Kortlægning af anbefalede Avancerede Terapier (ATMP'er) i Danmark, Norge, Sverige og England

Skrevet af: Renée Olesen, Emma Larsen, Camilla Rosgaard Birch &
Lars Holger Ehlers

TITEL

Kortlægning af anbefalede Avancerede Terapier (AMTP'er) i Danmark, Norge, Sverige og England

FORFATTERE

Renée Olesen
Emma Larsen
Camilla Rosgaard Birch
Lars Holger Ehlers

COPYRIGHT

© NIHE, Nordic Institute of Health Economics 2022 A/S
Denne publikation kan frit henvises til, herunder figurer, tabeller og tilladte citater, så længe kilden tydeligt angives - det skal understreges, at rapporten blev udarbejdet af NIHE.

UDGIVER

Nordic Institute of Health Economics (NIHE)
Gammel Munkegade 1
8000 Aarhus C
E-mail: info@nih-economics.dk

URL

https://www.nih-economics.dk/publikationer

PUBLICERINGS DATO

17. januar 2024

FINANSIERET AF

Dagens Medicin

Forord

Denne rapport er udarbejdet af Nordic Institute of Health Economics (NIHE). I rapporten opgøres anbefalingerne af de avancerede medicinske terapier i Danmark, Norge, Sverige og England med udgangspunkt i markedsføringsgodkendelserne fra Det Europæiske Lægemiddelagentur (EMA). På baggrund af dette belyser rapporten forskelle i andelen af ansøgninger og andelen af anbefalinger mellem landene.

Opgørelsen er sket pr. 5. januar 2024, hvorfor der siden opgørelsen i denne rapport kan være sket ændringer. Denne rapport udgør dermed et øjebliksbillede af kortlægningen af de avancerede medicinske terapier i henholdsvis EMA samt Danmark, Norge, Sverige og England pr. 5. januar 2024.

Rapporten er finansieret af Dagens Medicin. Det er forfatterne fra NIHE, som alene har truffet beslutninger om den endelige udformning af rapporten.

Indholdsfortegnelse

1. Introduktion 5

1.1 Formål 6

1.2 Metode 6

2. EMA-godkendelser 7

2.1 Typer af godkendelser 7

2.2 Status på EMA-godkendelser 7

2.2 Orphan Drugs 8

3. Anbefalede ATMP'er i de udvalgte lande 13

4. ATMP'er i Danmark 18

4.1 Antal patienter behandlet med ATMP'er i Danmark 18

4.2 Betalingsaftaler for ATMP'er 18

4.3 Ikke ansøgte ATMP'er 22

5. Sammenfatning 25

6. Litteraturliste 27

1. Introduktion

Avancerede medicinske produkter (ATMP) (på engelsk: Advanced Therapy Medicinal Products) er en fælles betegnelse for genterapi, somatisk celleterapi og vævsteknologier (1). Fælles for de tre behandlingstyper er, at produktionen er anderledes end kemiske lægemidlers, da de produceres af biologisk materiale (gener, celler og væv). Det biologiske materiale bliver modificeret for at opnå enten en gendannende, reparerende eller erstattende funktion i patienten. Typisk er der tale om langvarige engangsbehandlinger, med sygdomsmodificerende og potentielt helbredende effekter (2,3). Behandlingerne retter sig ofte mod sjældne sygdomme, hvor der ikke tidligere har været nogen behandling, eller hvor eksisterende behandlinger kun har haft begrænset effekt (3).

ATMP'er er opdelt i tre primære typer:

- Genterapi, som indeholder gener, der frembringer terapeutiske, profylaktiske eller diagnostiske virkninger ved at indsætte modificerede gener i kroppen. Disse gener skabes i laboratoriet ved at kombinere DNA fra forskellige kilder og anvendes typisk til behandling af genetiske lidelser, kræft, sjældne sygdomme eller kroniske sygdomme (1,2).
- Somatisk celleterapi, som består af manipulerede celler eller væv, der ændrer biologiske karakteristika, eller andre celler/væv, som ikke er beregnet til samme vitale funktioner i kroppen. Disse terapier kan helbrede, diagnosticere eller forebygge sygdomme (1).
- Vævsteknologier, som omfatter celler eller væv, der er blevet modificeret til at reparere, regenerere eller erstatte menneskeligt væv (1).

De nye ATMP'er har skabt banebrydende behandlingsmuligheder og i mange tilfælde for patientgrupper, som ikke tidligere har haft udsigt til behandling. Imidlertid har udvikling også afstedkommet en række nye økonomiske, organisatoriske og regulatoriske udfordringer. (2). Da behandlingerne typisk er udviklet til sjældne sygdomme, er prisen per behandling ofte meget høj. Behandlingerne er ofte organisatorisk vanskelige, da brugen af ATMP'er sætter høje krav til både uddannelse, udstyr, opbevaring samt udvikling af procedurer. Dette kan også give højere startomkostninger for sundhedsvæsenet (2).

I den Europæiske Union (EU) er det Det Europæiske Lægemiddelagentur (EMA), som har ansvaret for at godkende lægemidler til markedsføring (2,4). Efter godkendelse i EMA, kan virksomheder

ansøge om anbefaling af en ATMP i de specifikke lande. Lægemiddelansøgninger varetages af forskellige enheder i hvert land. I Danmark er det Medicinrådet der evaluerer, om en ATMP bør anbefales til brug i Danmark (5). I Norge er det beslutningsrådet Nye Metoder, mens det i Sverige er Rådet for Nye Terapier (NT-Rådet) eller Tandlæge og Lægemiddelstyrelsen (TLV), og i England er det 'National Institute for Health and Care Excellence' (NICE) (6–9).

1.1 Formål

Formålet med dette notat er at give en status på ATMP-området i Danmark, Norge, Sverige og England. Notatet indeholder en detaljeret opgørelse af antallet af EMA-godkendelser af ATMP'er samt antallet af ansøgninger og aktuelle anbefalinger i de fire lande.

1.2 Metode

Notatet bygger på oplysninger fra EMA samt anbefalinger fra Danmark, Norge, Sverige og England. Indledningsvist er der foretaget søgninger for hver ATMP på EMAs hjemmeside (pr.5.januar 2024). ATMP'erne blev identificeret gennem eksplorative søgninger på internettet. Herefter blev hver af de EMA-godkendte ATMP'er søgt på de nationale hjemmesider. For at afsøge viden omhandlende de forskellige anbefalinger i henholdsvis Danmark (Medicinrådet), Norge (Nye Metoder), Sverige (NT-rådet og TLV) og England (NICE) er der søgt i beslutningsmaterialet for hvert lægemiddel, som ligger offentligt tilgængeligt, samt de anbefalinger landene har foretaget på baggrund af ansøgninger. Data i dette notat er opgjort på den tilgængelige litteratur fra disse hjemmesider. For flere ansøgninger er der fortrolige oplysninger, som er skjult efter lægemiddelproducenternes ønske, hvorfor ikke alt data er tilgængeligt. Det antages i opgørelserne i notatet, at ATMP'erne i de fire lande ikke er ansøgt, hvis det ikke har været muligt at fremsøge en vurdering i det pågældende land.

Der er taget kontakt til Amgros med henblik på de anbefalede ATMP'er i Danmark. Amgros har bidraget med information om betalingsaftalerne fra de producenter, som har givet samtykke til dette.

2. EMA-godkendelser

EMA har en særlig komite, som godkender ATMP'er. Komitéen vurderer lægemidlerne på baggrund af kvalitet, sikkerhed og effekt. Denne vurdering sendes til endelig godkendelse i Komiteen for Medicinalprodukter til human brug. Den endelige anbefaling sendes i Europa kommissionen, hvor der tages en beslutning om markedsføringsgodkendelse i alle medlemslande (10).

2.1 Typer af godkendelser

Der findes tre forskellige typer af godkendelser i EMA, herunder standard, betingede og ekstraordinære godkendelser.

