner, ikke har meget større udgifter, idet deres minimumsudgifter allerede overstiger de gennemsnitlige udgifter i væsentlig grad. De gennemsnitlige udgifter er beregnet ud fra alle 21 respondenter i spørgeskemaundersøgelsen, hvor de fem respondenter, der har svaret 'Ved ikke', er medregnet som respondenter uden årlige udgifter grundet en SMA-diagnose. Disse respondenter har muligvis årlige udgifter, som går tabt, fordi omfanget af disse ikke kendes, og dermed falder de gennemsnitlige årlige omkostninger.

Udover de direkte omkostninger, er de indirekte omkostninger også relevante for opgørelsen af de samlede omkostninger, som en SMA-diagnose medfører. De indirekte omkostninger kan påvirke resultatet i ICER-metoden, hvorfor det er vigtigt at inkludere dem og se effekten heraf.

9.1.6 Sammenfatning

De direkte årlige omkostninger for støtteordninger til voksne uden behandling og børn i behandling med Spinraza er den største udgift for staten, hvor omkostninger til børn og unge uden behandling med Spinraza er størst for hjælpemidler. Dette kan ses i tabel 15, hvor de totale og gennemsnitlige omkostninger er beregnet for børn og unge og voksne samt de samlede omkostninger for de to aldersgrupper uanset, om respondenterne behandles med Spinraza eller ej. I tabellen indgår kun de omkostninger staten betaler, hvor respondenternes egne årlige udgifter, som er beregnet i afsnit 9.1.5, ikke er inkluderet.

Tabel 15: Årlige gennemsnitlige omkostninger for staten fordelt på lav, middel og høj pris

	Hjælpemidler	Støtteordninger	Overførselsindkomster	Total
Børn og unge med Spinraza				
Lav	3.735,98	67.800	11.308,11	82.844,09
Middel	15.664,72	67.800	17.331,35	100.796,07
Høj	27.499,78	67.800	27.393,86	122.693,64
Børn og unge uden Spinraza				
Lav	7.370,73	45.200	8.812,11	61.382,84
Middel	27.712,32	45.200	12.336,95	85.249,27
Høj	48.053,91	45.200	21.149,06	114.402,97
Voksne				
Lav	3.454,99	1.034.690,91	138.686,18	1.176.832,08
Middel	20.357,45	1.037.222,73	179.139,27	1.236.719,45
Høj	37.259,91	1.039.754,55	179.707,64	1.256.722,09
Samlet for aldersgrupperne				
Lav	168.258,01	11.946.600	2.220.008,04	14.116.866,05
Middel	754.111,55	11.974.450	2.762.834,76	15.491.396,30
Høj	1.337.623	12.002.300	3.109.023,80	16.448.946,88

Note: 'Total' angiver de årlige gennemsnitlige samlede direkte omkostninger fordelt på aldersgrupperne: børn og unge med Spinraza, børn og unge uden Spinraza og voksne. 'Samlet for aldersgrupperne' angiver de samlede gennemsnitlige omkostninger for alle aldersgrupperne ved tre prisniveauer.

Som det fremgår af ovenstående tabel, ses de største totale omkostninger hos voksne respondenter, der årligt udgør mellem 1.176.832,08 kroner og 1.256.722,09 kroner. Der ses desuden en forskel i de totale omkostninger for børn og unge i behandling med Spinraza og børn og unge uden behandling med Spinraza på trods af, at begge grupper hver især består af fem respondenter. Staten har større omkostninger til hjælpemidler og færre omkostninger til støtteordninger og overførselsindkomster til børn og unge uden behandling, end børn og unge med behandling. De større omkostninger til hjælpemidler kan forklares ved, at børn og unge, der ikke modtager behandling med Spinraza, har et større behov for hjælpemidler i hverdagen, eftersom det antages, at de har færre kræfter end de børn og unge, der modtager behandling med Spinraza. De færre omkostninger til støtteordninger kan skyldes, at børn og unge uden behandling ikke har en ligeså udviklet sygdom som dem, der modtager behandling, og de har derfor ikke brug for socialpædagogisk støtte i samme omfang. Forskellen i overførselsindkomster kan forklares ved, at forældre til børn og unge, der modtager Spinraza, har faste hospitalsbesøg i forbindelse med patientens behandling med Spinraza, og derfor er berettiget til compensation for tabt arbejdsfortjeneste.

De samlede gennemsnitlige omkostninger for alle 21 respondenter ligger i intervallet 14.116.866,05 kroner og 16.448.946,88 kroner, hvoraf omkostningerne til de voksne respon-

denter udgør den største andel. De samlede omkostninger, som hjælpemidler, støtteordninger og overførselsindkomster udgør, er beregnet med det formål at se, hvor store omkostninger der er til de 21 respondenter, der har besvaret spørgeskemaet. Dette skal ikke benyttes i den videre analyse, men det skal diskuteres sammen med de øvrige resultater.

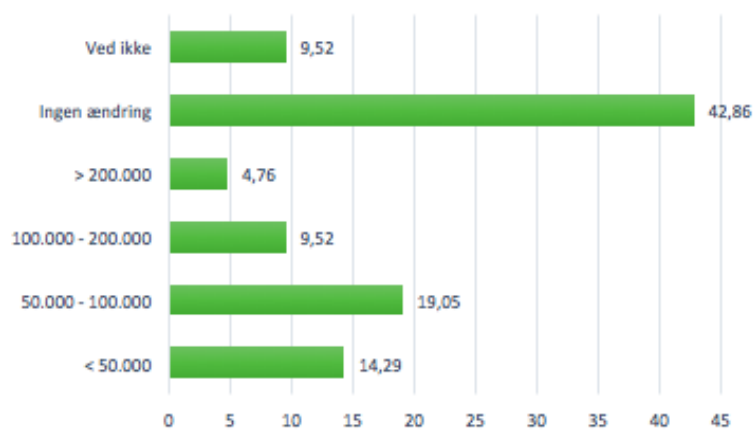
Der blev afgrænset fra at inkludere støtte til ombygning, da der ikke kunne findes priser for denne støtte. Dog ville denne støtte have haft en indflydelse på de totale gennemsnitlige omkostninger for de 21 respondenter, da fem respondenter, herunder fire voksne og et barn uden behandling med Spinraza, har angivet, at de har modtaget denne støtte. Dette vil give en mindre forskel i omkostningerne imellem respondenterne, som modtager behandling med Spinraza og respondenterne, som ikke modtager behandling med Spinraza. Hvis denne omkostning var inddraget i beregningen af ICER i afsnit 10.2, ville resultatet vise en større omkostningseffektivitet af Spinraza.

9.2 Indirekte omkostninger

Der er i hele afsnit 9.1 gennemgået de direkte omkostninger ved en SMA-diagnose, og der gennemgås nu de indirekte omkostninger ved en SMA-diagnose. Indirekte omkostninger kan være kompliceret at udregne, eftersom der skal tages højde for mange betydende faktorer, som er besværlig at prisfastsætte. Biogens omkostningsanalyse indeholder kun behandlingsrelaterede indirekte omkostninger, herunder tiden brugt på hospitaler samt tiden til transport til og fra hospitalet. Dette afsnit vil belyse de indirekte omkostninger, som er forbundet med sygdommen og ikke kun behandlingen. Beregningen af disse indirekte omkostninger er baseret på besvarelser fra spørgeskemaundersøgelsen, hvor der blev spurgt ind til ændringer i husstandens årlige indkomst før skat samt til udgifter som følge af en SMA-diagnose.

Omfanget af alle husstandes indkomstændringer er illustreret i nedenstående figur 13, hvor det kan ses, at ni respondenter har svaret, at de ikke har oplevet en ændring i indkomsten, og to respondenter har svaret 'Ved ikke' til spørgsmålet om husstandens indkomstændring. Eftersom omfanget af disse to respondentes indkomstændring ikke kendes, vil disse betragtes som, at de ingen indkomstændring har.

Figur 13: Indkomstændring i procent



Note: Prisintervaller er angivet i danske kroner før skat.

Kilde: Spørgeskemaundersøgelse, spørgsmål nr. 47

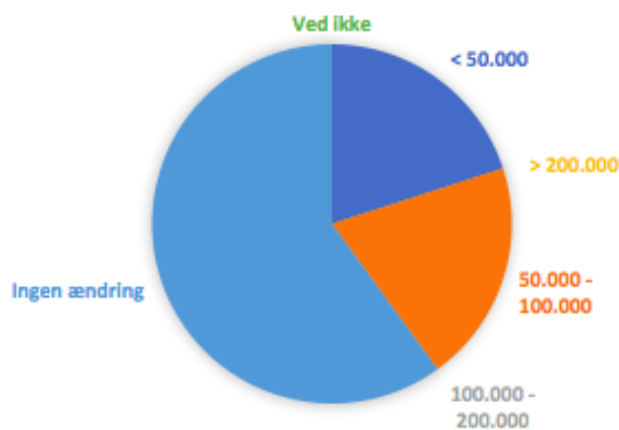
Fire respondenter har oplevet en indkomstændring på 50.000-100.000 kroner, mens kun én respondent har oplevet en indkomstændring på >200.000 kroner. Syv voksne respondenter har angivet, at de ikke har oplevet en ændring i deres indkomst, hvilket kan forklares ud fra, at respondenterne, grundet sygdommens begrænsninger, ikke har indgået på arbejdsmarkedet, og de har derfor modtaget overførselsindkomster. De respondenter, der har svaret, at de har oplevet et fald i deres årlige indkomst, kan for patienters vedkommende eventuelt forklares ud fra, at de måske har haft en tidsbegrænset periode på arbejdsmarkedet, eller er flyttet sammen med en partner, hvilket giver et fald i deres førtidspension. For forældrene til børn med SMA kan indkomstændringen muligvis skyldes et jobskifte for at kunne være mere hjemme ved sit barn, som kræver mere omsorg, eller at forældrene ikke kan få tildelt tabt arbejdsfortjeneste.

I afsnit 10.2.1 og 10.2.2 beregnes de indirekte omkostninger for henholdsvis børn og unge, som modtager og ikke modtager behandling med Spinraza. Der beregnes indirekte omkostninger for disse to grupper, idet de hver især skal indgå som omkostninger i ICER-beregningen i den senere analyse.

9.2.1 Indirekte omkostninger for respondenter som ikke anvender Spinraza

Først beregnes de indirekte omkostninger for børn og unge, som ikke behandles med Spinraza, og derefter beregnes de indirekte omkostninger for voksne. I spørgeskemaet blev respondenterne spurgt ind til ændringerne i husstandens årlige indkomster som følge af en SMA-diagnose. Spørgsmålet var angivet som et multichoice-spørgsmål, og respondenterne kunne angive indkomstændringerne i prisintervaller (jævnfør bilag 1). De indkomstændringer, de forskellige respondenter har oplevet, er illustreret i figurerne 14 og 15.

Figur 14: Indkomstændring i procent for børn og unge som ikke anvender Spinraza



Note: Intervallerne er angivet i danske kroner før skat.
Kilde: Spørgeskema, spørgsmål nr. 47 (se bilag 1).

Den første figur viser, at størstedelen af de fem respondenterne under 18 år har angivet, at deres indkomst ikke har ændret sig. Én respondent har angivet, at deres indkomst om året er faldet med mindre end 50.000 kroner, mens en anden respondent har angivet, at deres indkomsændring er mellem 50.000 - 100.000 kroner om året i forbindelse med en SMA-diagnose. Nedenfor i tabel 16 er indkomstændring i husstanden for børn og unge, som ikke modtager behandling med Spinraza, angivet. I tabellen er 'Ingen ændring' og 'Ved ikke' ikke medtaget.

Tabel 16: Husstandens indkomstændringer for børn og unge, som ikke modtager behandling med Spinraza

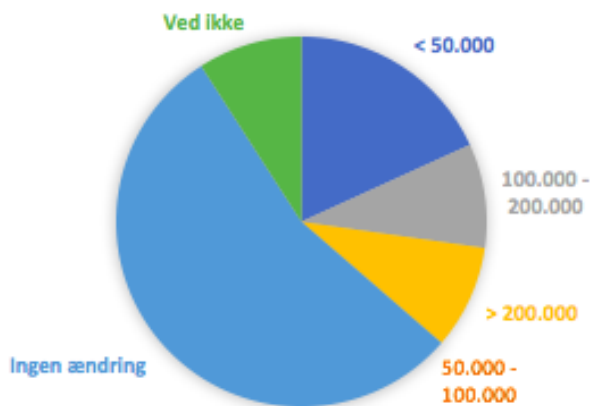
	< 50.000	50.000 - 100.000	100.000 - 200.000	> 200.000	Total	Gnms. ændring
Lav	10.000	50.000	0	0	60.000	12.000
Middel	29.999,50	74.999,50	0	0	104.999	20.999,80
Høj	49.999	99.999	0	0	149.998	29.999,60

Note: Intervallerne er angivet i danske kroner før skat.
Kilde: Spørgeskema, spørgsmål nr. 47 (se bilag 1).

Indkomstændringerne er inddelt i intervaller, som er angivet i tre prisniveauer. For intervallet mindre end 50.000 kroner er den laveste indkomstændring før skat valgt til at være 10.000 kroner, da en årlig indkomstændring på mindre ikke vil registreres som en indkomstændring i husstanden, eftersom det vil udgøre mindre end 1.000 kroner om måneden før skat. Middel indkomstændringen er beregnet som et gennemsnit af den lave og den høje indkomstændring. For børn og unge uden behandling med Spinraza, er der kun to ud af fem, som har angivet en faktisk ændring. Samlet er denne indkomstændring før skat mellem 60.000 kroner og 149.998 kroner. De gennemsnitlige årlige indkomstændringer for de fem respondenter, som ikke modtager behandling, er mellem 12.000 kroner og 29.999,60 kroner.

Indkomstændringen for de voksne respondenter, som ikke modtager behandling, er mere varierende end for de børn og unge, som ikke modtager behandling, hvilket er illustreret i nedenstående figur.

Figur 15: Indkomstændring i procent for voksne som ikke anvender Spinraza



Note: Intervallerne er angivet i danske kroner før skat.
Kilde: Spørgeskema, spørgsmål nr. 47 (se bilag 1).

De voksne respondenter har angivet flere forskellige prisintervaller. Ligesom for børn og unge uden behandling med Spinraza, har de fleste angivet, herunder seks respondenter, at de ingen indkomstændring har haft, mens én respondent ikke ved omfanget af indkomstændringen. Én respondent har angivet en indkomstændring på 100.000 - 200.000 kroner, to har angivet en ændring på mindre end 50.000 kroner, og den sidste har angivet en indkomstændring på over 200.000 kroner.

De totale og gennemsnitlige omkostninger beregnet for de to aldersgrupper uden behandling med Spinraza kan ses i tabel 17.

Tabel 17: Husstandens indkomstændringer for voksne respondenter

	< 50.000	50.000 - 100.000	100.000 - 200.000	> 200.000	Total	Gnms. ændring
Lav	20.000	0	100.000	200.000	320.000	29.090,91
Middel	59.999	0	149.999,50	205.000	414.998,50	37.727,14
Høj	99.998	0	199.999	210.000	509.997	46.363,36

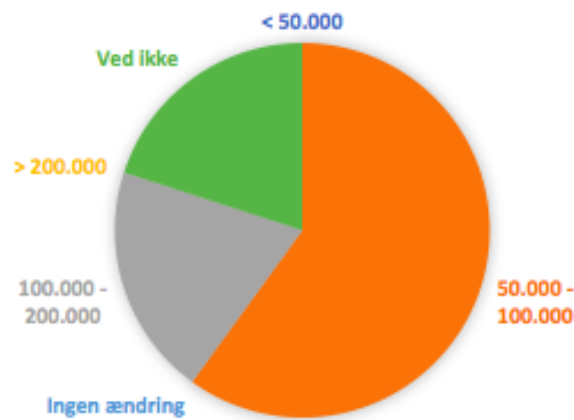
Note: Intervallerne er angivet i danske kroner før skat.
Kilde: Spørgeskema, spørgsmål nr. 47 (se bilag 1).

Det højeste prisniveau for intervallet >200.000 er angivet til at være 210.000 kroner, eftersom omfanget af respondentens årlige indkomstændring ikke kendes, og det tidligere i afsnittet blev antaget, at en årlig indkomstændring på mindre end 10.000 kroner ikke vil betragtes som en indkomstændring, er den højeste indkomstændring fastsat ud fra dette. 4 ud af 11 voksne respondenter har angivet en årlig indkomstændring, hvor kun intervallet 50.000 - 100.000 kroner ikke er valgt. De totale årlige indkomstændringer før skat er mellem 320.000 kroner og 509.997 kroner (jævnfør tabel 17). Den gennemsnitlige indkomstændring for de 11 voksne respondenter er beregnet til at være mellem 29.090,91 kroner og 46.363,36 kroner, hvilket er højere end indkomstændringerne for børn og unge uden behandling.

9.2.2 Indirekte omkostninger for respondenter der anvender Spinraza

Der beregnes nu de indirekte omkostninger for de respondenter, som anvender Spinraza. Først illustreres indkomstændringerne for de fem respondenter, som er i behandling med Spinraza, hvorefter der beregnes de gennemsnitlige og totale ændringer i indkomsten ved tre prisniveauer: lav, middel og høj.

Figur 16: Indkomstændring i procent for patienter der anvender Spinraza



Note: Intervallerne er angivet i danske kroner før skat.
Kilde: Spørgeskema, spørgsmål nr. 47 (se bilag 1).

Af ovenstående figur ses det, at størstedelen af de fem respondenter har haft en indkomstændring i intervallet 50.000 - 100.000 kroner. Én respondent ved ikke omfanget af indkomstændringen i husstanden, mens én har en årlig ændring i indkomsten på 100.000 - 200.000 kroner. Hvor stor et omfang disse indkomstændringer udgør tilsammen, er angivet i nedenstående tabel 18.