- **Standard godkendelse** opnås, hvis der er tilstrækkelig evidens for at et lægemiddel lever op krav om evidens, sikkerhed og effekt og har en gyldighed på 5 år (11).
- **Betinget godkendelse** består af en etårig godkendelse, hvorefter godkendelsen skal revurderes. Det er muligt for producenterne at modtage en betinget godkendelse af lægemidlet hos EMA ved sparsom evidens. Lægemidlets nytte skal overstige dets risiko, og samtidig skal det være muligt for ansøgeren at kunne indsamle yderligere evidens efter godkendelsen er givet. Derudover er der krav til, at medicinen skal opfylde et medicinsk behov, som endnu ikke er dækket, og at lægemidlet giver patienterne tilstrækkelig stor nytte til, at tilgængeligheden opvejer de risici, der er forbundet med manglende data. Lægemidlets markedsføringsgodkendelse kan konverteres til en standard godkendelse, når den opfylder kravene for denne godkendelse (11).
- **Ekstraordinær godkendelse** kan gives i tilfælde, hvor det efter godkendelsen ikke er muligt at indsamle tilstrækkeligt datagrundlag for fremtidig godkendelse. Disse kommer typisk aldrig til at opnå en standard godkendelse (11).

2.2 Status på EMA-godkendelser

Der er på nuværende tidspunkt 25 ATMP'er, herunder 31 indikationer, som gennem tiden er blevet godkendt af EMA (Tabel 1). I alt 17 af lægemidlerne har modtaget en standard godkendelse. Af de resterende otte har seks modtaget en betinget godkendelse og to har modtaget en ekstraordinær godkendelse. Fem lægemidler er blevet tilbagetrukket efter at have været godkendt. Årsagen hertil er i alle fem tilfælde er, at producenten har meddelt EMA, at de permanent ønskede at afbryde markedsføringen af produktet af kommercielle årsager. Der er yderligere to af lægemidlerne,

Glybera og MACI, hvor virksomheden har valgt ikke at genansøge efter den femårige periode, hvor godkendelsen er gyldig. Producenten af Glybera har ikke fornyet ansøgningen grundet manglende efterspørgsel på produktet. Årsagen til at ansøgningen fra producenten af MACI ikke er blevet fornyet er ikke angivet. Tilbagetrækningen af disse syv præparater betyder, at der på nuværende tidspunkt er 18 ATMP'er, herunder 24 indikationer, som er godkendt til markedsføring i EU fra EMA (Tabel 1).

2.2 Orphan Drugs

Et lægemiddel skal opfylde en række kriterier for at kunne blive betegnet som et Orphan Drug. Dette indebærer, at det skal være medicin til diagnose, forebyggelse eller behandling af livstruende eller kroniske sygdomme. Det må maksimalt forekomme hos 5 ud af 10.000 mennesker i EU. Der må derudover ikke være en tilfredsstillende metode til diagnose, forebyggelse eller behandling af sygdommen, som er godkendt og ellers skal den nye medicin være til væsentlig gavn. EU tilbyder en række incitamenter til producenterne af Orphan Drugs for at fremme udviklingen af medicin til sjældne sygdomme. Betegnelsen Orphan Drugs giver blandt andet en ekstra fordel i form af en tiårig beskyttelse mod konkurrence fra lignende medicin med lignende indikationer samt gebyrreduktion (12).

Tabel 1: Opgørelse af EMA-godkendte ATMP'er

Lægemiddel (Producent)	**Dato for god-kendelse**	**Type ATMP**	**Farmako-terapeutisk gruppe**	**Orphan Drug**	**Status**	**Indikationer**	**Kommentar**
Abecma (Bristol - Myers Squibb Pharma EEIG) (13)	18/08-21	Gen-terapi	Antineoplastiske midler (cancer-terapi)	Ja	Betinget godkendelse		
Alofisel (Takeda Pharma A/S) (14)	23/03-18	Celle-terapi	Immunsupprimerende midler	Ja	Standard godkendelse		

Lægemiddel (Producent)	**Dato for god-kendelse**	**Type ATMP**	**Farmako-terapeutisk gruppe**	**Orphan Drug**	**Status**	**Indikationer**	**Kommentar**
Breyanzi (Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG) (15)	04/04-22	Gen-terapi	Antineoplastiske midler (cancer-terapi)	Nej	Standard godkendelse	I – 3 linje behandling II – 2. linje behandling	
Carvykti (Jannsen-Cilag International NV) (16)	25/05-22	Gen-terapi	Antineoplastiske midler (cancer-terapi)	Ja	Betinget godkendelse		
ChondroCelect (TiGenix N.V) (17)	10/05-09	Celle-terapi	Lægemidler til lidelser i bevægeapparatet	Nej	Tilbagetrukket 29/07-2016		Producent ønskede permanent at afbryde markedsføringen af produktet af kommercielle årsager
Ebvallo (Pierre Fabre Medicament) (18)	16/12-22	Celle-terapi	Ikke bestemt endnu	Ja	Ekstraordinær god-kendelse		
Glybera (uniQure biopharma B.V) (19)	25/10-12	Gen-terapi	Lipidmodificerende midler	Ja	Godkendelse udløb 28/10-2017		Ikke genansøgt grundet manglende efterspørgsel på produktet
Hemgenix (CSL Behring GmbH) (20)	20/02-23	Gen-terapi	Andre hæmatologiske midler	Ja	Betinget godkendelse		
Holoclar (Holostem) (21)	17/02-15	Vævs-teknologi	Oftalmologiske lægemidler	Ja	Standard godkendelse		

Lægemiddel (Producent)	**Dato for god-kendelse**	**Type ATMP**	**Farmako-terapeutisk gruppe**	**Orphan Drug**	**Status**	**Indikationer**	**Kommentar**
Imlygic (Amgen Europe B.V.) (22)	16/12-15	Gen-terapi	Antineoplastiske midler (cancer-terapi)	Nej	Standard godkendelse		
Kymriah (Novartis) (23)	22/08-18	Gen-terapi	Andre antineoplastiske midler (cancer-terapi)	Ja	Standard godkendelse	I – ALL[3] II – DLBCL[1] III – FL[2]	
Libmeldy (Orchard Therapeutics (Netherlands) BV) (24)	17/12-20	Gen-terapi	Andre lægemidler til nervesystemet	Ja	Standard godkendelse		
Luxturna (Novartis) (25)	22/11-18	Gen-terapi	Andre oftalmologiske lægemidler	Ja	Standard godkendelse		
MACI (Vericel Denmark ApS) (26)	27/06-13	Vævs-teknologi	Andre lægemidler til lidelser i bevægeapparatet	Nej	Godkendelse udløb 01/07-2018		Producent har ikke ønsket at forny markedsføringsgodkendelsen
Provenge (Dendreon UK Ltd) (27)	06/09-13	Celle-terapi	Andre immunstimulerende midler	Nej	Tilbage-trukket maj 2015		Producent ønskede permanent at afbryde markedsføringen af produktet af kommercielle årsager

Lægemiddel (Producent)	**Dato for god-kendelse**	**Type ATMP**	**Farmako-terapeutisk gruppe**	**Orphan Drug**	**Status**	**Indikationer**	**Kommentar**
Roctavian (BioMarin International Limited) (28)	24/08-22	Gen-terapi	Antihæmorragika	Ja	Betinget godkendelse		
Skysona (bluebird bio (Netherlands) B.V.) (29)	16/07-21	Gen-terapi	Andre lægemidler til nervesystemet	Ja	Tilbage-trukket november 2021		Producent ønskede permanent at afbryde markedsføringen af produktet af kommercielle årsager
Spherox (CO.DON Gmbh) (30)	10/07-17	Vævs-teknologi	Andre lægemidler til lidelser i bevægeapparatet	Nej	Standard godkendelse		
Strimevelis (Fondazione Telethon ETS) (31)	26/05-16	Gen-terapi	Andre immunstimulerende midler	Ja	Standard godkendelse		
Tecartus (Kite Pharma) (32)	14/12-20	Celle-terapi	Antineoplastiske midler (cancerterapi)	Ja	Betinget godkendelse	I – Mantelcelle-lymfom II – ALL[3]	
Upstaza (PTC Therapeutics International Limited) (33)	18/07-22	Gen-terapi	Andre fordøjelses- og stofskifteprodukter + Enzymer	Ja	Ekstra-ordinær godkendelse		