Tabel 18: Husstandens indkomstændringer for børn og unge som ikke modtager behandling med Spinraza

	< 50.000	50.000 - 100.000	100.000 - 200.000	> 200.000	Total	Gnms. ændring
Lav	0	150.000	100.000	0	250.000	50.000
Middel	0	224.998,50	149.999,50	0	374.998	74.999,60
Høj	0	299.997	199.999	0	499.996	99.999,20

Note: Intervallerne er angivet i danske kroner før skat.
Kilde: Spørgeskema, spørgsmål nr. 47 (se bilag 1).

Fire ud af fem børn og unge, som modtager behandling, har angivet en indkomstændring, hvilket totalt udgør mellem 250.000 kroner og 499.996 kroner. Årligt oplever respondenterne i gennemsnit en ændring i indkomsten mellem 50.000 kroner og 99.999,20 kroner. Denne gruppe af respondenter har i modsætning til de to øvrige grupper oplevet en større indkomstændring.

9.2.3 Sammenfatning

De indirekte omkostninger, som består af husstandens årlige ændringer i indkomsten, er forskellige for de tre grupper: voksne uden behandling, børn og unge uden behandling og

børn og unge i behandling med Spinraza. For børn og unge uden behandling ses de laveste indkomstændringer, mens de højeste indkomstændringer ses hos gruppen af børn og unge, som er i behandling med Spinraza. Dette kan forklares ud fra, at forældrene må reducere deres arbejdstid i forbindelse med deres barns behandling på hospitalet.

Indirekte omkostninger er ikke en umiddelbar udgift for staten, men der er en tabt indtægt for staten, idet staten ikke modtager samme omfang af skat, som hvis alle SMA-patienterne og deres forældre arbejdede på fuldtid. Den tabte indtægt anses i projektet for at være en vigtig udgift for samfundet, da det betyder en nedprioritering af omkostninger til et andet område.

10 Modelberegning

I dette afsnit begrundes der først for de samfundsmæssige udgifter, som de direkte og indirekte omkostninger for SMA-patienter udgør, hvilket vil afdækkes ud fra teorien bag COI. Herefter vil den inkrementelle omkostningseffektbrøk blive beregnet for at fastslå den mest omkostningseffektive behandling med enten BSC eller Spinraza. Da der ikke er andre behandlinger tilgængelige i Danmark, sammenlignes præparatet Spinraza med BSC. Omkostningerne for Spinraza og BSC vil blive medtaget fra Biogens omkostningsanalyse, hvor der inkluderes direkte behandlingsrelaterede omkostninger. ICER vil først blive beregnet for Spinraza med de direkte sygdomsrelaterede omkostninger beregnet i afsnit 9.1.1-9.1.4, og der vil efterfølgende blive beregnet ICER for både de direkte og indirekte sygdomsrelaterede omkostninger.

10.1 Beregning af COI

COI, som angiver det samlede omfang af omkostninger, der er forbundet med et individs sygdomsforløb, kan beregnes ved hjælp af følgende tre beregningsmetoder: incidens-, prævalens- og friktionsmetoden. Incidensmetoden er fravalgt, idet omkostninger ved sygdommen skal sammenlignes med en kontrolgruppe uden sygdommen, hvilket ikke var muligt, da det vil være for tidskrævende at indsamle denne data. Friktionsmetoden beregner indirekte omkostninger for det tidsrum, hvor individet forlod arbejdspladsen til en ny medarbejder tiltrådte. Denne metode er fravalgt, idet en stor andel af SMA-patienter ikke har indgået i arbejdsstyrken på grund af deres nedsatte funktionsevner. Desuden er respondenternes erhvervsbaggrund ukendt, hvilket besværliggør muligheden for at indhente data om tiltrædelse og fratrædelse på arbejdspladsen samt data for den nye medarbejder, som tiltræder stillingen efterfølgende.

Prævalensmetoden beregner de indirekte omkostninger indtil pensionsalderen. Efter som de fleste respondenter ikke indgår på arbejdsmarkedet, vil der derfor skulle opgøres en sum af de diskonterede årlige lønindtægter fra opførelsesåret indtil pensionsalderen. For at beregne lønindtægterne for spørgeskemaets respondenter skal det afgøres, om det skal beregnes ud fra kasseøkonomi-metoden, hvor lønindtægterne beregnes efter førtidspensionens kroneværdi, eller ud fra samfundsøkonomi-metoden, som beregner, hvad respondenteren al-

ternativt kunne havde indtjent ved at indgå på arbejdsmarkedet. Der er delte meninger, om hvorvidt kasseøkonomi-metoden kan bruges til beregning af de indirekte omkostninger, da disse omkostninger blot er en omfordeling af ressourcer mellem de offentlige kasser. Samfundsøkonomi-metoden foretrækkes, da den giver et mere retvisende billede af det produktionstab, der forekommer. Ud fra spørgeskemaundersøgelsen vides det ikke, om hvorvidt alle førtidspensionerede respondenter har indgået på arbejdsmarkedet, hvorfor den gennemsnitlige lønindkomst per dansker benyttes for at kunne anvende samfundsøkonomi-metoden.

Eftersom 10 ud af 21 respondenter er under 18 år, og de dermed antages ikke at bidrage til arbejdsmarkedet, medtages disse respondenter ikke i beregningen af COI. Selvom respondenterne under 18 år ikke selv bidrager til et produktionstab, bidrager forældrene til dette. Forældrene til de unge respondenter får kompensation for tabt arbejdsfortjeneste, hvilket er en udgift for samfundet. Dog medregnes forældrenes produktionstab ikke, da COI udelukkende beregnes for SMA-patienterne. Idet samfundsøkonomi-metoden anvendes, inkluderes kun de syv voksne respondenter, som i besvarelsen af spørgeskemaet har angivet, at de er udenfor arbejdsmarkedet. COI beregnes for hver af de syv voksne respondenter, hvorefter disse indirekte omkostninger summeres for at opnå den totale udgift, som de syv respondenter udgør. Den gennemsnitlige dansker tjente 326.048 kroner om året før skat i 2018, hvilket vil indgå i beregningen af COI (Danmarks Statistik, 2020).

For at finde respondenternes antal år i den arbejdsdygtige alder, kan der beregnes en gennemsnitlig alder for det aldersinterval, som respondenterne har opgivet, hvorefter der beregnes op til pensionsalderen, som antages at være ens for alle syv respondenter. Ved hjælp af de syv respondenters gennemsnitsalder, som er beregnet til 39,86 år, er pensionsalderen fundet til at være 72 år (Seniorhåndbogen, 2020). Deres nuværende alder trækkes fra pensionsalderen, og de indirekte omkostninger kan således beregnes for de resterende arbejdsdygtige år.

Resultaterne af den endelige beregning for de syv respondenters indirekte omkostninger er opgivet i tabel 19.

Tabel 19: COI beregnet på syv voksne respondenter

Respondent	Alder	År indtil pension	Sats	COI
1	27	45	326.048	14.672.160
2	27	45	326.048	14.672.160
3	27	45	326.048	14.672.160
4	37	35	326.048	11.411.680
5	42	30	326.048	9.781.440
6	57	15	326.048	4.890.720
7	62	10	326.048	3.260.480
Total				73.360.800

Note: Priserne er angivet før skat.

Den totale COI er et udtryk for det produktionstab, som samfundet har lidt som følge af en SMA-diagnose for syv respondenter. Den beregnede COI-værdi er ikke et samlet produktionstab for hele populationen. Den samfundsudgift, som de syv respondenter udgør, er 73.360.800 kroner. Denne COI-værdi kan ikke anvendes til beregning af samfundsudgiften for hele populationen, idet alder og hvorvidt SMA-patienterne har indgået på arbejdsmarkedet, ikke kendes.

Skulle man beregne en COI-værdi for de førtidspensionerede respondenter på baggrund af kasseøkonomi-metoden, kunne antal år indtil pensionsalderen ganges med satsen for førtidspension for enlige. Der blev i afsnit 9.1.3 antaget, at respondenter modtager satsen for enlige førtidspensionister, eftersom andet ikke er opgivet.

10.2 Beregning af ICER

Eftersom prisniveauet for de forskellige sygdomsrelaterede omkostninger er varierende, vil der i dette afsnit beregnes en ICER-værdi for de direkte omkostninger for et lavt, middel og højt prisniveau, således der tages højde for usikkerheden ved priserne. De direkte behandlingsrelaterede omkostninger er de gennemsnitlige samlede omkostninger per patient beregnet i tabel 2 i afsnit 6, summeret med de sygdomsrelaterede omkostninger beregnet i afsnit 9.1.1 - 9.1.4. Først beregnes ICER med de direkte omkostninger i *afsnit 10.2.1 - ICER med direkte omkostninger*, hvor omkostningerne for både børn og unge samt voksne uden behandling opvejes mod børn og unge, som modtager behandling med Spinraza. Disse omkostninger samt indirekte omkostninger anvendes i *afsnit 10.2.2 - ICER med direkte og indirekte omkostninger*, hvor omkostningerne per QALY for begge aldersgrupper sammenlignes med børn og unge, som modtager behandling. Beregningerne for de direkte behandlings- og sygdomsrelaterede omkostninger samt de indirekte + de direkte behandlings- og sygdomsrelaterede omkostninger kan ses i bilag 6. Resultaterne af disse ICER-beregninger vil diskuteres i det efterfølgende afsnit i forhold til Medicinrådets beslutning om, at Spinraza er for dyrt i forhold til dens effekt.

10.2.1 ICER med direkte omkostninger

Beregningerne for Spinraza og BSC med dertilhørende behandlingsrelaterede omkostninger er angivet ud fra en 24 måneders periode i Amgros' vurderingsrapport, men er videre beregnet for en 15 måneders periode efter resultatet af omkostningsanalysen. Det er uvist, hvorfor der er valgt denne tidsperiode på 15 måneder, men eftersom der ved mange behandlinger kan ses større effekt, jo længere tid man er i behandling, beregnes der i dette afsnit en ICER for en periode på 36 måneder. Da det første år i behandling med Spinraza er dyrest, forventes det, at omkostningerne fordeler sig over en længere tidsperiode, og resultaterne heraf viser en mere omkostningseffektiv behandling. Udover de direkte behandlingsrelaterede omkostninger fra Biogens omkostningsanalyse, bliver de direkte sygdomsrelaterede omkostninger inkluderet i nedenstående analyse. De behandlingsrelaterede omkostninger er i afsnit 6 beregnet for en 24 måneders tidsperiode, men omkostningerne

skal i afsnittet bruges for en 36 måneders periode. En SMA-patient i behandling med Spinraza vil få 12 doser á 620.000 kroner indenfor en 36 måneders tidsperiode, hvilket giver en samlet omkostning for Spinraza på 7.440.000 kroner (Medicinrådet, 2017). Derudover er behandlingsrelaterede, hospitalsomkostninger og øvrige omkostninger ganget med 1,5 for at få omkostningerne for en 36 måneders periode. Da det antages, at de voksne respondenter kun har SMA-type II og III, eftersom størstedelen af patienter med SMA-type I dør indenfor de første to leveår, er der blot beregnet behandlingsrelaterede omkostninger for SMA-type II og III, som er opgivet i Amgros’ rapport (Medicinrådet, 2017). De behandlingsrelaterede omkostninger for børn og unge er beregnet ud fra de gennemsnitlige omkostninger i tabel 2.

Eftersom de direkte sygdomsrelaterede omkostninger er beregnet for en 12 måneders periode, ganges omkostningerne med tre for at få omkostningerne for tidsperioden på 36 måneder. De direkte gennemsnitlige sygdomsrelaterede omkostninger for 36 måneder kan ses i nedenstående tabel.

Tabel 20: De gennemsnitlige sygdomsrelaterede omkostninger for en 36 måneders periode

	Børn og unge med Spinraza	Børn og unge uden Spinraza	Voksne uden Spinraza
Totale omk. 36 mdr.			
Lav	293.364,03	184.148,52	3.530.496,24
Middel	490.364,85	255.747,81	3.710.158,35
Høj	698.078,28	343.208,91	3.770.166,30

Note: Priserne er angivet før skat.

Efter opgørelsen af de gennemsnitlige sygdomsrelaterede omkostninger, kan ICER beregnes med de direkte omkostninger for børn og unge uden behandling med Spinraza. Disse direkte omkostninger består af de direkte sygdomsrelaterede samt behandlingsrelaterede omkostninger, opgjort i afsnit 6, for både omkostningerne ved behandling med BSC og behandling med Spinraza.

De første tre resultater der er beregnet nedenfor, ligning 9, 10 og 11, viser forskellen i omkostningerne per QALY ved forskellige priser af sygdomsrelatede omkostninger. De behandlingsrelaterede omkostninger udgør kun én samlet pris, som er medregnet i de direkte gennemsnitlige omkostninger for de tre prisniveauer.

$$ICER_{lav} = \frac{4.767.237,27}{0,4} - \frac{12.316.452,08}{2,1} = \frac{-7.549.215,51}{-1,7} = 4.440.715,01 \quad (9)$$

I ligning 9 er omkostningerne for det lave prisniveau af direkte sygdomsrelaterede omkostninger beregnet til -7.549.215,51 kroner for 1,7 mistede kvalitetsjusterede leveår. Omkostningerne per vunden QALY udgør derfor 4.440.715,01 kroner.

$$ICER_{\text{middel}} = \frac{4.838.836,56}{0,4} - \frac{12.513.453,60}{2,1} = \frac{-7.674.617,04}{-1,7} = 4.514.480,61 \quad (10)$$

Omkostninger for det middel prisniveau i ligning 10 er 4.514.480,61 kroner per vunden QALY, hvilket er 73.765,61 kroner højere end omkostningerne ved det lave prisniveau.

$$ICER_{\text{høj}} = \frac{4.926.297,66}{0,4} - \frac{12.721.167,03}{2,1} = \frac{-7.794.869,37}{-1,7} = 4.585.217,28 \quad (11)$$

I ovenstående ligning 11 er omkostningerne for det høje prisniveau beregnet til at udgøre -4.532.420 kroner for en forværring på 1,7 kvalitetsjusteret leveår. Omkostningerne per vunden QALY er 4.585.217,28 kroner, hvilket er 70.736,66 kroner højere per QALY end for det middel prisniveau.

Der er i ovenstående ligning 9, 10 og 11 beregnet omkostninger per vunden QALY kun med direkte omkostninger for tre prisniveauer. De negative tal i tæller og nævner indikerer, at behandlingen med BSC er billigere og mindre effektiv end behandling med Spinraza. Omkostningseffekten er derfor positiv, hvilket betyder, at omkostningerne per QALY medfører en større udgift for behandlingen med Spinraza end for behandlingen med BSC. Omkostningerne for de tre ovenstående ligninger ligger i intervallet 4.440.715,01 kroner og 4.585.217,28 kroner, og har en forskel i omkostningerne per QALY for det lave og det høje prisniveau på 144.502,27 kroner.

Der beregnes nu omkostningseffekten af Spinraza for voksne respondenter.

$$ICER_{\text{lav}} = \frac{7.784.777,24}{19,5} - \frac{12.316.452,78}{2,1} = \frac{-4.531.676,04}{17,4} = -260.441,15 \quad (12)$$

De voksne respondentes omkostninger er -260.441,15 kroner per QALY, hvilket indikerer, at omkostningerne ved Spinraza er mindre end for behandling med BSC.

$$ICER_{\text{middel}} = \frac{7.964.438,85}{19,5} - \frac{12.513.453,60}{2,1} = \frac{-4.549.014,75}{17,4} = -261.437,63 \quad (13)$$

Resultatet af ligning 13 er -261.437,63 kroner, hvilket betyder, at behandling med Spinraza for det middel prisniveau er 996,48 kroner billigere end for det lave prisniveau.

$$ICER_{\text{høj}} = \frac{8.024.446,80}{19,5} - \frac{12.721.167,03}{2,1} = \frac{-4.696.720,23}{17,4} = -269.926,45 \quad (14)$$

I ligning 14 fremgår det, at omkostningerne per kvalitetsjusteret leveår er -269.926,45 kro-

ner for det høje prisniveau for de voksne respondenter, hvilket er 8.488 kroner mindre end omkostningerne for det middel prisniveau.

De tre ovenstående ligninger for voksne respondenter beregnet med kun de direkte omkostninger har resulteret i en negativ omkostningseffekt. Dette kan fortolkes som, at der ved behandling med BSC kan spares mellem 260.441,15 kroner og 269.926,45 kroner per ekstra kvalitetsjusteret leveår i forhold til at behandle med Spinraza. Tælleren i brøken, som udtrykker ændringen i omkostningerne, er negativ, hvilket skal tolkes som, at omkostningerne ved at BSC er billigere end per vunden QALY, som angives i nævneren. Dette betyder, at BSC er mere omkostningseffektivt end Spinraza for voksne respondenter.

Der skal tages højde for, at QALY for de voksne respondenter er højere end børnenes, idet de voksne har haft flere leveår i den nuværende tilstand. Hvis QALY blev beregnet for samme antal leveår i den nuværende sundhedstilstand, vil omkostningerne stadig være dyrere for Spinraza på baggrund af beregningerne ovenfor, men det vil antages, at QALY vil være bedre for behandling med Spinraza end for BSC. Dette understøttes af den gennemsnitlige QALY for de voksnes sundhedstilstande på 0,6, hvor den for børnene i behandling med Spinraza er på 0,7 (jævnfør afsnit 8.2.1 og 8.2.3).

10.2.2 ICER med direkte og indirekte omkostninger

I dette afsnit vil ICER beregnes med direkte og indirekte omkostninger for børn og unge samt voksne. De indirekte omkostninger inkluderes for at se, hvilken yderligere påvirkning det har på omkostningseffektiviteten ved behandling med Spinraza.

Først beregnes ICER for børn og unge.

$$ICER_{\text{total-lav}} = \frac{4.803.237,27}{0,4} - \frac{12.466.452,78}{2,1} = \frac{-7.663.215,51}{-1,7} = 4.507.773,83 \quad (15)$$

Ovenstående ligning 15 angiver en omkostning per QALY på 4.507.773,83 kroner, hvilket angiver en højere omkostning for behandling med Spinraza frem for BSC.

$$ICER_{\text{total-middel}} = \frac{4.901.835,96}{0,4} - \frac{12.738.452,40}{2,1} = \frac{-7.836.616,40}{-1,7} = 4.609.774,38 \quad (16)$$

For det middel prisniveau er omkostningerne beregnet til at udgøre 4.609.774,38 kroner per kvalitetsjusteret leveår for børn og unge, hvilket er 102.000,55 kroner højere end omkostningerne for det lave prisniveau.

$$ICER_{\text{total-høj}} = \frac{5.016.296,46}{0,4} - \frac{13.021.164,63}{2,1} = \frac{-8.004.868,17}{-1,7} = 4.708.745,98 \quad (17)$$

I ligning 17 er børn og unges omkostninger per QALY for det høje prisniveau beregnet til

4.708.745,98 kroner, hvilket er 98.971,61 kroner højere end det middel prisniveau.

De tre ovenstående ligninger viser omkostningerne per QALY for børn og unge ved indtagelse af direkte og indirekte omkostninger. Igen viser brøken, at behandling med BSC er billigere men mindre effektiv i forhold til Spinraza. Omkostningseffekten svinger mellem 4.507.773,83 kroner og 4.708.745,98 kroner, hvilket giver en difference mellem det lave og høje prisniveau på 200.972,15 kroner.

Næst beregnes ICER for voksne. Her vil de direkte og indirekte omkostninger for de voksne respondenter sammenlignes med omkostningerne for børn og unge i behandling med Spinraza.

$$ICER_{\text{total-lav}} = \frac{7.872.049,47}{19,5} - \frac{12.466.452,78}{2,1} = \frac{-4.594.403,31}{17,4} = -264.046,17 \quad (18)$$

Af ligning 18 fremgår det, at omkostningerne per vunden QALY er -264.046,17 kroner mindre for behandling med Spinraza end med BSC.

$$ICER_{\text{total-middel}} = \frac{8.077.620,27}{19,5} - \frac{12.738.452,40}{2,1} = \frac{-4.660.832,13}{17,4} = -267.863,92 \quad (19)$$

De direkte og indirekte omkostninger ved behandling med Spinraza og BSC indikerer, at omkostningen for Spinraza er 267.863,92 kroner mindre end for BSC. Forskellen mellem det middel og det lave prisniveau er -3.817,75 kroner.

$$ICER =_{\text{total-høj}} \frac{8.163.536,88}{19,5} - \frac{13.021.164,63}{2,1} = \frac{-4.857.627,75}{17,4} = -279.174,01 \quad (20)$$

Den sidste ligning for de voksne respondenter beregnede ICER udgør -279.174,01, hvilket giver en forskel mellem det høje og det middel prisniveau på -11.310,09 kroner.

For de voksne respondenter ses det, at omkostningerne for behandling med Spinraza er dyrere end for behandlingen med BSC. BSC-behandlingen er mellem 264.046,17 kroner og 279.174,01 kroner billigere per ekstra QALY. Differencen mellem omkostningerne og QALY ved behandling med Spinraza sammenlignet med BSC, kan derfor tolkes som, at der kan opnås en højere QALY for flere penge.

10.2.3 Sammenfatning

Ved at kombinere de direkte og indirekte omkostninger, er omkostningerne ved behandling med Spinraza ikke blevet lavere ved sammenligning med BSC, som det først blev antaget. Dette gælder for både børn og voksne, dog er der kun en lille stigning på op til cirka

10.000 kroner i omkostningseffekten for voksne ved at inddrage indirekte omkostninger, mens der for børn cirka er en stigning i omkostningseffekten på op til cirka 120.000 kroner, afhængig af de tre prisniveauer. Analysens resultater indikerer, at det for børn er dyrere at opnå ekstra kvalitetsjusteret leveår, mens det er billigere for voksne at opnå ekstra kvalitetsjusteret leveår ved behandling med BSC fremfor Spinraza.

De voksne respondenters høje QALY, sammenlignet med QALY for børn i behandling med Spinraza, er beregnet ud fra de voksne respondenters længere levetid, og det vil derfor give et mere retvisende billede at sammenligne voksne uden behandling med Spinraza med voksne i behandling. Dette var dog ikke muligt for de danske SMA-patienter, idet Spinraza ikke er tilgængeligt for voksne i Danmark. Ud fra de voksnes sundhedstilstande og den sundhedstilstand, som børn i behandling med Spinraza befinder sig i, antages det, at de voksne vil have en højere QALY ved behandling med Spinraza end uden behandling for de samme antal år i deres nuværende sundhedstilstande. Børn i behandling har 0,7 kvalitetsjusteret leveår, mens de voksne i gennemsnit har 0,6 kvalitetsjusteret leveår. Hvis patienternes kvalitetsjusterede leveår blev ganget med samme antal år i sundhedstilstanden, vil patienter i behandling med Spinraza opnå den højeste QALY, hvilket vil medføre flere år med perfekt livskvalitet. Dette antages at kunne overføres til voksne, hvis de kunne modtage behandling med Spinraza.

Resultaterne af ICER for både de direkte og de direkte samt indirekte omkostninger viser, ligesom for Amgros' vurderingsrapport, at der er større omkostninger ved behandling med Spinraza end for BSC. Det der adskiller ICER-beregningerne fra Amgros vurdering af præparatet er, at omkostningerne er beregnet i forhold til effekten. Amgros' vurderer effekten af Spinraza ud fra de behandlingsrelaterede omkostninger uden at tage højde for omfanget af den forbedrede livskvalitet, hvorfor resultaterne af ICER-beregningerne ikke kan sammenlignes direkte med omkostningsanalysens resultater. Beregningen af ICER angiver kun et beløb per QALY og ikke en betalingsvillighed for Spinraza. Biogens omkostningsanalyse er heller ikke udregnet med en betalingsvillighed, men ved at opgøre omkostningerne med evidensen af effekten, er Medicinrådets betalingsvillighed faldet. Det angives ikke i Amgros' rapport, hvorvidt der er beregnet en QALY-effekt, men blot at der ikke er evidens nok for en effekt. Ud fra de beregnede ICER-værdier, er der en tydelig effekt på forskellen mellem børn og unge i behandling og uden behandling med Spinraza, dog er der en utydelig effekt mellem voksne uden behandling og børn og unge i behandling på grund af aldersforskellen.

11 Sundhedsøkonomisk prioritering

I foregående afsnit blev omkostningerne per QALY beregnet for behandling med præparatet Spinraza. I beregningerne var de sygdoms- og behandlingsrelaterede direkte omkostninger samt de indirekte omkostninger inkluderet. Biogens omkostningsanalyse for præparatet inkluderer kun de behandlingsrelaterede omkostninger efter anmodning fra

Medicinrådet, som ud fra deres metodevejledning angiver, at de kun ønsker disse omkostninger i analysen. De behandlingsrelaterede omkostninger spiller en væsentlig rolle i vurderingen af et præparat, da disse omkostninger danner grundlag for beslutningen om at anvende præparatet. Dog er det vigtigt at kigge på, hvilke øvrige omkostninger, der kan reduceres ved indførelse af det nye præparat.

De øvrige omkostninger, som Medicinrådet nedprioriterer, er blandt andet de sygdomsrelaterede omkostninger, som består af hjælpemidler, støtteordninger og overførselsindkomster. Disse omkostninger, opgjort i afsnit 9.1, er blot et udkast af de omkostninger, der kan være i forbindelse med en SMA-diagnose. Eftersom respondenterne kun udgør cirka ti procent af populationen, er der stor sandsynlighed for, at der er øvrige sygdomsrelaterede omkostninger, som ikke er medregnet i dette projekt. Andre øvrige omkostninger kan være indirekte omkostninger, som i dette projekt er beregnet som årlig indkomstændring, hvilket også betyder en tabt skatteindtjening for staten. En investering i et nyt præparat kan derfor mindske de sygdomsrelaterede omkostninger samt indirekte omkostninger. Dette vurderes ud fra, at præparatets effekt forbedrer SMA-patienternes funktionsevne, og dermed mindsker deres behov for blandt andet hjælpemidler og støtteordninger. Desuden mindskes deres behov for overførselsindkomster, hvis forbedringen er i en sådan grad, at SMA-patienterne kan indtræde på arbejdsmarkedet.

Effekten der forventes at kunne opnås med Spinraza er ukendt, da forbedringerne ses i forhold til flere parametre såsom SMA-typen og den sundhedstilstand patienterne er i ved begyndelse af behandlingen med Spinraza. Eftersom det er begrænset, hvor mange år SMA-patienterne, der er i behandling, har modtaget behandlingen, kendes den endelige effekt af præparatet ikke. Den research der hidtil har været, har bekræftet en bremsning af den videre udvikling af sygdommen, men også en signifikant forbedring af funktionsevnerne for andre (Sundhedspolitisk Tidsskrift, 2019c). Resultaterne af de foretagne ICER-beregninger i det foregående afsnit viser ikke den opnåede effekt fra det enkelte individ inden behandling og til efter behandling, men blot forskellen mellem et individ med behandling og et uden behandling. I spørgeskemaet blev der spurgt ind til respondenternes sundhedstilstande før og efter medicinsk behandling, hvor der kunne ses en forbedret sundhedstilstand blandt de børn, som modtager Spinraza. Ud fra besvarelserne kunne der ses stor difference mellem effekten af præparatet og børnenes sundhedstilstand inden behandlingen med Spinraza. Efter uddybelse fra en forælder til et barn i behandling med Spinraza, blev effekten beskrevet som fremragende og uundværlig for barnets trivsel. Den forbedrede effekt kan ikke måles direkte ved hjælp af QALY, hvorfor Muskelsvindfonden peger på, om ikke det kunne være muligt at stille svagere krav til den statistiske evidens ved sjældne sygdomme, da stærk evidens kræver mange patienter, hvilket der ikke er for denne sygdomsgruppe (Det Ethiske Råd, 2018). Desuden er der diskussion i Det Ethiske Råd om, hvorvidt omkostninger skal trumfe alle andre overvejelser (Greisen G., Jørgensen P. E., 2019). Beregningen af QALY er derfor ikke den mest optimale metode til

at opgøre effekten af præparatet, selvom det i bestyrelsen i Danske Regioner er besluttet, at QALY skal anvendes som beregning forud for vurderingen af alle nye præparater som standardbehandling i Medicinrådet fra oktober 2020 (Sundhedspolitisk Tidsskrift, 2019b). Selvom QALY ikke er optimal til at beregne sundhedstilstanden for patienter i alle sygdomsgrupper, er den et nyttigt værktøj til at sammenligne sundhedstilstande på tværs af sygdomsgrupper (Pedersen, 2017).

Medicinrådet foretager i forvejen beslutningen om at indføre et præparat som standardbehandling ud fra syv principper om prioritering, som er tiltag rettet mod at dæmpe de stigende priser for medicin samt sikre patienter behandling af høj faglig kvalitet (Sundheds- og Ældreministeriet, 2016). Beregningen af QALY skal blot være endnu et værktøj til prioriteringen, men de syv principper skal stadig følges (Sundhedspolitisk Tidsskrift, 2019b). De syv principper for prioritering er faglighed, uafhængighed, geografisk lighed, åbenhed, hurtig ibrugtagning af ny effektiv medicin, mere sundhed for pengene og adgang til behandling (Sundheds- og Ældreministeriet, 2016).

Omkostningerne for et nyt præparat modregnes af den livskvalitet, der opnås ved anvendelse. Jo større forbedringen af livskvaliteten er, jo billigere vil omkostningerne til præparatet være, eftersom de øvrige omkostninger reduceres. Dog kan omkostningerne, ligesom det er tilfældet for præparatet Spinraza, stadig være høje til trods for en betydelig ændring i livskvaliteten. Dette skyldes, at patienterne ikke opnår fuld bevægelighed, og de har derfor stadig behov for forskellige hjælpemidler og støtteordninger. I denne situation vil anbefalingen af præparatet gives ud fra Medicinrådets betalingsvillighed. I Danmark er der ingen officiel grænse for betalingsvilligheden for et præparat, eftersom der arbejdes ud fra princippet om at sikre mest mulig sundhed for pengene (Sundheds- og Ældreministeriet, 2016). I andre lande er der officielle betalingsgrænser såsom i England, hvor National Institute of Clinical Excellence (NICE) har en fastsat grænseværdi på 20.000 - 30.000 pund, som andre lande også benytter som grænse for deres betalingsvillighed (Pedersen, 2017).

Betalingsvilligheden er betinget af prioriteringen i sundhedsvæsenet som følge af begrænsede ressourcer. Udover omkostninger som et prioriteringsredskab er evidens af effekten et andet redskab, som behandlingen vurderes ud fra (Muskelsvindfonden, 2017). Høje omkostninger og lav evidens af behandlingseffekten nedprioriterer en behandling, hvor det omvendte er gældende for høj evidens og lave omkostninger. Til trods for en prisreduktion af Spinraza, vurderer Medicinrådet stadig, at omkostningerne er høje i forhold til den lave evidens. Dette skal formodentlig revurderes i Medicinrådet til juni 2020, eftersom et tysk studie har fremvist større evidens for effekten ved behandling med Spinraza for især voksne SMA-patienter (se bilag) (Skeem, M., 2020)(Medicinrådet, 2020a).

I sundhedsvæsenet prioriteres større diagnosegrupper frem for små sjældne diagnosegrupper, idet behandlingen til disse grupper er relativt billigere grundet den større efterspørgsel. Prisen på nye behandlinger sættes efter de omkostninger, der har været ved

udviklingen, det forventede salg samt en profit. SMA kategoriseres som en af de små diagnosegrupper, idet der i Europa blot er 25.000 mennesker ud af 800 millioner europæere med diagnosen (Sundhedspolitisk Tidsskrift, 2019a). Et tilvalg af en dyr behandling til en lille diagnosegruppe, kan betyde et fravalg af en behandling til en større diagnosegruppe, hvor flere patienter eventuelt kan behandles for de samme omkostninger. Der er dog mulighed for at en mindre diagnosegruppe kan tilvælges, uden det skal være på bekostning af andre diagnosegrupper. Ifølge tidligere regionsrådsformand for Region Syddanmark og næstformand for Danske Regioner, Carl Holst, er det, ved at effektivisere i sundhedsvæsenet, således at ressourcerne fordeles effektivt, muligt at vælge behandlinger til uden at fravælge andre (Kristensen, T.; Pedersen, L. B og Olsen, K. R., 2013). Det er nemmere at effektivisere for de større diagnosegrupper, da der er mulighed for at minimere omkostningerne inden for visse områder ved at forene proceduren for behandlingen. Effektivisering kan også være forebyggelse af sygdomme og nedbringelse af fejl i sundhedsvæsenet (Kristensen, T.; Pedersen, L. B og Olsen, K. R., 2013). Desuden er effektivisering godt i forhold til at kunne prioritere flere behandlinger, men det kan dog også forværre kvaliteten af behandlingen, hvorfor det ikke nødvendigvis er en bedre fremgangsmåde.

Eftersom der er begrænsede ressourcer, kan rationering også være nødvendigt, hvis der kun er råd til, at et vis antal patienter bliver behandlet (Kristensen, T.; Pedersen, L. B og Olsen, K. R., 2013). Ifølge Mads Koch Hansen, tidligere formand for Lægeforeningen, skal der prioriteres de mennesker, der har størst behov for behandlingen, hvis ikke der er behandling til alle (Kristensen, T.; Pedersen, L. B og Olsen, K. R., 2013). Men kan denne rationering beskrives som at være etisk korrekt? Bør alle ikke have lige adgang til sundhedsvæsenet? Og bør alle, der har behov for en behandling, ikke tilbydes den, uanset prisen og graden af sygdommen? Medicinrådet har rationeret Spinraza, således behandlingen kun er tilgængelig for patienter med det største behov. Med denne vurdering af SMA-behandlingen, anses ikke alle SMA-patienters behov for at være ens, og der opleves derfor en forskelsbehandling blandt patienterne på trods af, at der burde være lige adgang til det danske sundhedsvæsen. Medicinrådet anerkender ikke behovet for behandling til alle SMA-patienter, eftersom de beregner den forbedrede livskvalitet ud fra patienternes nuværende sundhedstilstande uden at tage højde for, at patienternes sundhedstilstande forværres uden behandling (Det Etiske Råd, 2018). Muskelsvindfonden ser derfor et større behov for, at alle SMA-patienter kan behandles med Spinraza, selvom Medicinrådet ikke anbefaler præparatet til alle SMA typer. De tre typer af SMA er forskellig i udviklingen og graden af sygdommen, hvorfor det kan antages, at ikke alle SMA-patienter har behov for behandling i samme omfang. SMA-type III udvikler sig langsomt, hvorfor patienter med denne sygdom kan opnå en almindelig levealder samt en langsommere udvikling af den nedsatte funktionsevne, end patienter med SMA-type I og II.