Lægemiddel (Producent)	**Dato for god-kendelse**	**Type ATMP**	**Farmako-terapeutisk gruppe**	**Orphan Drug**	**Status**	**Indikationer**	**Kommentar**
Yescarta (Kite Pharma) (34)	23/08-18	Gen-terapi	Antineoplastiske midler (cancerterapi)	Ja	Standard godkendelse	I – DLBCL[1] 3. linje behandling	
						II – FL[2]	
						III – DLBCL[1] 2. linje behandling	
Zalmoxis (MolMed SpA) (35)	18/08-16	Celle-terapi	Antineoplastiske midler (cancerterapi)	Ja	Tilbage-trukket 9/10-2019		Producent ønskede permanent at afbryde markedsføringen af produktet af kommercielle årsager
Zolgensma (Novartis) (36)	18/05-20	Gen-terapi	Andre lægemidler til lidelser i bevægeapparatet	Ja	Betinget godkendelse		
Zynteglo (bluebird bio (Netherlands) B.V.) (37)	29/05-19	Gen-terapi	Andre hæmatologiske midler	Ja	Tilbage-trukket marts 2022		Producent ønskede permanent at afbryde markedsføringen af produktet af kommercielle årsager

[1]DLBCL = Diffust storcellet B-celle-lymfom
[2]FL = Follikulært lymfom
[3]ALL = Akut lymfatisk leukæmi
Farveforklaring: Grå = godkendelsen er tilbagetrukket af EMA

3. Anbefalede ATMP'er i de udvalgte lande

Følgende afsnit er opgjort på typer af ATMP'er, som er anbefalet til behandling i Danmark, Norge, Sverige og England. En andel af de anbefalede ATMP'er er opgjort på flere indikationer, hvor der i de forskellige lande kan være lavet forskellige anbefalinger for de forskellige indikationer, som vist i Tabel 2. Nogle af de ansøgte lægemidler er kategoriseret som 'suspenderet'. En suspendering indebærer i de fleste tilfælde, at godkendelsen af det ansøgte lægemiddel i EMA er ophørt enten fordi den er trukket tilbage, ikke er blevet fornyet af producenten eller fordi producenten enten trækker evidens tilbage eller ikke formår at levere den nødvendige evidens. Dette medfører at ansøgningen om anbefaling i de pågældende lande bliver arkiveret og dermed ikke færdigbehandles.

Af de 31 EMA-godkendte ATMP-indikationer er kun tre blevet anbefalet i både Danmark, Norge, Sverige og England. Her er der tale om Kymriah (Indikation I, akut lymfatisk leukæmi), Luxturna og Zolgensma (Tabel 2). Der ses uenighed i anbefalingerne på tværs af Danmark, Norge, Sverige og England. I Danmark er kun 13 (42%) af de 31 EMA-godkendte ATMP-indikationer blevet ansøgt. Der ses en forskel på antallet af ansøgte indikationer når dette sammenlignes med bl.a. Norge hvor 21 (70%) er ansøgt og Sverige hvor 20 (65%) er ansøgt. I Danmark er det kun fem (16%), af de ansøgte ATMP-indikationer, som er blevet anbefalet til behandling af Medicinrådet, hvor der i Norge er 7 (22%) og i Sverige er 6 (19%), som er blevet anbefalet (Tabel 2).

I England har NICE, i kontrast til Danmark, Norge og Sverige, anbefalet en større andel af ATMP-indikationer. NICE har anbefalet 13 af de 31 (42%) EMA-godkendte indikationer. Dog ses der i England også en højere andel af ansøgte ATMP'er, hvor det i alt er 28 indikationer (90%), som er blevet ansøgt. De tre lægemidler, som ikke er ansøgt i England, er en del af de ATMP'er, som er tilbagetrukket af EMA. På nuværende tidspunkt er alle de EMA-godkendte ATMP'er blevet ansøgt i England. Når der sammenlignes med Danmark, Norge og Sverige tyder det overordnet set på at lægemidlerne bliver ansøgt i England først (Tabel 2).

Tabel 2: Nationale anbefalinger af EMA-godkendte ATMP'er				
Lægemiddel (Producent)	**Danmark**	**Norge**	**Sverige**	**England**
Abecma (Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG)	Ikke ansøgt	Under behandling[4] 17/09-20 (38)	Under behandling 24/01-22 (39)	**Suspenderet** 30/11-23 (40)
Alofisel (Takeda Pharma A/S)	Ikke anbefalet 12/12-18 (41)	Anbefales 28/01-19 (42) Tidligere: Ikke anbefalet 24/09-18	Ikke anbefalet 28/06-18 (43)	Ikke anbefalet 09/01-19 (44)
Breyanzi (Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG)	**Indikation I - 3. linje behandling**			
	Ikke ansøgt	**Suspenderet** 28/08-23 (45)	Under behandling 01/07-22 (46)	**Suspenderet** 09/11-21 (47)
	Indikation II - 2. linje behandling			
	Ikke ansøgt	Under behandling[4] 15/09-22 (48)	Ikke ansøgt	Under behandling 26/11-21 (49)
Carvykti (Jannsen-Cilag International NV)	Ikke anbefalet 27/09-23 (50)	Under behandling[4] 05/11-21 (51)	Under behandling 01/07-22 (52)	**Suspenderet** 17/05-23 (53)
Chondrocelect (TiGenix N.V) (tilbagetrukket i 2016)	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	**Suspenderet** 04/10/2017 (54) Tidligere: Ansøgning påbegyndt
Ebvallo (Pierre Fabre Medicament)	Under behandling 26/05-23 (55)	Under behandling[4] 17/02-22 (56)	Under behandling 17/02-23 (57)	**Suspenderet** 19/10-23 (58)
Glybera (uniQure biopharma B.V) (godkendelse udløb i 2017)	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt

Lægemiddel (Producent)	**Danmark**	**Norge**	**Sverige**	**England**
Hemgenix (CSL Behring GmbH)	Ikke anbefalet 22/11-23 (59)	Under behandling[4] 20/06-22 (60)	Under behandling 22/05-23 (61)	Under behandling 01/11-22 (62)
Holoclar (Holostem)	Delvist anbefalet 10/10-18 (63) Tidligere: Ikke anbefalet 01/03-16 (64)	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	Anbefalet 16/08-17 (65)
Imlygic (Amgen Europe B.V.)	Ikke ansøgt	Ikke anbefalet 11/06-18 (66)	Ikke ansøgt	Anbefales 28/09-16 (67)
Kymriah (Novartis)	**Indikation I – ALL[3]**			
	Anbefales 30/01-19 (68)	Anbefales 17/12-18 (69)	Anbefales 17/05-19 (70)	Anbefales 21/12-18 (71)
	Indikation II – DLBCL[1]			
	Under behandling (Revurdering) 31/08-23 (72) Tidligere: Ikke anbefalet 20/02-19 (73)	Ikke anbefalet 18/10-22 (74)	Ikke anbefalet 29/04-20 (70)	Ikke anbefalet 29/11-23 (75) Tidligere: Anbefalet Ukendt dato (75)
	Indikation III – FL[2]			
	Ikke ansøgt	Under behandling[4] 13/12-21 (76)	Under behandling 13/01-23 (70)	Ikke anbefalet 22/11-22 (77)
Libmeldy (Orchard Therapeutics (Netherlands) BV)	**Suspenderet** 24/06-22 (78) Tidligere: Ansøgning påbegyndt	Anbefales 19/06-23 (79)	Anbefales 20/01-23 (80)	Anbefales 28/03-22 (81)
Luxturna (Novartis)	Anbefales 23/4-20 (82)	Anbefales 24/4-23 (83)	Anbefales 12/12-22 (84)	Anbefales 09/10-19 (85)