Prioriteringen indenfor sundhed ved kun at gøre Spinraza tilgængelig for en mindre gruppe af SMA-patienter, kan føre til, at patienter og pårørende søger behandling i udlandet. Dette er dog kun muligt for ressourcestærke patienter eller patienter, der er optaget i et forsøg. En patient med SMA-type I modtager Spinraza i Belgien, og han foretager turen sydpå hver fjerde måned, eftersom han ikke opfylder kriterierne for behandling i Danmark. Patienten er 19 år gammel og betydelig ældre end den aldersgrænse, som Medicinrådet har fastsat, samt, at han anvender respirator (Muskelsvindfonden, 2019). Til trods for Medicinrådets vurdering om, at Spinraza ikke burde have stor effekt, har patienten oplevet en betydelig forbedring af livskvaliteten. Andre patienter har også oplevet en klar forbedring af deres livskvalitet, hvor funktionstab genvindes, og dermed opnås en større selvstændighed. Omfanget af forbedringerne har ikke været nok til at overbevise Medicinrådet om en signifikant effekt af behandling med Spinraza. I Medicinrådets rapportering for deres beslutningsgrundlag vedrørende Spinraza er udregningerne for effekten og evidensen tilgængelige, men meget af teksten er overstreget, hvorfor det er svært at tolke resultaterne. Rapporten er den samme som EMA modtog, og det er muligt, at det er derfor, der er overstregninger. Den beregnede effekt og Medicinrådets mål for effekten angives derfor ud fra Biogens høringssvar ved behandlingen af Spinraza i Medicinrådet i 2018 (Medicinrådet, 2018). Ud fra Biogens høringssvar efter den første behandling af Spinraza i Medicinrådet, ønsker Medicinrådet, at det kliniske mål for merværdi skal udgøre 15 point, hvilket Biogen er uforstående overfor (Medicinrådet, 2018). Biogen pointerer, at den kliniske merværdi på fire point, opnået ud fra patienternes nuværende sundhedstilstand og 15 måneder frem, ikke blot er en gevinst på fire point, men en fremgang på 5,9 point, eftersom patienterne, der ikke var i behandling, havde lidt et tab på 1,9 point i løbet af de 15 måneder. Derudover udarbejdede Biogen oprindelig omkostningsanalysen ud fra en tidsperiode på 24 måneder i stedet for 15 måneder, hvilket kunne have påvist en større klinisk merværdi af præparatet. Eftersom Spinraza skal gives seks gange det første år og kun tre gange årligt i de efterfølgende år, vil omkostningerne fordeles over en længere tidsperiode, og omkostningseffektiviteten ville derfor forbedres.

Der er således flere aspekter at tage højde for ved beslutningen om at anbefale Spinraza som en standardbehandling for SMA-diagnosen. Ovenfor er blot udtrykt et par af de aspekter, der er, men der er sandsynligvis flere aspekter at medtage i overvejelserne. Udover prisen, omkostningerne, prioritering med mere, er der også det aspekt, at der ikke er alternative behandlinger tilgængelige for SMA-patienter i Danmark. Der er dog et nyt præparat på vej, kaldt Zolgensma, som i maj 2020 er blevet godkendt i EMA, og det forventes, ifølge Muskelsvindfonden, at blive behandlet i Medicinrådet næste år (EMA, 2020).

12 Konklusion

Formålet med dette projekt var at belyse, hvilke sundhedsøkonomiske vurderinger der kan inddrages i beslutningen om at give Spinraza som standardbehandling til SMA-patienter. Udover de direkte behandlingsrelaterede omkostninger, som Biogen har inddraget i sin omkostningsanalyse, blev de direkte sygdomsrelaterede og indirekte omkostninger inddraget. Omkostningerne ved behandling med Spinraza blev i dette projekt beregnet i forhold til respondenternes sundhedstilstande og ikke blot som en omkostningsanalyse. Ligesom i omkostningsanalysen, blev præparatet sammenlignet med BSC, hvilket angav forskellen i omkostninger per vunden QALY.

Biogens omkostningsanalyse er baseret på beregning af omkostningerne for SMA-type I samt SMA-type II og III for en 24-måneders periode. Analysen inkluderede de direkte behandlingsrelaterede omkostninger, som er forbundet med behandling med Spinraza. Disse omkostninger beregnes for BSC og Spinraza+BSC. Effekten af Spinraza er i Biogens høringssvar opgivet til at være fire point ud af et mål fra Medicinrådets side på 15 point. I dette projekt er effekten ikke opgjort i point men i livskvalitet (QALY). Projektet inddrager både direkte sygdoms- og behandlingsrelaterede omkostninger samt indirekte omkostninger for behandling med BSC og Spinraza+BSC. Da der ville kigges på en større effekt af præparatet, blev der beregnet ICER for børn og unge (under 18 år) samt voksne for en 36 måneders tidsperiode. Resultaterne af ICER er vidt forskellige for de to aldersgrupper, som viste, at meromkostningerne ved at behandle med Spinraza er mindre for voksne end for børn. Dog er det dyrere for begge aldersgrupper at behandle med Spinraza frem for BSC, hvilket resultaterne af Biogens omkostningsanalyse også viser. Biogen angiver, de direkte behandlingsrelaterede omkostninger ved Spinraza udgør cirka 5,6 millioner kroner for en 24 måneders periode, mens beregningerne for ICER angiver de direkte og indirekte omkostninger til at være cirka 4,5 millioner kroner for en 36 måneders periode. ICER beregner omkostningerne i forhold til livskvaliteten, hvorfor omkostningerne er beregnet til at være mindre for en længere periode. Biogen beregner derimod omkostningerne og effekten separat, således omkostningerne ikke ses i forhold til den opnåede QALY, men i stedet for i forhold til den opnåede effekt for perioden. På mange punkter er det usikkert at sammenligne Amgros' vurdering af præparatet med projektets resultater af ICER, da grupperingen og måleenhederne for effekten er forskellig opgjort. Et fælles resultat af de to analyser er, at Spinraza er mere omkostningsfuldt end behandling med BSC. Dog viser ICER, at Spinraza har en klar effekt for specielt voksne, men også børn, hvilket ikke stemmer overens med Amgros' vurdering af evidensen for effekten.

Det er svært at inddrage alle relevante omkostninger forbundet med sygdommen, hvilket skaber en usikkerhed i resultaterne. Flere omkostninger er ikke opgjort i forhold til sygdomsgruppen, hvorfor der er stor usikkerhed i de priser, der er opgjort som omkostninger. Derudover har det ikke været muligt at inkludere alle relevante omkostninger i analysen, som for eksempel støtte til ombygning, da der ikke findes opgjorte omkostninger

på dette uanset sygdomsgruppe. Der er derfor usikkerhed forbundet med de opnåede resultater, hvorfor der blev beregnet ICER for tre prisniveauer for at regulere usikkerheden. Dog kan der stadig forekomme usikkerhed omkring omkostninger på grund af priserne på hjælpemidler, da det antages, at kommuner og regioner kan forhandle sig til en billigere pris end markedsprisen. Dette vil ikke nødvendigvis påvirke resultatet af ICER, medmindre rabatten er forskellig i forhold til de hjælpemidler, patienterne gør brug af. Derudover er der en usikkerhed i beregningerne af ICER, da støtteordningen 'støtte til ombygning' ikke indgår. Ud af spørgeskemaets respondenter har dette kun været en omkostning for de respondenter, som ikke modtager behandling med Spinraza. Dette betyder derfor, at omkostningerne ved at behandle med Spinraza kan være mindre ved inddragelse af flere relevante omkostninger. Derved holder antagelsen om, at nogle omkostninger vil mindskes for patienter med SMA, hvis de modtager behandling med Spinraza.

I projektet er der desuden usikkerhed omkring målingen af respondenternes sundhed. Eftersom forældre til børn og unge har besvaret spørgsmålene på deres vegne, kan den vurderede sundhedstilstand være forskellig fra barnets egen opfattelse. Yderligere kan respondenterne have forskellige smertetærskler og referencerammer, hvorfor deres rangering af sundhedstilstande kan svinge for den samme sundhedstilstand. QALY er derfor ikke nødvendigvis den bedste opgørelsesmetode af sundhedstilstande for SMA-patienterne. I stedet for at opgøre sundhedstilstande som måleenheder, kan overvejelser omkring sygdommen og dens gradvise negative udvikling betragtes i stedet, eller kravene til den statistiske evidens af effekten kan mindskes for sjældne diagnosegrupper.

Økonomisk set vil behandlingen med Spinraza, ud fra ICER-beregningerne, medføre yderligere omkostninger til sygdomsgruppen, men til gengæld vil SMA-patienterne få mere livskvalitet. Ud fra en COI-beregning kan det ses, hvor stor en indirekte udgift SMA-patienter udgør for staten. Der er derfor tab for staten via direkte og indirekte omkostninger, men ved en forbedring i livskvaliteten ved behandling med Spinraza, kan disse omkostninger muligvis reduceres.

Omkostningerne for medicin til sjældne diagnosegrupper vil i mange tilfælde være højere end for større diagnosegrupper, da markedet er mindre, og der derfor ikke kan sælges medicin i ligeså stort et omfang. De fleste medicinalvirksomheder forsker i medicin til større diagnosegrupper, da de således er sikret en større profit, eftersom der er flere, der efterspørger behandlingen.

Det kan diskuteres, om det er etisk korrekt at bedømme sjældne diagnosegrupper ud fra de omkostninger, der er forbundet med behandlingen, da prisen forventes at være højere end for de større diagnosegrupper. Vil det ikke være mere etisk korrekt at bedømme diagnosegrupperne ud fra den vundne livskvalitet? Små diagnosegrupper oplever forskelsbehandling, fordi der ikke er råd til de højere omkostninger, som behandling til de små diagnosegrupper koster. Prioritering mellem diagnosegrupperne er derfor svært indenfor budgetrestriktionerne, da der skal opnås mest sundhed for færrest penge, og der kan behandles flere patienter i større diagnosegrupper end for de små diagnosegrupper.

Problemstillingen vedrørende nedprioritering af behandling grundet for høje omkostninger for SMA ses også hos andre små sjældne diagnosegrupper. Det kan derfor være interessant at se, hvordan disse andre sjældne diagnosegrupper forholder sig til denne problemstilling. Der kunne også sammenlignes med andre europæiske lande, som også tilbyder Spinraza, og således kigge på deres proces forud for vurderingen af præparatet, samt hvilke aspekter de har lagt vægt på.

Ved at sammenligne med andre europæiske lande, vil forskellen i sundhedssystemt kunne være forklaringen på forskellen i tilgængeligheden af Spinraza. Eksempelvis har flere europæiske lande brugerbetaling, hvilket kan gøre en beslutning om at indføre dyrere præparater nemmere. I andre lande betaler forsikring for ens lægebesøg og medicinbehandling, hvilket mindsker sammenligneligheden med Danmark, hvor staten betaler alle udgifter.

En anden vinkel på projektet kunne have været at kigge på prisfastsættelsen ud fra markedsstørrelsen og konkurrencen på markedet. Biogen har indtil for nyligt, hvor Zolgensma kom på markedet, haft monopol på behandling af SMA-patienter, hvilket kan forårsage høje priser. Derudover skal medicinalvirksomheden have dækket sine omkostninger til udviklingen af præparatet, hvilket kan påvirke til en høj pris.

Litteratur

- Amgros (2017). *SPINRAZA (NUSINERSEN)*. <https://www.amgros.dk/media/1888/afrapportering-spinraza-nusinersen-til-sma.pdf>. Tilgået den 18. april 2020.
- Andersen, T. og Vilhelmsen A. (2016). *Model for vurdering af lægemidler*. <https://medicinraadet.dk/media/bqfhyn5a/ad-pkt-4-danske-regioners-model-vurdering-af-laegemidler-april-2016-final-a.pdf>. Tilgået den 23. april 2020.
- Bandagist-Centret A/S (2016). *Prisliste Fodtøj fra 1. februar 2015 tom 31. januar 2016*. <http://tryk.jammerbugt.betaworkers.dk/media/3181306/bandagist-centret-ortopaedisk-fodtoej-prisliste-01022015.pdf?fbclid=IwAR0H0Jz1DibRkcj0FV4XqZccg7X1ox-BNBxB6MIp4c3KQrvXMcwKYkHqjz0>. Tilgået den 8. maj 2020.
- CPAPstore.eu (2017). *Transcend 3 miniCPAP Auto, Somnetics*. <https://www.cpapstore.eu/shop/cpap-bipap-machines/cpap-machines/travel-cpap/transcend-3-minicap-auto/>. Tilgået den 10. maj 2020.
- Danmarks Statistik (2015). *Rekordstort antal enlige voksne*. <https://www.dst.dk/da/Statistik/nyt/NytHtml?cid=19041>. Tilgået den 11. maj 2020.
- Danmarks Statistik (2020). *Gennemsnitsdanskeren*. <https://www.dst.dk/da/Statistik/Publikationer/gennemsnitsdanskeren>. Tilgået den 10. maj 2020.
- Danske Regioner (2015). *KOMMISSORIUM FOR MEDICINRÅDET*. <https://www.regioner.dk/media/4120/kommissorium-for-medicinraadet.pdf>. Tilgået den 27. maj 2020.
- Deltidsansat.dk (2020). *Beregn løn for deltid*. <https://www.deltidsansat.dk>. Tilgået den 10. maj 2020.
- Det Etske Råd (2018). *Spinal muskelatrofi (SMA))*. https://www.etiskraad.dk/~media/Etisk-Raad/Etiske-Temaer/Sundhedsvaesenet/Prioritering/Case_SMA.pdf?la=da. Tilgået den 26. maj 2020.
- EMA (2020). *Zolgensma*. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/zolgensma>. Tilgået den 29. maj 2020.
- Erhvervsministeriet (2016). *Slut med tilskud til el-cykler*. <https://em.dk/media/10291/6-ungdomsuddannelser.pdf>. Tilgået den 14. maj 2020.
- European Medicine Agency (2020). *New gene therapy to treat spinal muscular atrophy*. https://www.ema.europa.eu/en/documents/press-release/new-gene-therapy-treat-spinal-muscular-atrophy_en.pdf. Tilgået den 28. april 2020.

-
- European Medicines Agency (2018). *Newborn Screening for Spinal Muscular Atrophy*. https://www.ema.europa.eu/en/documents/overview/spinraza-epar-summary-public_da.pdf. Tilgået den 17. marts 2020.
- Forskningscenter for Forebyggelse og Sundhed (2016). *Omkostninger til kommunale sundheds- og omsorgsydelser*. <https://www.regionh.dk/presse-og-nyt/pressemeddelelser-og-nyheder/Documents/Omkostninger%20til%20kommunale%20sundheds-og%20omsorgsydelser.pdf>. Tilgået den 12. maj 2020.
- Gigtforeningen (2016). *Slut med tilskud til el-cykler*. <https://www.gigtforeningen.dk/nyheder/2016/2-halvaar/slut-med-tilskud-til-el-cykler/>. Tilgået den 13. maj 2020.
- Greisen G., Jørgensen P. E. (2019). *Kan vi blive tydeligere omkring prioritering?* <https://www.rigshospitalet.dk/presse-og-nyt/nyheder/nyheder/Sider/2019/januar/kan-vi-blive-tydeligere-omkring-prioritering.aspx>. Tilgået den 28. maj 2020.
- Hjælpemiddelbasen (2020a). *Dondolino*. <https://hmi-basen.dk/r11x.asp?linkinfo=22940&art0=54511&art1=54512&art2=54513&nart=3>. Tilgået den 12. maj 2020.
- Hjælpemiddelbasen (2020b). *Four-X el-kørestol*. <https://hmi-basen.dk/r11x.asp?linkinfo=15525&art0=41170&art1=41172&nart=2><https://hmi-basen.dk/r11x.asp?linkinfo=15525&art0=41170&art1=41172&nart=2>. Tilgået den 12. maj 2020.
- Hjælpemiddelbasen (2020c). *Gribetang*. <https://hmi-basen.dk/r11x.asp?linkinfo=56256&art0=108325&art1=108327&art2=108328&nart=3>. Tilgået den 12. maj 2020.
- Hjælpemiddelbasen (2020d). *Løvægtsgribetang, aktiv*. <https://hmi-basen.dk/r11x.asp?linkinfo=58760&art0=109533&art1=109540&art2=109541&art3=109543&art4=109544&nart=5>. Tilgået den 12. maj 2020.
- Hjælpemiddelbasen (2020e). *Ormesa ståstøttestativ Standy*. <https://hmi-basen.dk/r11x.asp?linkinfo=10877&art0=30879&art1=30880&nart=2>. Tilgået den 12. maj 2020.
- HRSA (2018). *Newborn Screening for Spinal Muscular Atrophy*. <https://www.hrsa.gov/sites/default/files/hrsa/advisory-committees/heritable-disorders/rusp/previous-nominations/sma-consumer-summary.pdf>. Tilgået den 16. marts 2020.
- Jespersen, S. T. (2020). *Så små diagnosegrupper bliver sorteper*. <https://muskelsvindfonden.dk/nyheder/smaa-diagnoser-bliver-gidsler-i-prioritering-af-medicin/>. Tilgået den 24. maj 2020.