Lægemiddel (Producent)	**Danmark**	**Norge**	**Sverige**	**England**
MACI (Vericel Denmark ApS) (Godkendelse udløb 01/07-2018)	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	**Suspenderet** 04/10-17 (54) Tidligere: Ansøgning påbegyndt
Provenge (Dendreon UK Ltd) (tilbagetrukket maj 2015)	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	**Suspenderet** 19/05-15 (86) Tidligere: Ansøgning påbegyndt
Roctavian (BioMarin International Limited)	Ikke ansøgt	Under behandling[4] 21/09-20 (87)	Under behandling 27/10-22 (88)	Under behandling Ukendt dato (89)
Skysona (bluebird bio (Netherlands) B.V.) (Tilbagetrukket november 2021)	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt
Spherox (CO.DON Gmbh)	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	Anbefales 07/03-18 (90)
Strimvelis (Fondazione Telethon ETS)	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	Anbefales 07/02-18 (91)
Tecartus (Kite Pharma EU B.V.)	**Indikation I – Mantelcellelymfom**			
	Ikke ansøgt	Under behandling[4] 20/08-20 (92)	Anbefales 24/11-22 (93)	Anbefales 24/02-21 (94)
	Indikation II – ALL[3]			
	Ikke ansøgt	Under behandling[4] 17/09-21 (95)	Under behandling 23/01-23 (93)	Anbefales 07/06-23 (96)

Lægemiddel (Producent)	**Danmark**	**Norge**	**Sverige**	**England**
Upstaza (PTC Therapeutics International Limited)	Ikke ansøgt	Under behandling[4] 29/08-22 (97)	Under behandling 27/10-22 (98)	Anbefales 09/04-23 (99)
Yescarta (Kite Pharma EU B.V.)	**Indikation I (DLBCL[1] 3. linje behandling)**			
	Under behandling (Revurdering) 01/12-22 (100) Tidligere: Ikke anbefalet 15/05-19 (101)	Anbefales 18/10-22 (102)	Anbefales 06/09-19 (103)	Anbefales 28/02-23 (104)
	Indikation II (FL[2])			
	Ikke ansøgt	Under behandling[4] 25/10-21 (105)	Under behandling 25/05-23 (103)	Ikke anbefalet 07/06-23 (106)
	Indikation III (DLBCL[1], 2. linje)			
	Anbefales 27/09-23 (107)	Anbefales 28/08-23 (108)	Under behandling 13/01-23 (103)	Anbefales 07/06-23 (109)
Zalmoxis (MolMed SpA) (Tilbagetrukket 9/10-2019)	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt	Ikke ansøgt
Zolgensma (Novartis Europharm Limited)	Anbefales 26/05-21 (110)	Anbefales 25/10-21 (111)	Anbefales 04/09-23 (112)	Anbefales 07/07-21 (113)
Zynteglo (bluebird bio (Netherlands) B.V.) (Tilbagetrukket marts 2022)	**Suspenderet** 24/06-21 (114) Tidligere: Ansøgning påbegyndt	**Suspenderet** Tidligere: Ikke anbefalet 23/11-20 (115)	**Suspenderet** Tidligere: Ikke anbefalet 30/11-20 (116)	**Suspenderet** 16/12-22 (117) Tidligere: Ansøgning påbegyndt

[1]DLBCL = Diffust storcellet B-celle-lymfom
[2]FL = Follikulært lymfom
[3]ALL = Akut lymfatisk leukæmi
[4]Under anbefaling i Norge kan både betyde betinget godkendelse og at det er under vurdering
Farveforklaring: Grå = tilbagetrukket i EMA, Grøn = Anbefalet, Gul = Under behandling og Rød = Ikke anbefalet

4. ATMP'er i Danmark

Medicinrådet vurderer, om et lægemiddel kan anbefales som standardbehandling på danske sygehuse. På baggrund af den tilgængelige evidens vurderer rådet, om de kliniske effekter og sikkerheden af lægemidlet er rimelige i forhold til de omkostninger, der er ved behandlingen (118). I Danmark har Medicinrådet på nuværende tidspunkt anbefalet fem ATMP'er til behandling; Luxturna, Zolgensma, Kymriah, Yescarta og Holoclar. Behandlingen med Holoclar er blevet delvist anbefalet til en særlig gruppe patienter (Tabel 3). Den delvise anbefaling skyldes, at Medicinrådet har vurderet, at behandlingen udelukkende vil skabe stor klinisk merværdi for en specifik patientgruppe (patienter uden funktionelt syn på begge øjne)(63).

4.1 Antal patienter behandlet med ATMP'er i Danmark

Patientpopulationen fra ansøgningerne i Medicinrådet stemmer for de anbefalede ATMP'er ikke helt overens med antallet, som har modtaget behandling. Siden anbefaling af lægemidlet Holoclar i 2018 er kun én blevet behandlet på trods af, at der ses fem nye tilfælde årligt, hvilket blandt andet også kan skyldes den delvis anbefaling, som begrænser patientpopulationen (63). Det samme gør sig gældende for Luxturna, hvor der kun er behandlet ca. 13 patienter siden det blev anbefalet i 2020, trods en anslået behandlingskrævende patientpopulation på 20 samt 0,5-1 nye tilfælde pr. år herefter (119). Antallet af behandlede med de andre tre anbefalede ATMP'er kendes ikke (fortroligt), men for Holoclar og Luxturna tyder det på, at antallet af behandlede patienter er mindre end den anslåede patientpopulation i ansøgningerne.

4.2 Betalingsaftaler for ATMP'er

I Danmark er det Amgros, som står for at forhandle priser med medicinalvirksomhederne til anbefalede præparater (120). Overordnet set findes der to typer betalingsaftaler i Amgros; økonomisk- og effektbaserede betalingsaftaler. Amgros har i en rapport fra 2022 opgivet 10 forskellige typer af alternative økonomiskbaserede betalingsaftaler. De økonomiske betalingsaftaler indebærer blandt andet at der fra producentens side gives en flad rabat, dvs. en procentvis rabat. Indenfor de effektbaserede betalingsaftaler angives tre alternative typer effektbaserede finanseringsaftaler. Den første indebærer betaling ved effekt, hvor prisen justeres på baggrund af et allerede defineret effektmål. Her er det muligt at afvente med betaling til effekten opnås eller få fuld

eller delvis refusion, hvis effektmålet ikke opnås. Derudover beskrives en ratebetalingsmodel, som kan anvendes til behandlinger med høj engangsbetaling, der administreres én gang. Betalingen kan deles op i rater og kobles på et effektmål. Afslutningsvist beskrives en betinget anbefaling, som er mulig, hvis anbefalingen er betinget af, at der indsamles yderligere evidens, hvorefter anbefalingen kan revurderes (121).

Amgros lavede første aftale med en effektbaseret betalingsaftale i 2020. Denne aftale blev indgået med Novartis om lægemidlet Luxturna, hvor betalingsaftalen var en ratebaseret betaling, som også var resultatbaseret. Denne type aftale stiller dog høje krav til monitorering af forudbestemte effektmål, hvilket kan have store implikationer for praksis (122). Blandt de anbefalede ATMP'er i Danmark er det kun Luxturna, der er lavet en resultatbaseret betalingsaftale på. For Zolgensma og Kymriah er der lavet en økonomisk betalingsaftale på baggrund af en flad rabat. Der er ikke givet samtykke til at dele aftalemodellen for Yescarta, men det oplyses fra Amgros, at Kite Pharma har givet rabat. Amgros har derudover oplyst, at de på nuværende tidspunkt ikke har nogen gældende betalingsaftale for Holoclar, men behandlingen er trods dette forsat anbefalet som standardbehandling af Medicinrådet.

Tabel 3: Anbefalede ATMP'er i Medicinrådet

Lægemiddel (Producent)	**Standard-behandling**	**Beslutning**	**Patient population** (prævalens)	**Kliniske effekter**	**Inkrementelle omkostninger**	**Betalings-aftale**
Luxturna (Norvartis) (123)	Ingen aktiv behandling	Anbefalet	20 (0,5-1 pr. år)	Vigtig klinisk merværdi (Bedring i syn)	5,224 mio pr. patient	Effektbaseret betalings-aftale (122)
Zolgensma (Norvartis) (124)	Spiranza	Anbefalet	6 (6 pr. år)	Samme effekt som komparator	Efter 9 år – herefter vil Zolgensma være mindre omkostningskr ævende.	Flad rabat

Lægemiddel (Producent)	**Standard-behandling**	**Beslutning**	**Patient population** (prævalens)	**Kliniske effekter**	**Inkrementelle omkostninger**	**Betalings-aftale**
Yescarta (Kite Pharma) (107)	**Indikation III – DLBCL[3] 2. Linje**					
	Celletransplantationsforløb	Anbefalet	Ukendt (50 pr. år) 30 behandles årligt	3,6 QALY	646.763 kr. pr. QALY	-
Kymriah (Novartis) (125)	**Indikation I – ALL[2]**					
	SoC[1]	Anbefalet	Ukendt (30 pr. år)	Stor klinisk merværdi (Median overlevelse på min. 12 måneder + fordoblet overlevelsesrate)	2,4 mio pr. patient	Flad rabat
Holoclar (Holostem s.r.l) (63)	SoC[1]	Delvist anbefalet	100 (5 pr. år)	Stor klinisk merværdi (Gør blinde seende)	753.222 kr. pr. øje	Ingen aftale

[1]SoC = Standard of Care og indebærer at der findes flere forskellige måder at behandle sygdommen på, hvorfor dette er sammenligningsgrundlaget som komparator.
[2]ALL = Akut lymfatisk leukæmi
[3]DLBCL = Diffust storcellet B-celle-lymfom

Der er fem af de ansøgte behandlinger, som ikke er blevet anbefalet af Medicinrådet. Dette indebærer behandlingen med lægemidlerne Kymirah (Indikation II, diffust storcellet B-celle lymfom), Carvykti, Alofisel, Yescarta (Indikation III, Diffust storcellet B-celle-lymfom 3. linje behandling) og Hemgenix (Tabel 4). Medicinrådet angiver forskellige årsager til at behandlingerne ikke er anbefalet. Hovedårsagen er, at ATMP'erne er vurderet til ikke at give en klinisk merværdi som står i rimeligt forhold til omkostningerne, når man sammenligner med den bedste tilgængelige behandling eller nuværende standard behandling. Her angives samtidigt for tre af ansøgningerne, at det ikke har været muligt at dokumentere en klinisk merværdi (41,50,73,107). I april 2023 påbegyndte Medicinrådet dog en revurdering af Kymirah (Indikation II) samt Yescarta (Indikation III) efter forespørgsel fra producenterne (72).

For Kymriah (Indikation II) og Yescarta (Indikation III) ses der for hver af disse behandlinger en patientpopulation på 20-50 årligt, som havde været kandidater til behandlingen og for Carvykti ville 25 patienter årligt være egnet til behandling. Alofisel havde ved ansøgningstidspunktet en patient population på 540-555 som var egnet til behandling, men Alofisel har produktionsmæssige begrænsninger, som kun gør det muligt at behandle til 20-45 årligt. Hemgenix har en patient population på ca. 15, men antal nye tilfælde pr. år er ukendt. I ansøgningen i Medicinrådets antages det at 1 behandles årligt (Tabel 4). Hvis disse fem behandlinger var blevet anbefalet af Medicinrådet, ville det have betydet at i alt 86-171 patienter kunne være blevet behandlet årligt.

Tabel 4: Ikke anbefalede ATMP'er i Medicinrådet

Lægemiddel (Producent)	**Standard-behandling**	**Beslutning**	**Patient population** (prævalens)	**Kliniske effekter**	**Inkrementelle omkostninger**
Alofisel (Takeda Pharma) (41)	Placebo + kirurgi	Ikke anbefalet	540-555 (ukendt)	Ikke dokumenterbar klinisk merværdi	400.000 DKK pr. patient
Carvykti (Jannsen-Cilag Int.) (50)	SoC[1]	Ikke anbefalet	Ukendt (25 pr. år)	4,6 QALY	601.237 DKK pr. QALY
Kymriah (Novartis) (73)	**Indikation II – DLBCL[2]**				
	Dexamethason, cytarabin og cisplatin	Ikke anbefalet (Revurderes)	Ukendt (25-50 pr. år)	Ikke dokumenterbar klinisk merværdi	2,6 mio. DKK pr. patient
Yescarta (Kite Pharma) (107)	**Indikation I – DLBCL[2] 3. Linje**				
	SoC[1]	Ikke anbefalet (Revurderes)	Ukendt (25-50 pr. år)	Ikke dokumenterbar klinisk merværdi	3,05 mio. DKK pr. patient
Hemgenix (CSL Behring GmbH) (59)	Refixia	Ikke anbefalet	Ca. 15 (Ukendt)	0,26 QALY	Dominant
Ebvallo (Pierre Fabre Medicament)		Under behandling	-	-	-

[1]SoC = Standard of Care og indebærer at der findes flere forskellige måder at behandle sygdommen på, hvorfor dette er sammenligningsgrundlaget som komparator.
[2]DLBCL = Diffust storcellet B-celle-lymfom

4.3 Ikke ansøgte ATMP'er

I alt 10 ATMP'er er ikke ansøgt i Danmark. Der er fundet data fra ansøgninger fra andre lande, henholdsvis Norge, Sverige og England, for at kunne give et bud på, hvor mange patienter der i Danmark kunne have fået behandling, hvis lægemidlerne havde været ansøgt og anbefalet, som behandling af Medicinrådet. Der ses generelt manglende oplysninger i tabellen, hvilket skyldes at en del oplysninger ikke fremgår af den offentliggjorte vurdering af kommercielle årsager eller fordi ansøgningen er suspenderet eller under behandling. Patientpopulationen for Danmark er udregnet på baggrund af forskelle i populationsstørrelser. Der er beregnet med en antagelse om en ratio mellem Sverige og Danmark på 0,56, mellem Norge og Danmark på 1,08 og mellem England og Danmark på 0,10 (126–128).

Tabel 5: ATMP'er som ikke er ansøgt i Medicinrådet

Lægemiddel (Producent)	**Standard-behandling**	**Incidens**	**Effektmål**	**Inkrementelle omkostninger**
Abecma (Bristol - Myers Squibb Pharma EEIG)	Sverige (39): SoC[1]	Sverige (39): 50 pr. år Danmark: 28 pr. år	Sverige (39): 1,21 QALY	Sverige (39): 2,8 mio. SEK pr. QALY
Breyanzi (Bristol - Myers Squibb Pharma EEIG)	**Indikation I – 3. linje behandling**			
	Norge (45): SoC[1]	(Obs ikke alle er kandidater) Sverige (44): DLBCL[2]: 500-600 pr. år PMBCL[3]: 10 pr. år Norge (45): FL[4] (grad 3B): 200 pr år Danmark: DLBCL[2]: 280-336 pr. år PMBCL[3]: 5-6 pr. år FL[4] (grad 3B): 216 pr. år	-	-

Lægemiddel (Producent)	**Standard-behandling**	**Incidens**	**Effektmål**	**Inkrementelle omkostninger**
Breyanzi (Bristol - Myers Squibb Pharma EEIG)	**Indikation II – 2. linje behandling**			
	-	Samme population som indikation I (48)	-	-
Imlygic (Amgen Europe)	Norge (66): Ipilimumab England (67): Ipilimumab samt vemurafenib og dabrafenib	Norge (66): 15 pr. år Danmark: 16 pr. år	-	England (67): 24.000 GBP pr. QALY
Kymriah (Novartis)	**Indikation III – FL[4]**			
	-	-	-	-
Roctavian (BioMarin International)	-	-	-	-
Spherox (CO.DON Gmbh)	England (90): Microfraktur og støttende behandling	-	-	England (90): 4.360 GBP pr. QALY
Strimevelis (Fondazione Telethon ETS)	England (91): 1) Matchet ikke-relateret donor hæmatopoietisk stamcelletransplantation 2) Haploidentisk stamcelletransplantation	England (91): 3 pr. år Danmark:1 hvert tredje år.	England (91): 1) 1,4 QALY 2) 1,96 QALY	England (91): 1) 36.360 GBP pr. QALY 2) 14.645 GBP pr. QALY