-
- Kristensen, T.; Pedersen, L. B og Olsen, K. R. (2013). *Brugerbetaling i almen praksis: Hvad vil der ske, hvis vi indfører brugerbetaling hos den praktiserende læge?* <https://muskelsvindfonden.dk/nyheder/spinraza/>. Tilgået den 12. april 2020.
- Mahoney, A. (2019). *Forskning i medicin mod SMA*. <https://rcfm.dk/forskning/neuromuskulaer-forskning/oversigt-over-forskning-i-medicin-til-sma/>. Tilgået den 13. marts 2020.
- Medicinrådet (2017). *Medicinrådets anbefaling vedrørende nusinersen som standardbehandling til patienter med 5q spinal muskeltrofi*. Tilgået den 14. marts 2020.
- Medicinrådet (2018). *Baggrund for medicinrådets anbefaling vedrørende nusinersen til patienter med 5q spinal muskeltrofi*. Tilgået den 28. april 2020.
- Medicinrådet (2018). *Medicinrådets anbefaling vedrørende nusinersen som standardbehandling til patienter med 5q spinal muskeltrofi*. https://medicinraadet.dk/media/vwmbswri/medicinraadets-anbefaling-vedr-nusinersen-spinraza-30_adlegacy.pdf?fbclid=IwAR0vD3Kd1he4ms5ACZ8SKIX2N5A_K1ztEF0S_W1lTjgJ0zMbe1DQH0GUZZ0. Tilgået den 28. april 2020.
- Medicinrådet (2020a). *Medicinrådet arbejder videre med Spinraza-sag*. <https://medicinraadet.dk/nyheder/2020/medicinradet-arbejder-videre-med-spinraza-sag>. Tilgået den 19. maj 2020.
- Medicinrådet (2020b). *Metodevejledning for omkostningsanalyser af nye lægemidler og indikationer i hospitalssektoren*. https://medicinraadet.dk/media/jgbiri0j/metodevejledning-for-omkostningsanalyser-af-nye-l\0T1\ægemedler-og-indikationer-i-hospitalssektoren-vers-1-6_adlegacy.pdf. Tilgået den 7. maj 2020.
- Medicinrådet (2020c). *Om os: Et uafhængigt råd*. <https://medicinraadet.dk/om-os>. Tilgået den 23. april 2020.
- Muskelsindfonden (2015). *Spinraza forløbet kort*. <https://muskelsvindfonden.dk/spinraza-forloebet-kort/>. Tilgået den 27. maj 2020.
- Muskelsvindfonden (2017). *Vi giver ikke op*. <https://muskelsvindfonden.dk/nyheder/spinraza/>. Tilgået den 28. april 2020.
- Muskelsvindfonden (2019). *Magnus rejser til Belgien for at få medicin*. <https://muskelsvindfonden.dk/nyheder/magnus-rejser-til-belgien-for-at-faa-medicin/>. Tilgået den 26. maj 2020.
- Muskelsvindfonden (2020a). *Hvad er muskelsvind?* <https://muskelsvindfonden.dk/om-muskelsvind/hvad-er-muskelsvind/>. Tilgået den 27. februar 2020.

-
- Muskelsvindfonden (2020b). *Læger kan snart søge om medicinsk behandling til mennesker med SMA type 2*. <https://muskelsvindfonden.dk/nyheder/laeger-kan-snart-soege-om-medicinsk-behandling-mod-sma-til-baade-boern-og-voksne/>. Tilgået den 28. april 2020.
- Muskelsvindfonden (2020c). *Sygdomsbeskrivelser*. <https://muskelsvindfonden.dk/om-muskelsvind/sygdomsbeskrivelser/>. Tilgået den 27. februar 2020.
- Pedersen, K. M. (2017). *Sundhedsøkonomi*. Forfatteren og Munksgaard, first edition.
- Poetz, A. og Hoch, J. S. (2006). *Understanding Cost-utility Analysis in Health Care*. Tilgået den 7. april 2020.
- RCFM (2018a). *Spinal muskelatrofi type 1 (SMA 1)*. <https://rcfm.dk/diagnoser/spinal-muskelatrofi/spinal-muskelatrofi-1-sma-1/>. Tilgået den 23. marts 2020.
- RCFM (2018b). *Spinal muskelatrofi type 2 (SMA 2)*. <https://rcfm.dk/diagnoser/spinal-muskelatrofi/spinal-muskelatrofi-11-sma-11/>. Tilgået den 23. marts 2020.
- RCFM (2018c). *Spinal muskelatrofi type 3 (SMA 3)*. <https://rcfm.dk/diagnoser/spinal-muskelatrofi/spinal-muskelatrofi-111-sma-111/>. Tilgået den 23. marts 2020.
- RCFM (2019). *Formål*. <https://rcfm.dk/om-rcfm/formaal/>. Tilgået den 17. marts 2020.
- ResMed (2020). *AirSense 10 m/fugter*. <https://butik.resmedmaribo.dk/webshop/single/vis/airsense-10-autoset-mfugter/>. Tilgået den 12. maj 2020.
- Sahva (2020). *Priser på korsetter*. Tilgået den 15. maj 2020.
- Seniorhåndbogen (2020). *Medicinrådet arbejder videre med Spinraza-sag*. <https://seniorhaandbogen.dk/pension/folkepension/pensionsalder/>. Tilgået den 23. maj 2020.
- Skeem, M. (2020). *Ny forskning skaber håb om genbehandling af Spinraza i Medicinrådet*. <https://propatienter.dk/nyheder/2839-ny-forskning-skaber-hab-om-genbehandling-af-spinraza-i-medicinradet.html>. Tilgået den 23. april 2020.
- SMA News Today (2020). *Risdiplam (Formerly RG7916)*. <https://smanewstoday.com/rg7916-rg7800-roche-ptc-smaf>. Tilgået den 29. april 2020.
- Social- og Indenrigsministeriet (2019). *Socialpolitisk Redegørelse*. https://sim.dk/media/37764/socialpolitisk_redegoerelse_2019.pdf?fbclid=IwAR1AyxZKDOKxnPlA8pI4Z7ytNP1zXoSGxmdJe-5w0kmxN11SKP9QxVoetwI. Tilgået den 10. maj 2020.

-
- Socialstyrelsen (2020). *Skema over sammenhæng mellem ydelser, tilbud, paragraffer og kontoplansnumre*. https://socialstyrelsen.dk/filer/tvaergaende/vum/link-bilag_1_ydelser-paragraffer-og-kontonumre-1.pdf?fbclid=IwAR0qWvcmlpOUgyN2v8VNKRYuFBlqxi0KyMoL4cma7C7YPy4LWF0Zl369x14. Tilgået den 10. maj 2020.
- Sundhed.dk (2020). *Hjælpemidler, forbrugsgoder og boligændringer*. <https://www.sundhed.dk/borger/patienthaandbogen/social-e-ydelser/social-e-ydelser/hjaelpemidler/hjaelpemidler-forbrugsgoder-og-boligaendringer/>. Tilgået den 13. maj 2020.
- Sundheds- og Ældreministeriet (2016). *Princippapir om prioritering for sygehuslægemidler*. <https://www.regioner.dk/media/1285/folketingets-principper-for-vurdering-af-laegemidler.pdf>. Tilgået den 26. maj 2020.
- Sundhedspolitisk Tidsskrift (2019a). *Formand for Muskelsvindfonden: "I Danmark står vi nærmest ved år nul i behandlingen af SMA"*. <https://sundhedspolitisktidsskrift.dk/nyheder/2373-formand-for-muskelsvindfonden-i-danmark-star-vi-naermest-ved-ar-nul-i-behandlingen-af-sma.html>. Tilgået den 26. maj 2020.
- Sundhedspolitisk Tidsskrift (2019b). *Medicinrådet overgår til QALY om et år*. <https://sundhedspolitisktidsskrift.dk/nyheder/2750-medicinraadet-overgar-til-qaly-om-et-ar.html>. Tilgået den 28. maj 2020.
- Sundhedspolitisk Tidsskrift (2019c). *Nye data viser god langtidseffekt af Spinraza*. <https://sundhedspolitisktidsskrift.dk/nyheder/2511-nye-data-viser-god-langtids-effekt-af-spinraza.html>. Tilgået den 26. maj 2020.
- Sundhedspolitisk Tidsskrift (2019d). *Storbritanien i kovending: Anbefaler nu Spinraza til alle patienter*. https://sundhedspolitisktidsskrift.dk/nyheder/2155-storbritannien-i-kovending-anbefaler-nu-spinraza-til-alle.html?fbclid=IwAR0Kbx_wHxo9_6ox0zuU-c_0tw0aMc2XB0CfflCVhzoetS_iRkk.b6-zSfk. Tilgået den 23. april 2020.
- Swemed (2020a). *Elektrisk kørestol A3 – Foldbar – Kan køres manuelt*. https://swemed.dk/27563/koerestole-og-gangstativer/foldbare-koerestole/elektrisk-korestol-a3-foldbar-kan-kores-manuelt/?gclid=EAIaIQobChMIxsW2qvIt6QIVQrUYCh37GQAYEAQYAyABEgK31PD_BwE. Tilgået den 12. maj 2020.
- Swemed (2020b). *Hospitalssenge*. <https://swemed.dk/butik/hospitalssenge-og-madrasser/hospitalssenge/>. Tilgået den 12. maj 2020.
- The CPAP clinic (2020). *BiPAP*. <https://www.thecpapclinic.com.au/cpap-machine/bipap-vpap-machine>. Tilgået den 12. maj 2020.

Torpegaard, H. (2019). *Verdens dyreste medicin godkendt*. <https://sundhedspolitisktidsskrift.dk/nyheder/1098-gratis-spinraza-behandling-i-udlandet-er-slut-sadan-har-magnus-det-nu.html>. Tilgået den 17. marts 2020.

Vela (2020). *Arbejdsstole*. Tilgået den 12. maj 2020.

Vitality medical (2020). *Philips Respironics E70 Cough Assist*. <https://www.vitalitymedical.com/respironics-cough-assist.html>. Tilgået den 12. maj 2020.

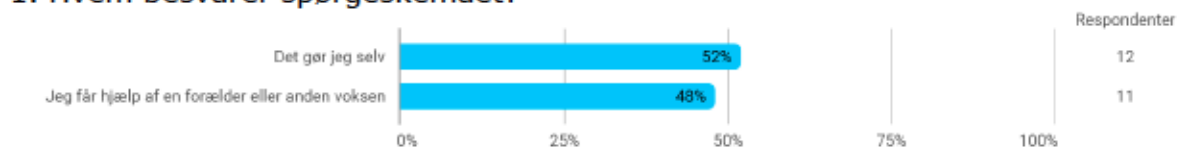
WHO (2011). *Designing the road to better health and well-being in Europe*. http://www.euro.who.int/__data/assets/pdf_file/0003/152184/RD_Dastein_speech_wellbeing_07Oct.pdf. Tilgået den 18. marts 2020.

Ældresagen (2020). *Førtidspension: Kend regler og satser for førtidspension 2020*. <https://www.aeldresagen.dk/viden-og-raadgivning/penge-og-pension/foertidspension>. Tilgået den 10. maj 2020.

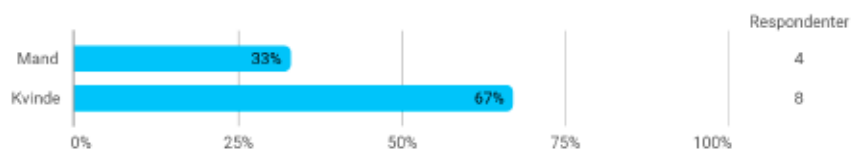
13 Bilag

Bilag 1 - Spørgeskema om SMA

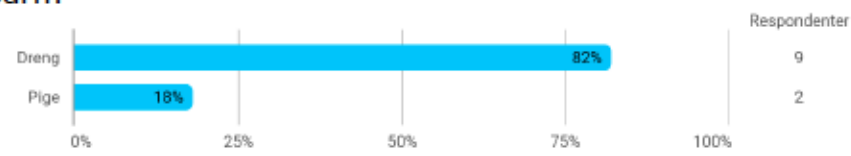
1. Hvem besvarer spørgeskemaet?



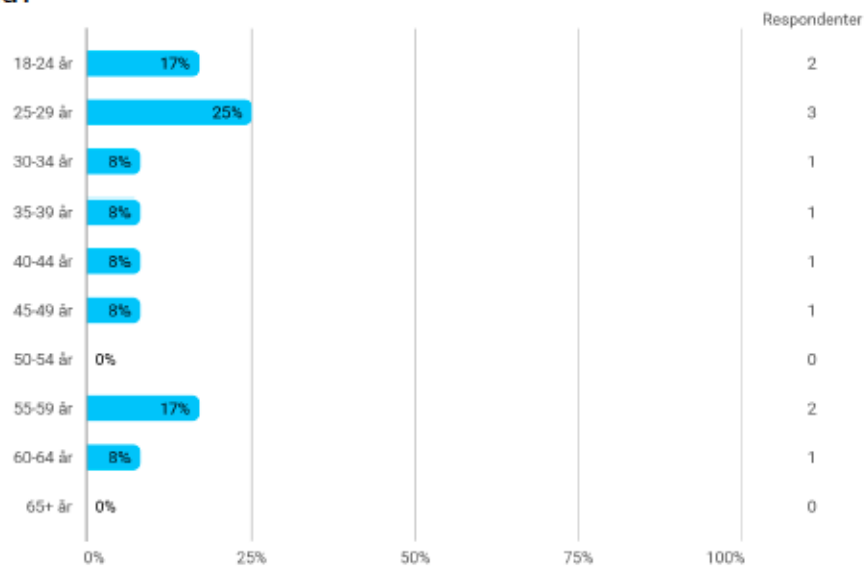
2. Hvilket køn er du?



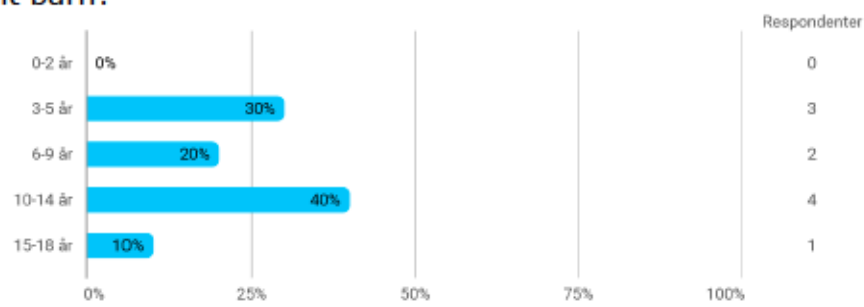
3. Hvilket køn er dit barn?



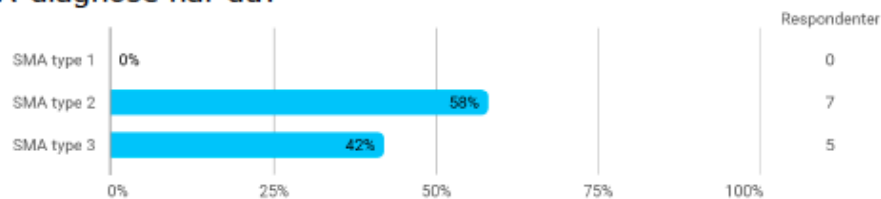
4. Hvor gammel er du?



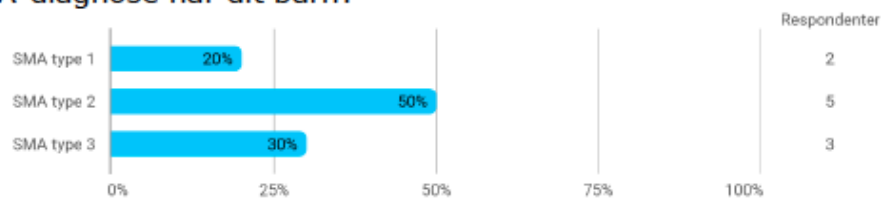
5. Hvor gammel er dit barn?



6. Hvilken type SMA-diagnose har du?



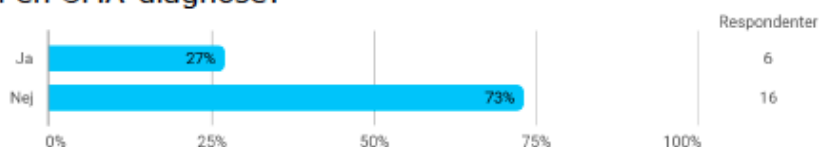
7. Hvilken type SMA-diagnose har dit barn?



8. Hvor gammel var du, da du fik diagnosen?

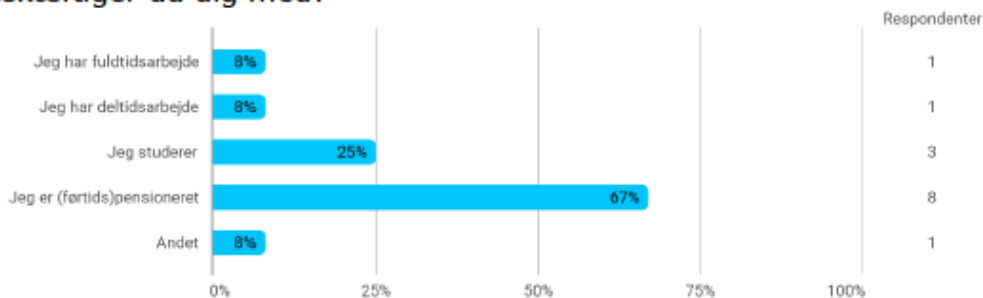
9. Hvor gammel var dit barn, da han/hun fik diagnosen?

10. Har andre i familien en SMA-diagnose?

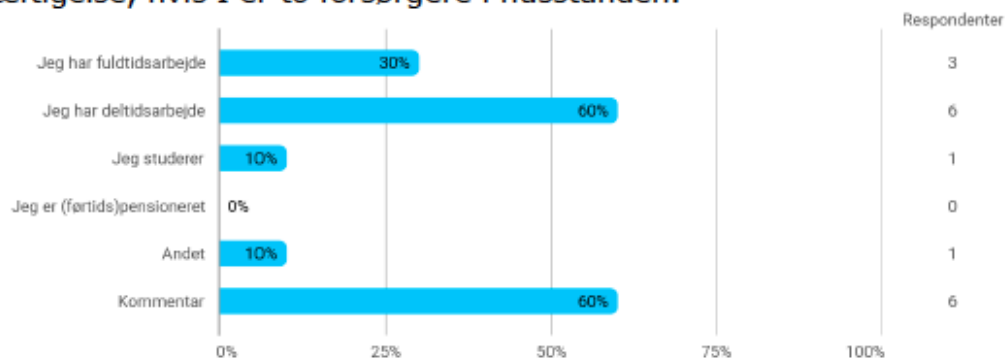


11. Hvem i familien har/havde diagnosen? Uddyb gerne diagnosegruppe, debut- og levealder mm.

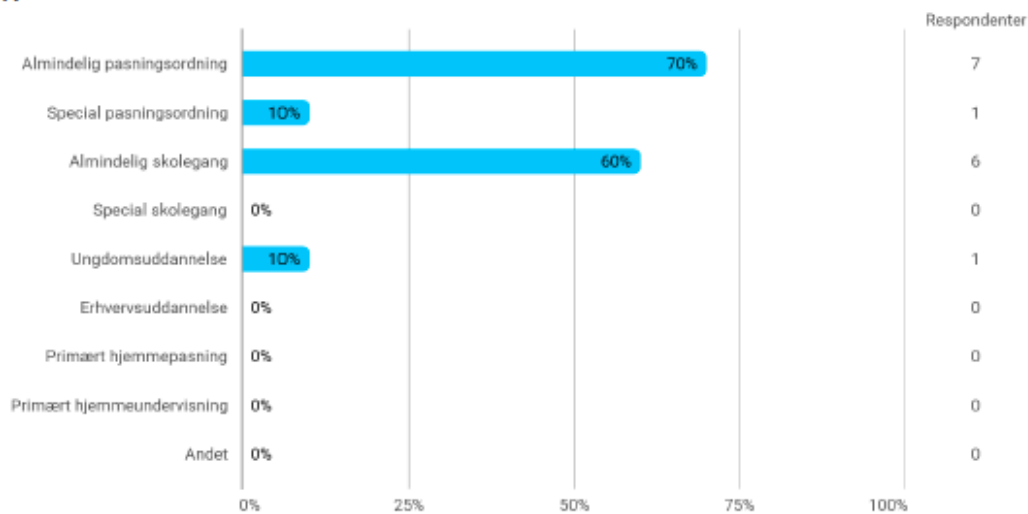
12. Hvad beskæftiger du dig med?