Lægemiddel (Producent)	**Standard-behandling**	**Incidens**	**Effektmål**	**Inkrementelle omkostninger**
Tecartus (Kite Pharma)	**Indikation I – Mantelcellelymfom**			
	England (94): Rituximab-Bendamustine Cytarabine	Norge (92): 4-8 pr. år for begge indikationer Danmark: 4-9 pr. år for begge indikationer	Sverige (93): 3,54 QALY	England (94): 58.223 GBP pr. QALY Sverige (93): 1,1 mio. SEK pr. QALY
	Indikation II – ALL[5]			
	England (96): inotuzumab, blinatumomab og ponatinib	Norge (95): 4-8 pr. år for begge tecartus indikationer Danmark: 4-9 pr. år for begge indikationer	-	England (96): Over 50.000 GBP pr. QALY
Upstaza (PTC Therapeutics International Limited)	England (99): SoC[1] Sverige (98): SoC[1]	Sverige (98): Prævalens I EU 1:118.000 Danmark: 50 + 0,75 pr. år	-	-
Yescarta (Kite Pharma EU B.V.)	**Indikation II – FL[4]**			
	England (106): Blandet komparator – ingen standard behandling.	-	-	England (106): Over 40.000 GBP pr. QALY

[1]SoC = Standard of Care og indebærer at der findes flere forskellige måder at behandle sygdommen på, hvorfor dette er sammenligningsgrundlaget som komparator.
[2]DLBCL = Diffust storcellet B-celle-lymfom
[3]PMBCL = Primær mediastinal B-celle-lymfom
[4]FL = Follikulært lymfom
[5]ALL = Akut lymfatisk leukæmi

5. Sammenfatning

EMA har på nuværende tidspunkt godkendt 25 ATMP'er (31 indikationer), heraf er syv godkendelser blevet tilbagetrukket. I Danmark er 13 indikationer blevet ansøgt, hvoraf fem er blevet anbefalet og fem ikke er blevet anbefalet, mens de sidste er under behandling eller er suspenderet. Patientpopulationen for de anbefalede indikationer i Danmark stemmer ikke overens med de faktisk behandlede patienter, hvorfor de forventede patientpopulationer tyder på at være overestimater af de sande populationer, som modtager behandlingerne. Andelen af anbefalede ATMP'er i Danmark på 16% er på niveau med andelen i Norge og Sverige, med henholdsvis 22% og 19% anbefalede ATMP'er (Tabel 6). Der ses en forskel, når disse lande sammenlignes med England, hvor 42% af indikationerne er anbefalet af NICE. Det ses at virksomhederne generelt ansøger om anbefaling i England som et af de første lande, sammenlignet med Danmark, Norge og Sverige. Samtidig er alle EMA-godkendte indikationer ansøgt i England. De tre lægemidler, som ikke er ansøgt i England, er en del af de ATMP'er, som er tilbagetrukket af EMA.

Tabel 6: Samlet oversigt over anbefalede og ansøgte ATMP'er i England, Sverige, Norge og Danmark

Lande	Anbefalede	Ansøgte	Anbefalede af ansøgte
England	13 (42%)	28 (90%)	46%
Sverige	6 (19%)	20 (65%)	30%
Norge	7 (22%)	22 (71%)	32%
Danmark	5 (16%)	13 (42%)	38%

Denne tabel er opgjort på alle 25 ATMP'er (31 indikationer), som gennem tiden har været godkendt i EMA, herunder også de syv ATMP'er, som er tilbagetrukket.

I en stor andel af vurderingsrapporterne fra Medicinrådet ses det, at meromkostningerne primært drives af prisen for lægemidlet. Dette betyder at prisforhandlingerne fra Amgros har stor betydning grundet de høje omkostninger ved ATMP'erne. En stor del af de anbefalede ATMP'er er baseret på en fladrabat, hvilket belyser muligheden for at få anbefalet ATMP'er på baggrund af økonomiske prisaftaler (Tabel 3).

Der ses for de ikke-anbefalede ansøgninger, at Medicinrådet vurderer, at der ikke er et rimeligt forhold mellem den kliniske merværdi og omkostningerne ved behandlingen.

Et andet argument for at Medicinrådet ikke anbefaler en række af ATMP'erne angives som manglende dokumentation for den kliniske merværdi. Det betyder, at der i en del af ansøgningerne er dokumenteret en effekt, men grundet usikkerhed i det leverede evidensgrundlag vurderer Medicinrådet en manglende dokumentation af effekten af ATMP'en. En væsentlig andel af ansøgningerne er således kategoriseret som havende en lav kvalitet af evidens.

Ses der på de EMA-godkendte ATMP'er så er 21 ud af 25 betegnet som Orphan drugs (Tabel 1). Den måde EMA godkender medicin til markedsføring i EU gør det muligt at få markedsføringsgodkendelse i EU trods små patientpopulationer og udfordringer med at levere tilstrækkelig evidens. Der ses dog trods dette forsat problemer med at levere tilstrækkelig evidens i forhold til Medicinrådets krav for anbefaling.

Den Europæiske kommission vedtog i 2021 en lovgivning for fremtidigt at skabe ensartede rammer for MTV-samarbejdet i EU. Fra 2025 vil dette gradvist træde i kraft, hvor det første vil blive implementeret for nye kræft- og ATMP-produkter, herefter vil det i 2028 blive implementeret for Orphan Drugs og i 2030 for de resterende lægemidler udenfor disse kategorier. Denne lovgivning betyder, at det fremover er en forpligtelse for producenterne og medlemslandene at foretage fælles kliniske vurderinger. Disse vurderinger vil dog ikke være bindende for medlemslandene, men skal betragtes i den nationale MTV-enhed disse lande (129).

6. Litteraturliste

1. EMA. European Medicines Agency. 2018 [henvist 29. november 2023]. Advanced therapy medicinal products: Overview. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview

2. Wadmann S, Højgaard B. Avancerede terapier (ATMP). Vive viden til velfærd det nationale forsknings- og analysecenter for velfærd; 2021.

3. Lægemiddelindustriforeningen. Danmark skal være førende i at sikre patienter adgang til nye avancerede terapier (ATMP) [Internet]. 2022 [henvist 29. november 2023]. Tilgængelig hos: http://publikationer.lif.dk/danmark-skal-vaere-foerende-i-at-sikre-patienter-adgang-til-nye-avancerede-terapier-atmp/?page=4

4. EMA. CAT quarterly highlights and approved ATMPs [Internet]. European Medicines Agency; 2023 [henvist 20. december 2023]. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/documents/committee-report/cat-quarterly-highlights-and-approved-atmps-october-2023_en.pdf

5. Medicinrådet.dk [Internet]. [henvist 29. november 2023]. Medicinrådet. Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk

6. Nye Metoder [Internet]. [henvist 29. november 2023]. Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/

7. janusinfo.se [Internet]. [henvist 29. november 2023]. Regionernas Samverkansmodell för Läkemedel. Tilgængelig hos: https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida.4.23fc08ed187eae25858c4eb0.html

8. TLV.se [Internet]. [henvist 29. november 2023]. TLV - Tandvårds- och Läkemedelsförmånsverket. Tilgængelig hos: https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida.4.23fc08ed187eae25858c4eb0.html

9. NICE [Internet]. NICE; [henvist 29. november 2023]. NICE | The National Institute for Health and Care Excellence. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/

10. EMA. Procedural advice on the evaluation of advanced therapy medicinal product in accordance with Article 8 of Regulation (EC) No 1394/2007. 2018.