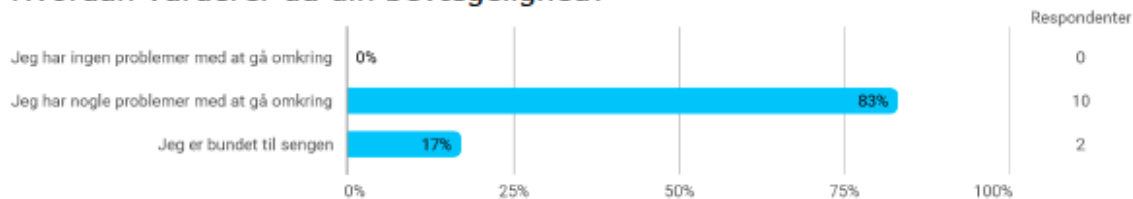
13. Hvad beskæftiger du dig, som forælder, med? Kommenter gerne din sam-
levers beskæftigelse, hvis I er to forsørgere i husstanden.



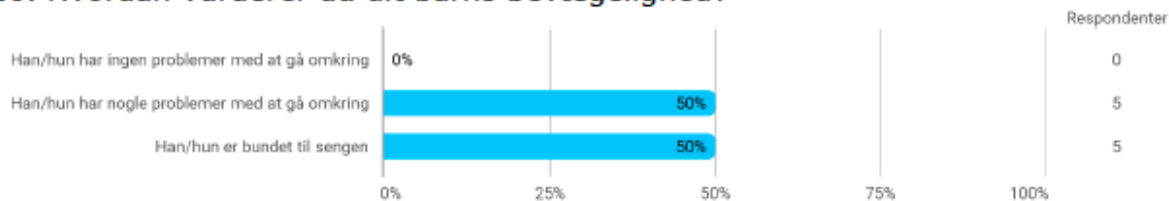
14. Hvilken undervisning og/eller pasningsordning har dit barn deltaget
i/deltager i?



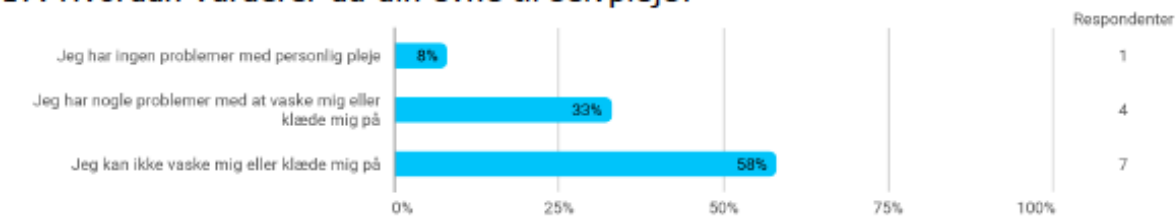
15. Hvordan vurderer du din bevægelighed?



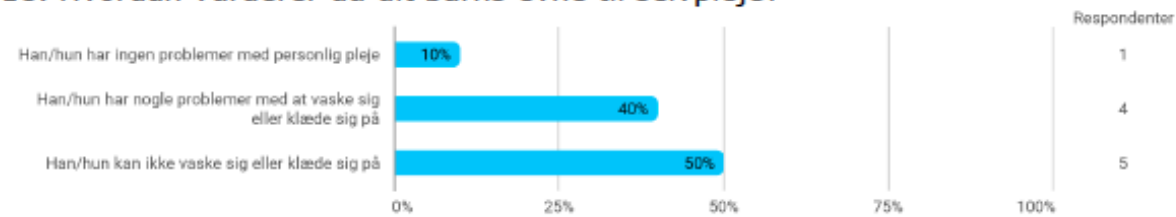
16. Hvordan vurderer du dit barns bevægelighed?



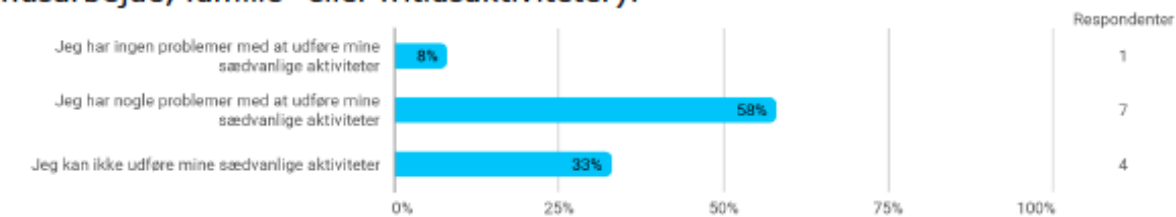
17. Hvordan vurderer du din evne til selvpleje?



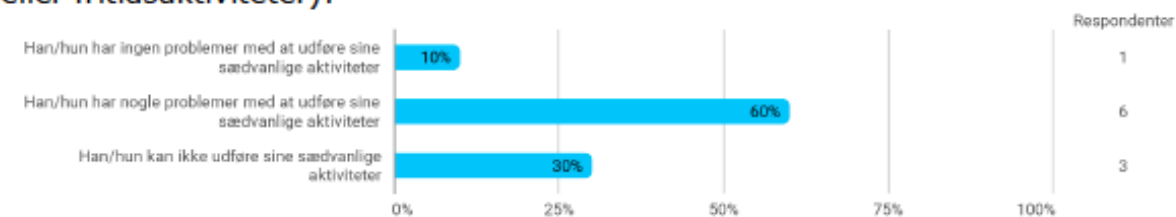
18. Hvordan vurderer du dit barns evne til selvpleje?



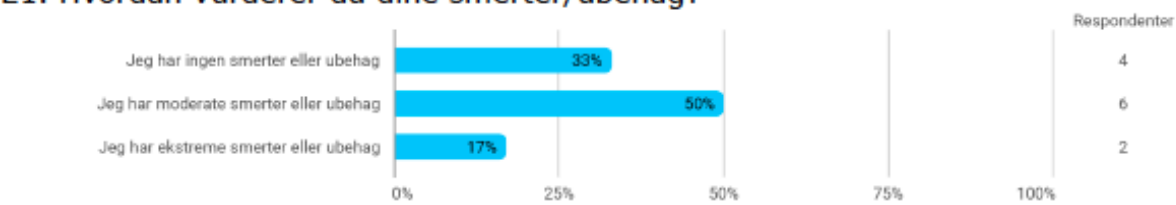
19. Hvordan vurderer du din evne til sædvanlige aktiviteter (fx arbejde, studie, husarbejde, familie- eller fritidsaktiviteter)?



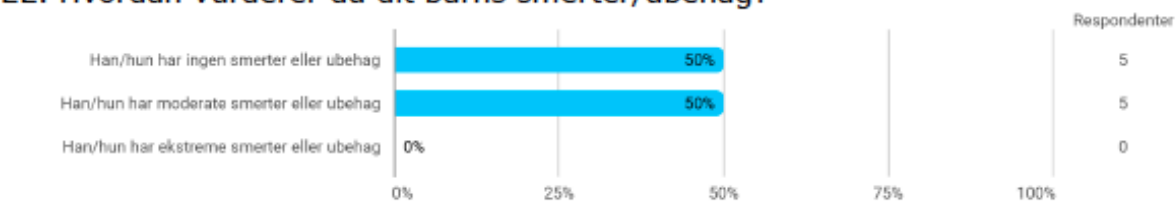
20. Hvordan vurderer du dit barns evne til sædvanlige aktiviteter (fx familie- eller fritidsaktiviteter)?



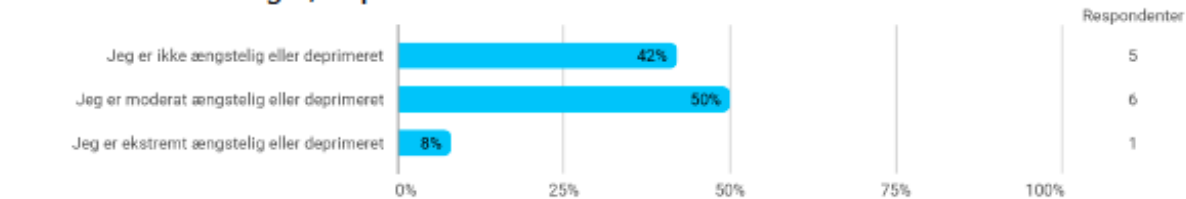
21. Hvordan vurderer du dine smerter/ubehag?



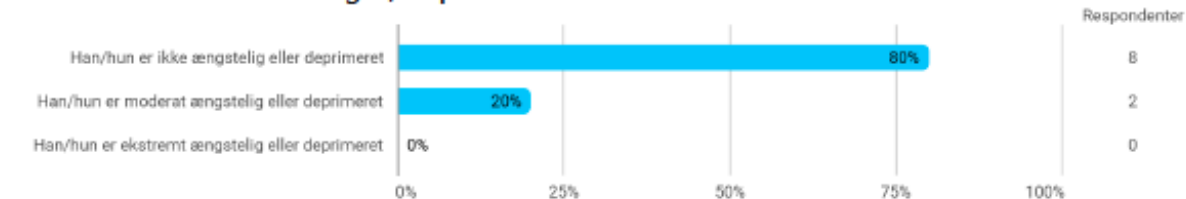
22. Hvordan vurderer du dit barns smerter/ubehag?



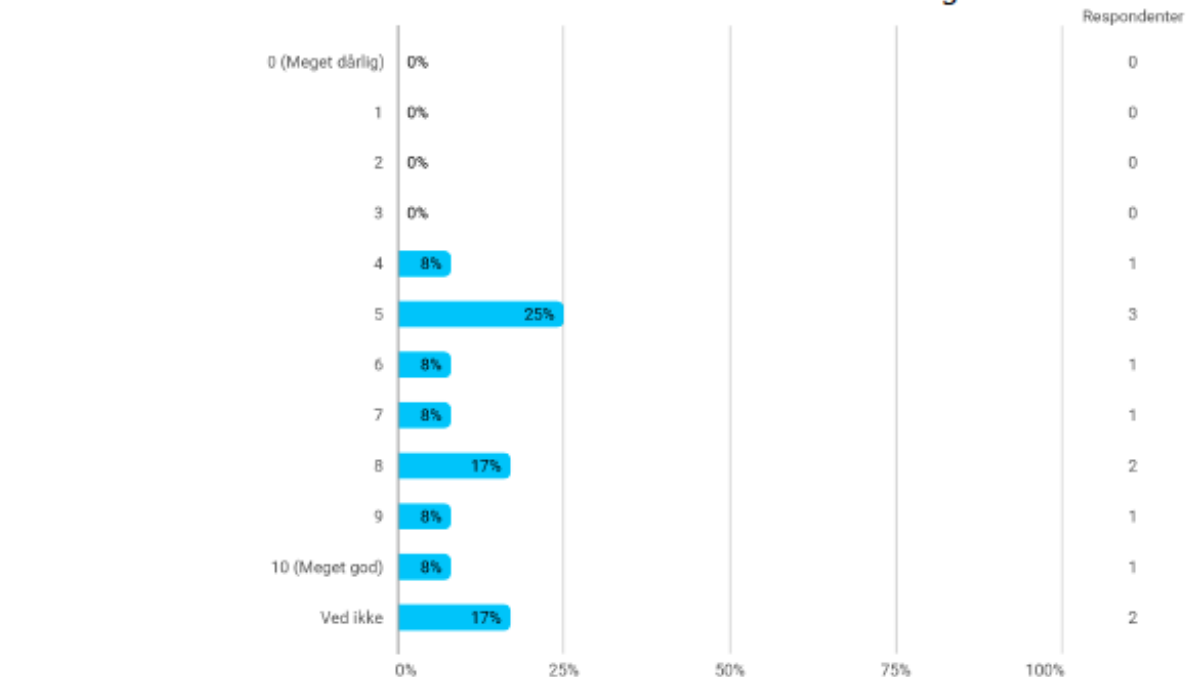
23. Lider du af angst/depression?



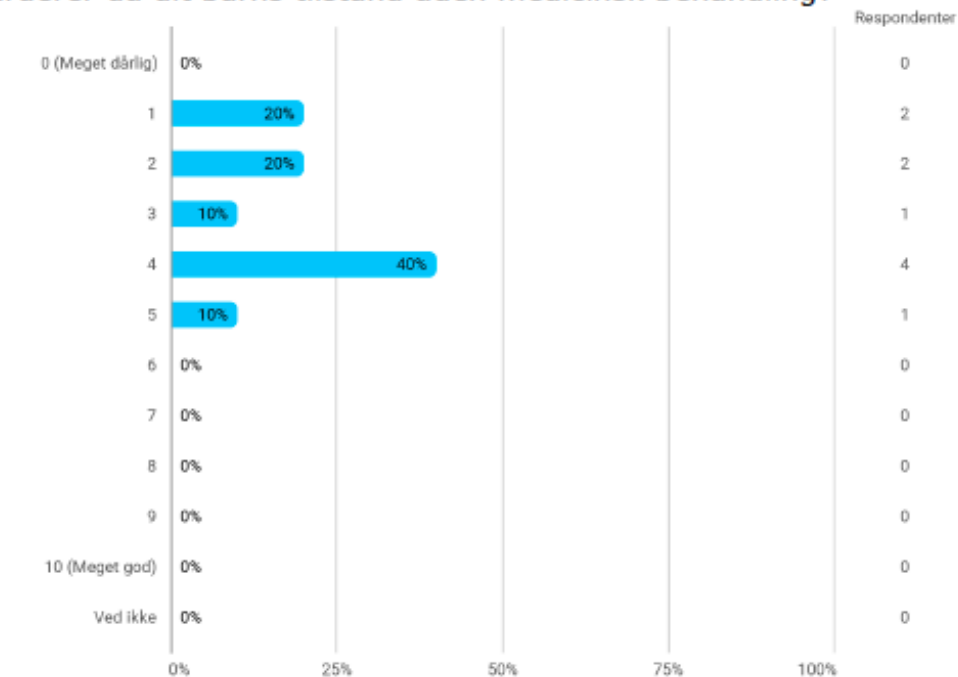
24. Lider dit barn af angst/depression?



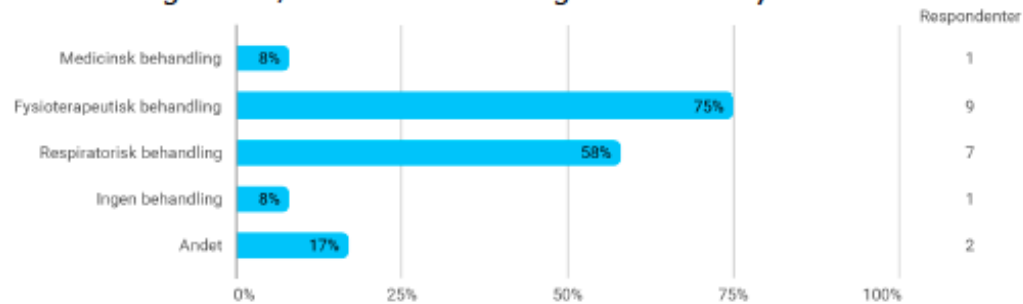
25. Hvordan vurderer du din tilstand uden medicinsk behandling?



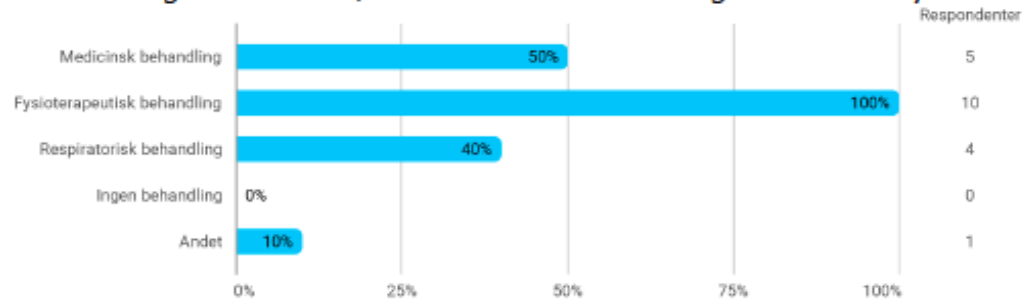
26. Hvordan vurderer du dit barns tilstand uden medicinsk behandling?