11. EMA. European Medicines Agency. 2018 [henvist 29. november 2023]. Conditional marketing authorisation. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/marketing-authorisation/conditional-marketing-authorisation

12. EMA. European Medicines Agency. [henvist 8. januar 2024]. Orphan designation: Overview. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/orphan-designation-overview

13. EMA. European Medicines Agency. 2021 [henvist 29. november 2023]. Abecma. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/abecma

14. EMA. European Medicines Agency. 2018 [henvist 29. november 2023]. Alofisel. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/alofisel

15. EMA. European Medicines Agency. 2022 [henvist 29. november 2023]. Breyanzi. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/breyanzi

16. EMA. European Medicines Agency. 2022 [henvist 29. november 2023]. Carvykti. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/carvykti

17. EMA. European Medicines Agency. 2018 [henvist 29. november 2023]. ChondroCelect. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/chondrocelect

18. EMA. European Medicines Agency. 2022 [henvist 29. november 2023]. Ebvallo. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ebvallo

19. EMA. European Medicines Agency. 2018 [henvist 29. november 2023]. Glybera. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/glybera

20. EMA. European Medicines Agency. 2022 [henvist 29. november 2023]. Hemgenix. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/hemgenix

21. EMA. European Medicines Agency. 2018 [henvist 29. november 2023]. Holoclar. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/holoclar

22. EMA. European Medicines Agency. 2018 [henvist 29. november 2023]. Imlygic. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/imlygic

23. EMA. European Medicines Agency. 2018 [henvist 29. november 2023]. Kymriah. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/kymriah

24. EMA. European Medicines Agency. 2020 [henvist 29. november 2023]. Libmeldy. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/libmeldy

25. EMA. European Medicines Agency. 2018 [henvist 29. november 2023]. Luxturna. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/luxturna

26. EMA. European Medicines Agency. 2018 [henvist 29. november 2023]. Maci. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/maci

27. EMA. European Medicines Agency. 2018 [henvist 29. november 2023]. Provenge. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/provenge

28. EMA. European Medicines Agency. 2022 [henvist 29. november 2023]. Roctavian. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/roctavian-0

29. EMA. European Medicines Agency. 2021 [henvist 29. november 2023]. Skysona. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/skysona

30. EMA. European Medicines Agency. 2018 [henvist 29. november 2023]. Spherox. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/spherox

31. EMA. European Medicines Agency. 2018 [henvist 29. november 2023]. Strimvelis. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/strimvelis

32. EMA. European Medicines Agency. 2020 [henvist 29. november 2023]. Tecartus. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/tecartus

33. EMA. European Medicines Agency. 2022 [henvist 29. november 2023]. Upstaza. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/upstaza

34. EMA. European Medicines Agency. 2018 [henvist 29. november 2023]. Yescarta. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/yescarta

35. EMA. European Medicines Agency. 2018 [henvist 29. november 2023]. Zalmoxis. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/zalmoxis

36. EMA. European Medicines Agency. 2020 [henvist 29. november 2023]. Zolgensma. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/zolgensma

37. EMA. European Medicines Agency. 2019 [henvist 29. november 2023]. Zynteglo. Tilgængelig hos: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/zynteglo

38. Nye Metoder. Nye Metoder. 2020 [henvist 13. december 2023]. Idecabtagene vicleucel. Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/idecabtagene-vicleucel

39. NT-rådet. Regionernas Samverkansmodell För Läkemedel. 2022 [henvist 13. december 2023]. Abecma (idekabtagen-vikleucel). Tilgængelig hos: https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/produktinfo/abecmaidekabtagenvikleucel.4.2859d99b17e6d9cce3571f3b.html

40. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2023 [henvist 13. december 2023]. Idecabtagene vicleucel for treating relapsed and refractory multiple myeloma after 3 or more treatments (terminated appraisal). Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/TA936

41. Medicinrådet. Medicinrådet. 2018 [henvist 13. december 2023]. Darvadstrocel (Alofisel). Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/d/darvadstrocel-alofisel-komplekse-perianale-fistler-ved-crohns-sygdom

42. Nye Metoder. Nye Metoder. 2019 [henvist 13. december 2023]. Darvadstrocel (Alofisel). Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/darvadstrocel-alofisel

43. NT-rådet. Regionernas Samverkansmodell För Läkemedel. 2018 [henvist 13. december 2023]. Alofisel (darvadstrocel). Tilgængelig hos:

https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/produktinfo/alofiseldarvadstrocel.4.1dfa69ad1630328ad7c451bc.html

44. National Institute for Health and Care Excellence [Internet]. NICE; 2019 [henvist 13. december 2023]. Darvadstrocel for treating complex perianal fistulas in Crohn's disease. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/ta556

45. Nye Metoder. Nye Metoder. 2023 [henvist 13. december 2023]. Lisokabtagen maraleucel (Breyanzi) - Indikasjon I og II. Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/lisokabtagen-maraleucel-breyanzi-indikasjon-i-og-ii

46. NT-rådet. Regionernas Samverkansmodell För Läkemedel. 2022 [henvist 13. december 2023]. Breyanzi (lisokabtagen-maraleucel). Tilgængelig hos: https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/produktinfo/breyanzilisokabtagenmaraleucel.4.339f721f17f1b49461f405df.html

47. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2021 [henvist 13. december 2023]. Lisocabtagene maraleucel for treating relapsed or refractory aggressive B-cell non-Hodgkin lymphoma. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-ta10477

48. Nye Metoder. Nye Metoder. 2022 [henvist 13. december 2023]. Lisokabtagen maraleucel (Breyanzi) - Indikasjon III. Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/lisokabtagen-maraleucel-breyanzi-indikasjon-iii

49. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2021 [henvist 13. december 2023]. Lisocabtagene maraleucel for treating relapsed or refractory aggressive B-cell non-Hodgkin lymphoma after 1 systemic treatment. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/awaiting-development/gid-ta10757

50. Medicinrådet. Medicinrådet. 2023 [henvist 13. december 2023]. Ciltacabtagene autoleucel (Carvykti). Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/c/ciltacabtagene-autoleucel-carvykti-knoglemarvskraeft

51. Nye Metoder. Nye Metoder. 2021 [henvist 13. december 2023]. Ciltacabtagene autoleucel (Carvykti). Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/ciltacabtagene-autoleucel-carvykti

52. NT-rådet. Regionernas Samverkansmodell För Läkemedel. 2022 [henvist 13. december 2023]. Carvykti (ciltakabtagen-autoleucel). Tilgængelig hos: https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/produktinfo/carvykticiltakabtagenautoleucel.4.4915ab2217f446efa3425de8.html

53. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2023 [henvist 13. december 2023]. Ciltacabtagene autoleucel for treating relapsed or refractory multiple myeloma (terminated appraisal). Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/ta889

54. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2017 [henvist 13. december 2023]. Autologous chondrocyte implantation for treating symptomatic articular cartilage defects of the knee. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/ta477/chapter/2-The-technologies

55. Medicinrådet. Medicinrådet. 2023 [henvist 13. december 2023]. Tabelecleucel (Ebvallo). Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/igangvaerende-vurderinger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/tabelecleucel-ebvallo-post-transplantations-lymfoproliferativ-sygdom-ptld

56. Nye Metoder. Nye Metoder. 2022 [henvist 13. december 2023]. Tabelecleucel (Ebvallo). Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/tabelecleucel-ebvallo

57. NT-rådet. Regionernas Samverkansmodell För Läkemedel. 2023 [henvist 13. december 2023]. Ebvallo (tabelekleucel). Tilgængelig hos: https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/produktinfo/ebvallotabelekleucel.4.1e167d15183ed80f04b58993.html

58. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2023 [henvist 13. december 2023]. Tabelecleucel for treating post-transplant lymphoproliferative disorder caused by the Epstein-Barr virus (terminated appraisal). Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/ta923

59. Medicinrådet. Medicinrådet. 2023 [henvist 13. december 2023]. Etranacogene dezaparvovec (Hemgenix). Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/e/etranacogene-dezaparvovec-hemgenix-haemofili-b

60. Nye Metoder. Nye Metoder. 2022 [henvist 13. december 2023]. Etranacogene dezaparvovec. Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/etranacogene-dezaparvovec

61. NT-rådet. Regionernas Samverkansmodell För Läkemedel. 2023 [henvist 13. december 2023]. Hemgenix (etranakogen-dezaparvovek). Tilgængelig hos: https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/produktinfo/hemgenixetranakogendezaparvovek.4.1e167d15183ed80f04bcee6b.html

62. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2022 [henvist 13. december 2023]. Etranacogene dezaparvovec for treating moderately severe or severe haemophilia B. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-ta10699

63. Medicinrådet. Medicinrådet. 2018 [henvist 13. december 2023]. Limbale stamceller (Holoclar). Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/l/limbale-stamceller-holoclar-limbal-stamcellemangel

64. KRIS. KRIS. 2016 [henvist 13. december 2023]. Ikke-anbefalede lægemidler. Tilgængelig hos: https://www.regioner.dk/kris/services/ikke-anbefalede-laegemidler/

65. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2017 [henvist 13. december 2023]. Holoclar for treating limbal stem cell deficiency after eye burns. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/ta467