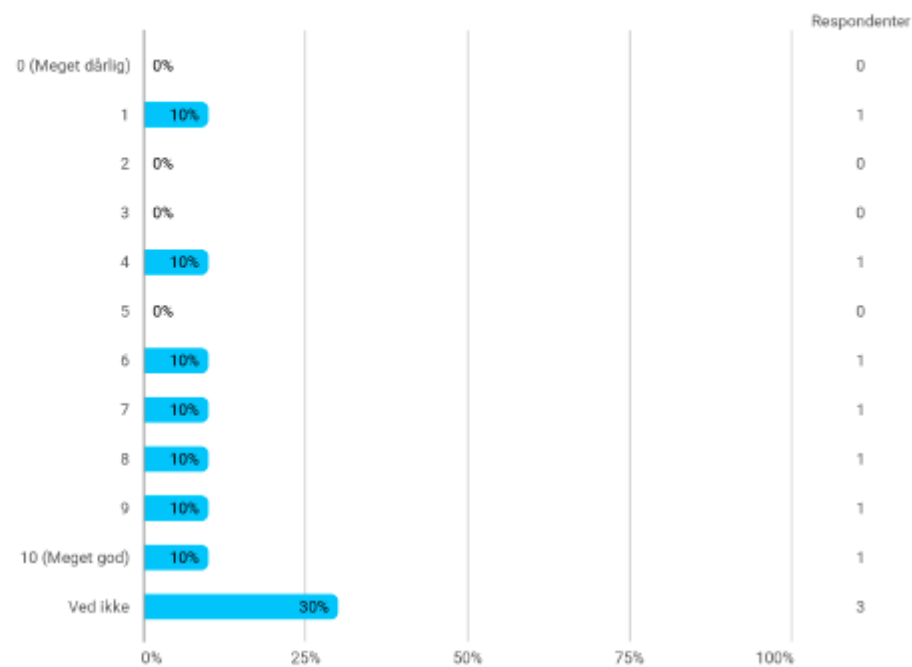
27. Hvilken behandling får du/har du fået? Sæt gerne flere krydser.



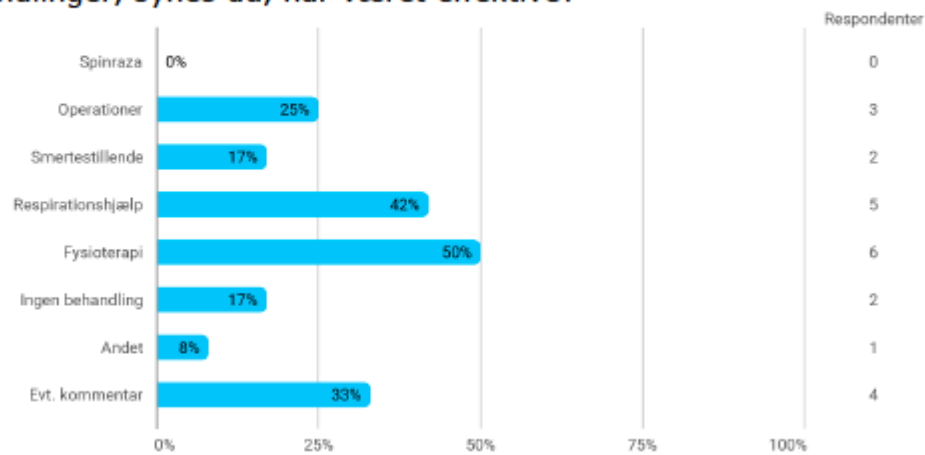
28. Hvilken behandling får dit barn/har dit barn fået? Sæt gerne flere krydser.



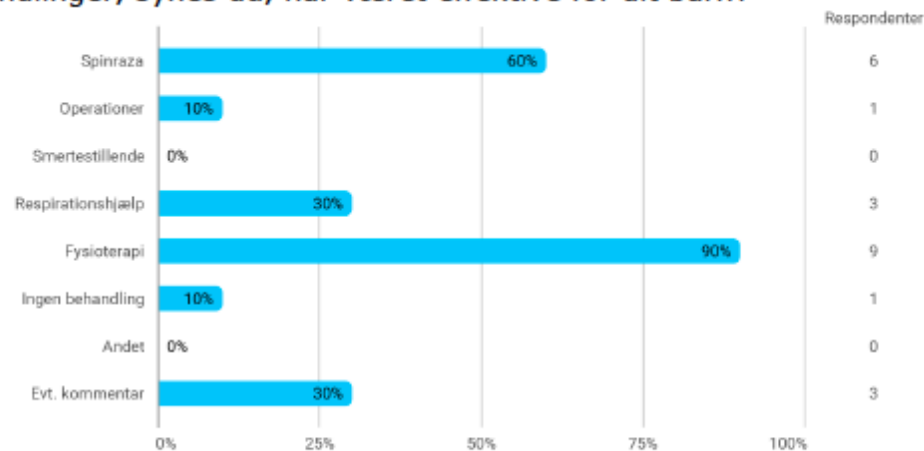
32. Hvordan vurderer/vurderede du dit barns tilstand efter medicinsk behandling?



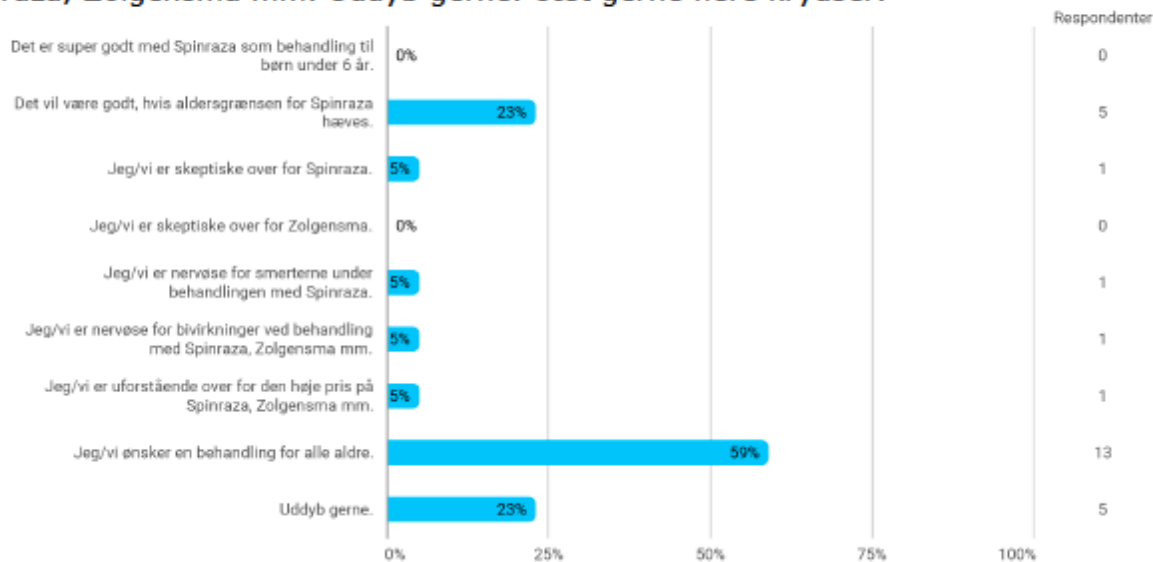
33. Hvilke behandlinger, synes du, har været effektive?



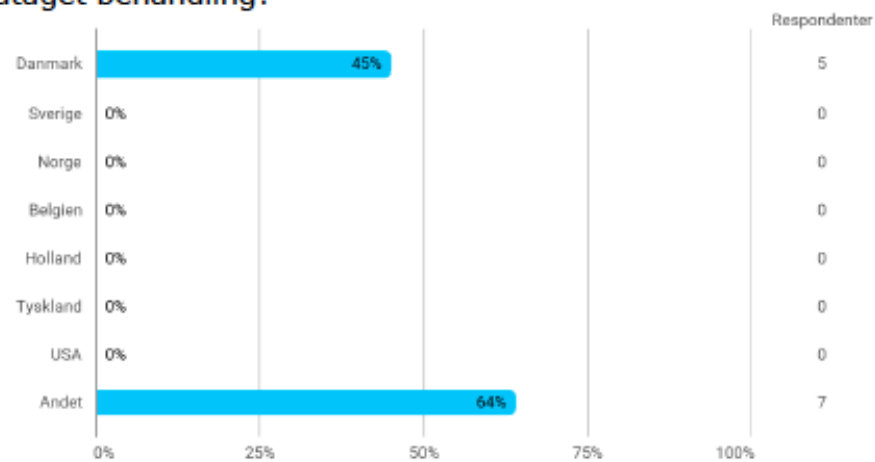
34. Hvilke behandlinger, synes du, har været effektive for dit barn?



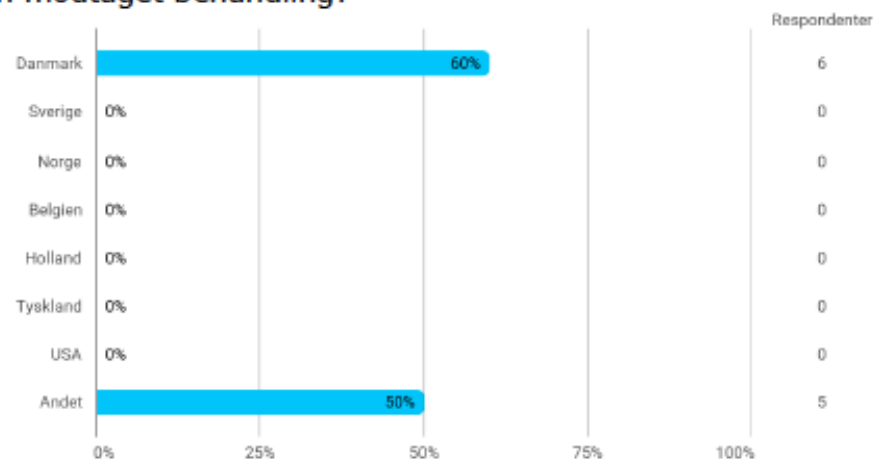
35. Hvad er din/jeres generelle holdning til behandling af SMA? Herunder Spinraza, Zolgensma mm. Uddyb gerne. Sæt gerne flere kryds.



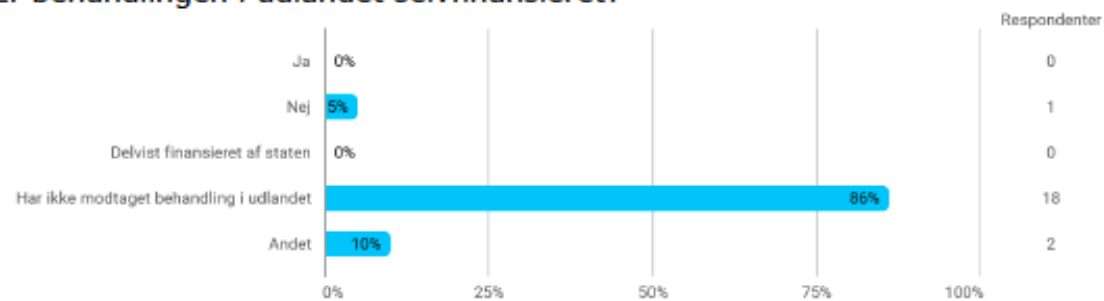
36. Hvor har du modtaget behandling?



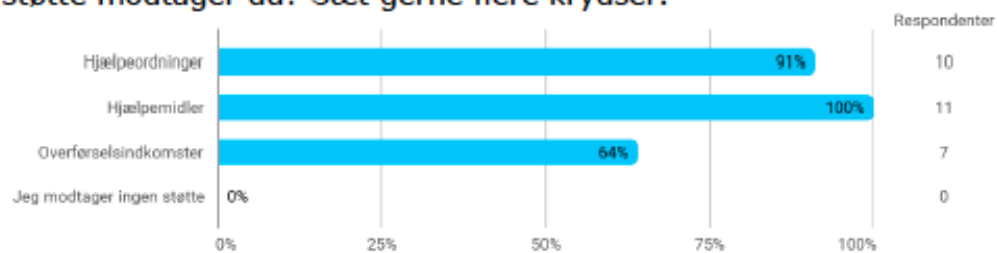
37. Hvor har dit barn modtaget behandling?



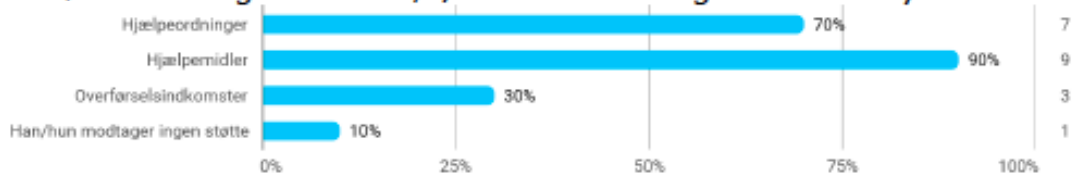
38. Er behandlingen i udlandet selvfinansieret?



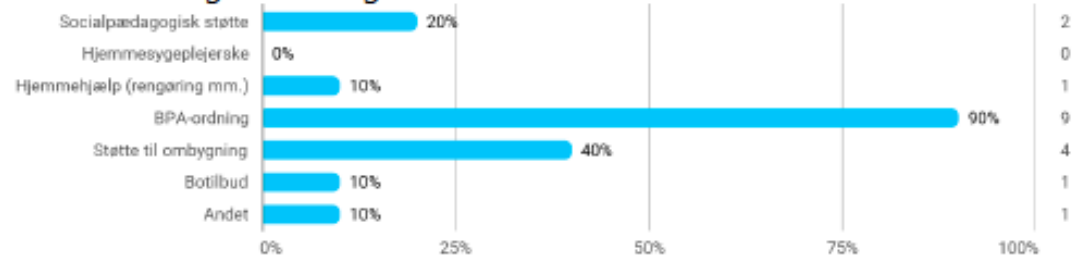
39. Hvilken støtte modtager du? Sæt gerne flere krydser.



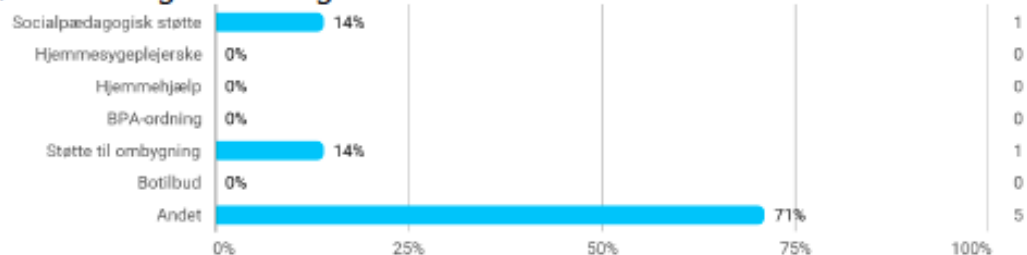
40. Hvilken støtte modtager dit barn/I, forældre? Sæt gerne flere krydser.



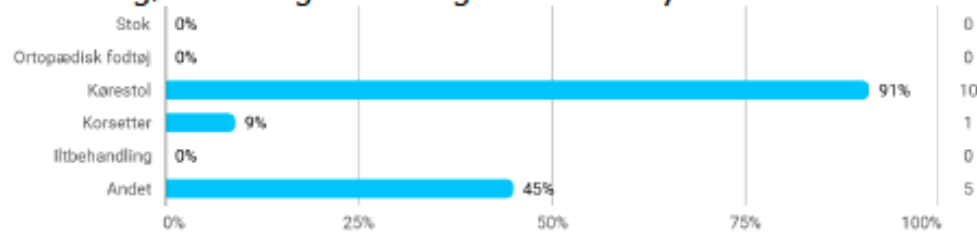
41. Hvilke støtteordninger modtager du?



42. Hvilke støtteordninger modtager dit barn?



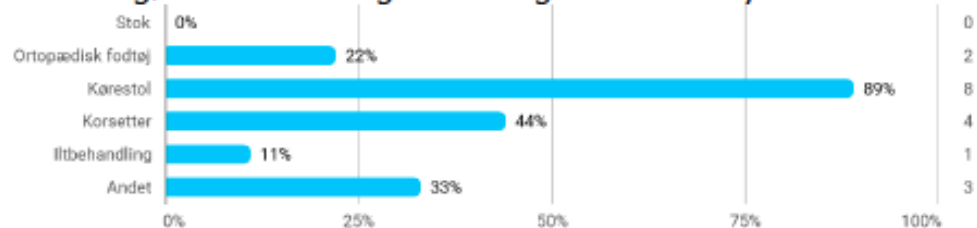
43. Hvilke hjælpemidler gør du brug af? Sæt gerne flere krydser.



Hvilke hjælpemidler gør du brug af? Sæt gerne flere krydser. – **Andet:**

- Bil minibus
- El-kørestol, korset efter behov, el-seng, toilet med hejs, badestol, gribetang
- BiPap, Lift, Badestol og hospitalsseng med glidelagen(master-turner).
- Stol med elektrisk hejs på arbejde
- respirator

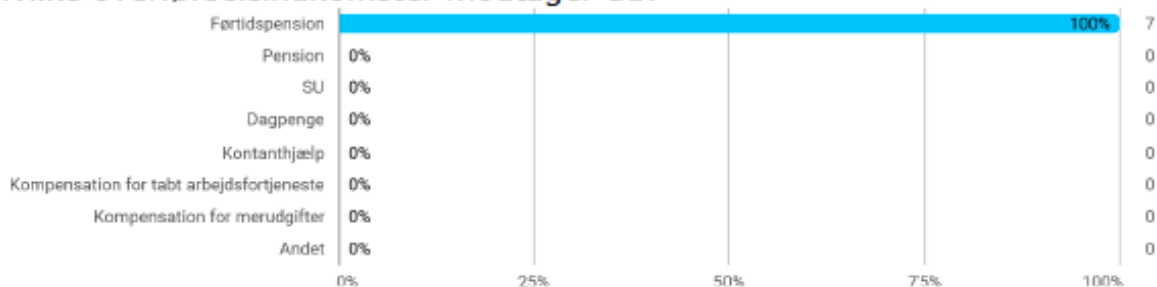
44. Hvilke hjælpemidler gør dit barn brug af? Sæt gerne flere krydser.



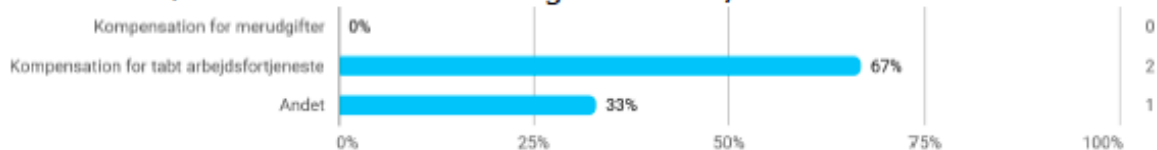
Hvilke hjælpemidler gør dit barn brug af? Sæt gerne flere krydser. – **Andet:**

- Speciel stol, løbacykel
- El cykel og stol til hjemmet
- Cpap, cough assist, ståstativ, badebriks, hospitalsseng, lift, sonde m. tilbehør, toiletstol mv.

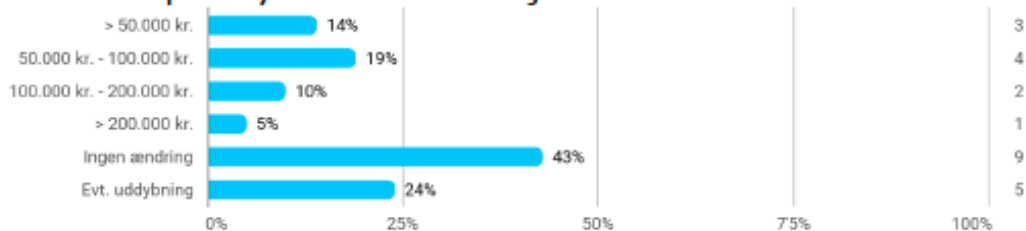
45. Hvilke overførselsindkomster modtager du?



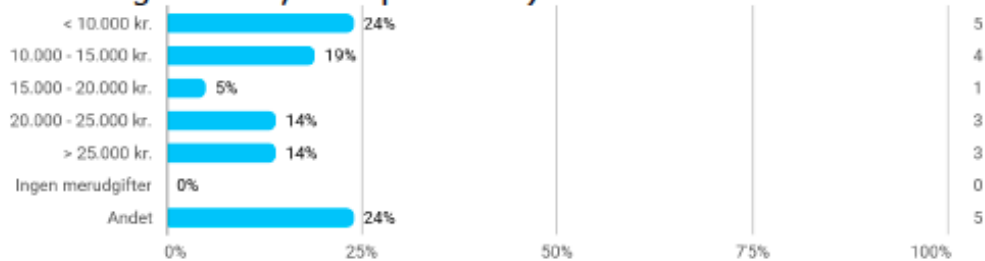
46. Hvilke overførselsindkomster modtager dit barn/I som forældre?



47. Har diagnosen medført en ændring i husstandens indkomst? Hvis ja, angiv gerne ca. beløb af ændringen i husstandens samlede indkomst før skat om året. Det kan for eksempel skyldes nedsat arbejdstid.



48. Hvilke udgifter har diagnosen medført? Angiv gerne ca. beløb for husstandens faktiske årlige udgifter, som diagnosen har medført (fx aktiviteter, sociale arrangementer, transport mm.)



49. Hvordan har SMA-diagnosen påvirket husstanden? Herunder socialt mm. Eksempelvis begivenheder såsom fødselsdage, koncerter, fodboldkampe osv.

50. Må vi kontakte jer for yderligere oplysninger?



Bilag 2 - Mail fra Muskelsvindfonden

Hej igen

Gruppen hedder "Medicinsk behandling af SMA" og har 201 medlemmer i alt. Det er ikke kun mennesker, der selv har SMA men også pårørende og øvrige med interesse for området som f.eks. mig selv.

Kriterierne for at kunne få behandling med Spinraza, som det er i dag, indebærer blandt andet, at man ikke må være over 6 år, når det bevilges. Rationalet bag har været, at man kunne opnå den mest signifikante effekt af behandlingen, jo tidligere man satte ind, da det er et fremadskridende handicap i stadig forværring. Det betyder ikke, at man stopper behandlingen, når barnet bliver ældre. For meningen er jo, at medicinen gerne skal forhindre handicappet i at udvikle sig eller i det mindste udvikle sig markant langsommere med medicin end ellers. Og hvis man stoppede, ville dette jo være spildt.

Som lille ekstra information kan jeg for øvrigt fortælle, at det jo lige har været i Medicinrådet i sidste uge, der bestemte at genoptage sagen formodentlig i Juni, da et tysk studie ved en prof. Hagenacker i foråret godtgjorde, at selv voksne havde gavnlig effekt af behandlingen.

Og at EMA netop har godkendt genterapien med Zolgensma, så den nok kommer til Medicinrådet til behandling inden for et års tid.

Med hensyn til det sidste spørger jeg lige en af ergoterapeuterne i RCFM og vender så tilbage.

God arbejdslyst.
Mange hilsner

Berit Byg

Sundhedspolitisk konsulent
Muskelsvindfonden
Kongsvang Alle 23
8000 Aarhus C

Bilag 3 - Gennemsnitlige behandlingsrelaterede omkostninger for SMA-type I, II og III

Omkostningsanalyse	SMA-type I patienter			SMA-type II og III patienter			Gnms. omk. SMA-type I, II og III		
	Spinraza	BSC	Øgning	Spinraza	BSC	Øgning	Spinraza	BSC	Øgning
Lægemiddel	5.580.000	0	5.580.000	6.610.629	1.030.629	5.580.000	6.095.315	515.315	5.580.000
Behandlingsrelaterede omk.	51.947	0	51.947	51.947	0	51.947	51.947	0	51.947
Hospital omk.	423.654	423.654	0	224.408	224.408	0	324.031	324.031	0
Øvrige omk.	6.325.059	6.325.059	0	2.611.779	2.611.779	0	4.468.419	4.468.419	0
Total	12.380.660	6.748.713	5.631.947	9.498.763	3.866.816	5.631.947	10.939.712	5.307.765	5.631.947

Bilag 4 - Antal SMA-patienter i Danmark

Fra: Annette Mahoney <anmo@rcfm.dk>

Sendt: 19. marts 2020 09:28

Til: Berit Byg <beby@muskelsvindfonden.onmicrosoft.com>

Emne: SV: de studerende

God morgen Berit

Håber solen også skinner i det nordjyske.

Dejligt med nogle aktive studerende, der udnytter cornoatiden til vigtige sundhedsøkonomiske studier.

De vil kunne finde de flest svar på vores hjemmeside under diagnosebeskrivelserne med undtagelse af, hvor mange der er på de forskellige diagnoser. Så jeg har lige tjekket status på, hvor mange vi har pt.

Type 1 ca. 10 med forbehold for, at RCFM ikke får alle henvist, da nogle af dem desværre stadig er for svage til at få behandling og dør inden, det er relevant at henvise.

Type 2 ca. 95

Type 3 ca. 80. Der kan også være nogle af dem, vi ikke har, men mon ikke man som sundhedsøkonomistuderende kan få adgang til nogle registre??

Det var alt herfra. Hav en rigtig god dag.

KH Annette

Tabel 1: Omkostningerne for respondenternes hjælpemidler

Hjælpemidler	Ortopædisk														Cough			
	Kørestol	Badestol	Sidstativ	Korsetter	Hospitalsseng	Lift	Toiletsol	fødøj	CPAP	BiPAP	Assist	Elstol	Elcykel	Gribetang				
Antal respondenter i alt	18	3	1	5	3	2	2	2	2	1	2	1	3	2	1			
	85,71	14,29	4,76	23,81	14,29	9,52	9,52	9,52	9,52	4,76	9,52	4,76	14,29	9,52	4,76			
Priser børn og unge	Lav	9.362,50	440	11.105	12.500	14.790	13.030	1.143,75	1.506	8.000	10.766,61	24.780,35	16.800	11.600	99			
	Middel	96.187,50	2.117,50	30.407,50	21.875	32.690	16.327,50	2.061,88	4.984	8.062,50	15.684,03	28.222,07	19.400	13.147,50	229,5			
	Høj	183.012,50	3.795	49.710	31.250	50.590	19.625	2.980	7.291	8.125	20.601,44	31.663,78	22.000	14.695	360			
Antal	5	1	1	2	1	1	1	1	0	1	1	1	1	1	0			
Total børn og unge u. Spinraza	Lav	46.812,50	440	11.105	25.000	14.790	13.030	1.143,75	0	8.000	10.766,61	24.780,35	16.800	11.600	0			
	Middel	480.937,50	2.117,50	30.407,50	43.750	32.690	16.327,50	2.061,88	0	8.062,50	15.684,03	28.222,07	19.400	13.147,50	0			
	Høj	915.062,50	3.795	49.710	62.500	50.590	19.625	2.980	0	8.125	20.601,44	31.663,78	22.000	14.695	0			
Antal	3	0	0	3	0	0	0	0	2	1	0	0	1	0	0			
Total børn og unge m. Spinraza	Lav	28.087,50	0	0	37.500	0	0	0	3.012	8.000	0	0	16.800	0	0			
	Middel	288.562,50	0	0	65.625	0	0	0	9.968	8.062,50	0	0	19.400	0	0			
	Høj	549.037,50	0	0	93.750	0	0	0	14.582	8.125	0	0	22.000	0	0			
Priser voksne	Lav	9.362,50	440	12.855	12.500	14.790	13.030	1.143,75	1.506	8.000	10.766,61	0	16.800	11.600	99			
	Middel	96.187,50	2.117,5	31.282,50	21.875	32.690	16.327,50	1.506,25	4.984	8.062,50	15.684,03	0	19.400	13.147,50	229,5			
	Høj	183.012,50	3.795	49.710	31.250	50.590	19.625	1.868,75	7.291	8.125	20.601,44	0	22.000	14.695	360			
Antal	10	2	0	1	2	1	1	1	0	1	1	0	1	1	1			
Total voksne	Lav	93.625	880	0	12.500	29.580	13.030	1.143,75	0	8.000	10.766,61	0	16.800	11.600	99			
	Middel	961.875	4.235	0	21.875	65.380	16.327,50	1.506,25	0	8.062,50	15.684,03	0	19.400	13.147,50	229,5			
	Høj	1.830.125	7.590	0	31.250	101.180	19.625	1.868,75	0	8.125	20.601,44	0	22.000	14.695	360			

Tabel 2: Omkostningerne for respondenternes støtteordninger

Støtteordninger		BPA- ordning	Socialpædagogisk støtte	Hjemmesygeplejerske	Hjemmehjælp	Støtte til ombygning	Botilbud
	Antal	9	7	0	1	5	1
	Procent	42,86	33,33	0,00	4,76	23,81	4,76
Priser børn og unge	Lav	0	113.000	0	0		599.000
	Middel	0	113.000	0	0		599.000
	Høj	0	113.000	0	0		599.000
	Antal	0	3	0	0		
Børn og unge m. Spinraza	Lav	0	339.000	0	0		0
	Middel	0	339.000	0	0		0
	Høj	0	339.000	0	0		0
	Antal	0	2	0	0		0
Børn og unge u. Spinraza	Lav	0	226.000	0	0		0
	Middel	0	226.000	0	0		0
	Høj	0	226.000	0	0		0
Priser voksne	Lav	1.178.000	76.000	0	28600		599.000
	Middel	1.178.000	76.000	0	56450		599.000
	Høj	1.178.000	76.000	0	84300		599.000
	Antal	9	2	0	1		1
Voksne	Lav	10.602.000	152.000	0	28600		599.000
	Meddel	10.602.000	152.000	0	56450		599.000
	Høj	10.602.000	152.000	0	84300		599.000

Tabel 3: Omkostningerne for respondenternes overførselsindkomster

Overførselsindkomster		Kompensation for tabt					Kompensation for		
		Førtidspension	Pension	arbejdsfortjeneste	Dagpenge	Kontanthjælp	SU	merudgifter	
	Antal	7	0	2	0	0	2	2	
	Procent	33,33	0,00	9,52	0,00	0,00	9,52	9,52	
Priser børn og unge	Lav	0	0	44.060,54	0	0	74.916	12.480	
	Middel	0	0	61.684,76	0	0	74.916	24.972	
	Høj	0	0	105.745,30	0	0	170.916	31.224	
Børn og unge m. Spinraza	Antal	0	0	1	0	0	0	1	
	Lav	0	0	44.060,54	0	0	0	12.480	
	Middel	0	0	61.684,76	0	0	0	24.972	
	Høj	0	0	105.745,30	0	0	0	31.224	
	Antal	0	0	1	0	0	0	0	
Børn og unge u. Spinraza	Lav	0	0	44.060,54	0	0	0	0	
	Middel	0	0	61.684,76	0	0	0	0	
	Høj	0	0	105.745,30	0	0	0	0	
Priser voksne	Lav	194748	0	0	0	0	0	12.480	
	Middel	219288	0	0	0	0	0	24.972	
	Høj	219288	0	0	0	0	0	31.224	
Voksne	Antal	7	0	0	0	0	2	1	
	Lav	1.363.236	0	0	0	0	149.832	12.480	
	Middel	1.603.728	0	0	0	0	341.832	24.972	
	Høj	1.603.728	0	0	0	0	341.832	31.224	

Tabel 4: Respondenternes private udgifter

Private udgifter	Antal respondenter i alt	<10.000	10.000 - 15.000	15.000 - 20.000	20.000 - 25.000	> 25.000	Ingen ændring	Ved ikke
		5	4	1	3	3	0	5
Priser	Lav	1.000	10.000	15.000	20.000	75.000	0	0
	Middel	5.499,50	12.499,50	17.499,50	22.499,50	76.500	0	0
	Høj	9.999	14.999	19.999	24.999	78.000	0	0
	Antal	2	0	1	2	0	0	0
Børn og unge m. Spinraza	Lav	2.000	0	15.000	40.000	0	0	0
	Middel	10.999	0	17.499,50	44.999	0	0	0
	Høj	19.998	0	19.999	49.998	0	0	0
	Antal	1	1	0	0	1	0	1
Børn og unge u. Spinraza	Lav	1.000	10.000	0	0	75.000	0	0
	Middel	5.499,50	12.499,50	0	0	76.500	0	0
	Høj	9.999	14.999	0	0	78.000	0	0
	Antal	2	0	1	1	2	0	4
Voksne	Lav	2.000	0	15.000	20.000	150.000	0	0
	Middel	10.999	0	17.499,50	22.499,50	153.000	0	0
	Høj	19.998	0	19.999	24.999	156.000	0	0
	Antal	2	0	1	1	2	0	4

Tabel 5: Indkomstændringer i respondenternes husstand

Indkomstændring		< 50.000	50.000 - 100.000	100.000 - 200.000	> 200.000	Ingen ændring	Ved ikke
	Antal	3	4	2	1	9	2
	Procent	14,29	19,05	9,52	4,76	42,86	9,52
	Antal	0	3	1	0	0	1
Børn og unge m. Spinraza	Lav	0	150.000	100.000	0	0	0
	Middel	0	224.998,50	149.999,50	0	0	0
	Høj	0	299.997	199.999	0	0	0
	Antal	1	1	0	0	3	0
Børn og unge u. Spinraza	Lav	10.000	50.000	0	0	0	0
	Middel	29.999,50	74.999,50	0	0	0	0
	Høj	49.999	99.999	0	0	0	0
	Antal	2	0	1	1	6	1
Voksne	Lav	20.000	0	100.000	200.000	0	0
	Middel	59.999	0	149.999,50	205.000	0	0
	Høj	99.998	0	199.999	210.000	0	0

Tabel 6: De samlede gennemsnitlige omkostninger

Totale gms. omk.	Hjælpe midler		Støtteordninger		Overførselsomkostninger		Sygdomsrelaterede i alt	Behandlingsrelaterede omkostninger (Amgros)	Direkte omk. i alt	Indirekte omk.	Omk. i alt
Børn og unge u. Spinraza	12 mdr.	36 mdr.	12 mdr.	36 mdr.	12 mdr.	36 mdr.					
Lav	7.370,73	22.112,19	45.200	135.600	8.812,11	26.436,33	184.148,52	4.583.089	4.767.237,27	36.000	4.803.237,27
Middel	27.712,32	83.136,96	45.200	135.600	12.336,95	37.010,85	255.747,81	4.583.089	4.838.836,56	62.999,40	4.901.835,96
Høj	48.053,91	144.161,73	45.200	135.600	21.149,06	63.447,18	343.208,91	4.583.089	4.926.297,66	89.998,80	5.016.296,46
Voksne											
Lav	3.454,99	10.364,97	1.034.690,91	3.104.072,73	138.686,18	416.058,54	3.530.496,24	4.254.281	7.784.777	87.272,73	7.872.049,47
Middel	20.357,45	61.072,35	1.037.222,73	3.111.668,19	179.139,27	537.417,81	3.710.158,35	4.254.281	7.964.438,85	113.181,42	8.077.620,27
Høj	37.259,91	111.779,73	1.039.754,55	3.119.263,65	179.707,64	539.122,92	3770166,30	4.254.281	8024446,80	139.090,08	8.163.536,88
Børn og unge m. Spinraza											
Lav	18.679,90	56.039,70	67.800	203.400	11.308,11	33.924,33	293.364,03	12.023.089	12.316.452,78	150.000	12.466.452,78
Middel	78.323,60	234.970,80	67.800	203.400	17.331,35	51.994,05	490.364,85	12.023.089	12.513.453,60	224.998,80	12.738.452,40
Høj	137.498,90	412.496,70	67.800	203.400	27.393,86	82.181,58	698.078,28	12.023.089	12.721.167,03	299.997,60	13.021.164,63