66. Nye Metoder. Nye Metoder. 2018 [henvist 13. december 2023]. Talimogene laherparepvec (Imlygic/T-Vec). Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/talimogene-laherparepvec-imlygict-vec-

67. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2016 [henvist 13. december 2023]. Talimogene laherparepvec for treating unresectable metastatic melanoma. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/ta410

68. Medicinrådet. Medicinrådet. 2019 [henvist 13. december 2023]. Tisagenlecleucel (Kymriah). Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/t/tisagenlecleucel-kymriah-akut-lymfatisk-leukaemi

69. Nye Metoder. Nye Metoder. 2018 [henvist 13. december 2023]. Tisagenlecleucel (Kymriah). Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/tisagenlecleucel-kymriah

70. NT-rådet. Regionernas Samverkansmodell För Läkemedel. 2019 [henvist 13. december 2023]. Kymriah (tisagenlekleucel). Tilgængelig hos: https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/produktinfo/kymriahtisagenlekleucel.4.7c82b0fc1638b8db71b1bdfe.html

71. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2018 [henvist 13. december 2023]. Tisagenlecleucel for treating relapsed or refractory B-cell acute lymphoblastic leukaemia in people aged up to 25 years. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/ta554

72. Medicinrådet. Medicinrådet. 2023 [henvist 13. december 2023]. Tisagenlecleucel (Kymriah) - revurdering. Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/igangvaerende-vurderinger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/tisagenlecleucel-kymriah-diffust-storcellet-b-cellelymfom-3-linje

73. Medicinrådet. Medicinrådet. 2019 [henvist 13. december 2023]. Tisagenlecleucel (Kymriah). Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/t/tisagenlecleucel-kymriah-diffust-storcellet-b-celle-lymfom

74. Nye Metoder. Nye Metoder. 2022 [henvist 13. december 2023]. Tisagenlecleucel (Kymriah) - Indikasjon II. Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/tisagenlecleucel-kymriah-indikasjon-ii

75. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2023 [henvist 13. december 2023]. Tisagenlecleucel for treating relapsed or refractory diffuse large B-cell lymphoma after 2 or more systemic therapies (terminated appraisal). Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/ta933

76. Nye Metoder. Nye Metoder. 2021 [henvist 13. december 2023]. Tisagenlecleucel (Kymriah) - Indikasjon III. Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/tisagenlecleucel-kymriah-indikasjon-iii

77. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2022 [henvist 13. december 2023]. Tisagenlecleucel for treating follicular lymphoma after 2 or more therapies (terminated appraisal). Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/ta842

78. Medicinrådet. Medicinrådet. 2022 [henvist 13. december 2023]. OTL-200 - (Libmeldy). Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/arkiv/laegemidler-og-indikationsudvidelser/m-p/otl-200-libmeldy-metakromatisk-leukodystrofi

79. Nye Metoder. Nye Metoder. 2023 [henvist 13. december 2023]. Genterapi ex-vivo med funksjonell kopi av genet for arylsulfatase A (Libmeldy). Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/genterapi-ex-vivo-med-funksjonell-kopi-av-genet-for-arylsulfatase-a-libmeldy

80. NT-rådet. Regionernas Samverkansmodell För Läkemedel. 2023 [henvist 13. december 2023]. Libmeldy (atidarsagen-autotemcel). Tilgængelig hos: https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/produktinfo/libmeldyatidarsagenautotemcel.4.d7dd17917250a74628cca1f.html

81. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2022 [henvist 13. december 2023]. Atidarsagene autotemcel for treating metachromatic leukodystrophy. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/hst18/chapter/1-Recommendations

82. Medicinrådet. Medicinrådet. 2019 [henvist 13. december 2023]. Voretigene neparvovec (Luxturna). Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/v/voretigene-neparvovec-luxturna-synstab-som-folge-af-arvelig-rpe65-relateret-nethinde-dystrofi

83. Nye Metoder. Nye Metoder. 2021 [henvist 13. december 2023]. Voretigene Neparvovec (Luxturna). Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/voretigene-neparvovec-luxturna

84. NT-rådet. Regionernas Samverkansmodell För Läkemedel. 2021 [henvist 13. december 2023]. Regionerna rekommenderas att använda genterapin Luxturna vid ärftlig ögonsjukdom. Tilgængelig hos: https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/lakemedelordnatinforande/nyheter/nyheter/regionernarekommenderasattanvandagenterapinluxturnavidarftligogonsjukdom.5.5a28d653179add8888baa466.html

85. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2019 [henvist 13. december 2023]. Voretigene neparvovec for treating inherited retinal dystrophies caused by RPE65 gene mutations. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/hst11

86. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2015 [henvist 13. december 2023]. Sipuleucel-T for treating asymptomatic or minimally symptomatic metastatic hormone-relapsed prostate cancer. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/ta332

87. Nye Metoder. Nye Metoder. 2020 [henvist 13. december 2023]. Valoctocogene roxaparvovec (Roctavian). Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/valoctocogene-roxaparvovec-roctavian

88. NT-rådet. Regionernas Samverkansmodell För Läkemedel. 2022 [henvist 20. december 2023]. Roctavian (valoktokogen-roxaparvovek). Tilgængelig hos: https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/produktinfo/roctavianvaloktokogenroxaparvovek.4.477980d61840e604baf6bdce.html

89. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; [henvist 13. december 2023]. Valoctocogene roxaparvovec for treating severe haemophilia A. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/awaiting-development/gid-ta10682

90. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2018 [henvist 13. december 2023]. Autologous chondrocyte implantation using chondrosphere for treating symptomatic articular cartilage defects of the knee. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/ta508

91. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2018 [henvist 13. december 2023]. Strimvelis for treating adenosine deaminase deficiency–severe combined immunodeficiency. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/hst7

92. Nye Metoder. Nye Metoder. 2020 [henvist 13. december 2023]. Brexucabtagene autoleucel (Tecartus). Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/brexucabtagene-autoleucel-tecartus

93. NT-rådet. Regionernas Samverkansmodell För Läkemedel. 2022 [henvist 13. december 2023]. Tecartus (brexukabtagen-autoleucel). Tilgængelig hos: https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/produktinfo/tecartusbrexukabtagenautoleucel.4.5a14e89517534f01bd362577.html

94. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2021 [henvist 13. december 2023]. Brexucabtagene autoleucel for treating relapsed or refractory mantle cell lymphoma. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/ta677

95. Nye Metoder. Nye Metoder. 2021 [henvist 13. december 2023]. Brexucabtagene autoleucel (Tecartus) - Indikasjon II. Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/brexucabtagene-autoleucel-tecartus-indikasjon-ii

96. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2023 [henvist 13. december 2023]. Brexucabtagene autoleucel for treating relapsed or refractory B-cell acute lymphoblastic leukaemia in people 26 years and over. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/ta893

97. Nye Metoder. Nye Metoder. 2020 [henvist 13. december 2023]. Eladocagene exuparvovec (Upstaza). Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/eladocagene-exuparvovec-upstaza

98. NT-rådet. Regionernas Samverkansmodell För Läkemedel. 2022 [henvist 13. december 2023]. Upstaza (eladokagen-exuparvovek). Tilgængelig hos: https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/produktinfo/upstazaeladokagenexuparvovek.4.f2224621787416a75c5955b.html

99. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2023 [henvist 13. december 2023]. Eladocagene exuparvovec for treating aromatic L-amino acid decarboxylase deficiency. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/hst26

100. Medicinrådet. Medicinrådet. 2022 [henvist 13. december 2023]. Axicabtagene ciloleucel (Yescarta) - revurdering. Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/igangvaerende-vurderinger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/axicabtagene-ciloleucel-yescarta-diffust-storcellet-b-cellelymfom-3-linje

101. Medicinrådet. Medicinrådet. 2019 [henvist 13. december 2023]. Axicabtagene ciloleucel (Yescarta). Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/a/axicabtagene-ciloleucel-yescarta-diffust-storcellet-b-cellelymfom

102. Nye Metoder. Nye Metoder. 2022 [henvist 13. december 2023]. Axicabtagene ciloleucel (Yescarta). Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/axicabtagene-ciloleucel-yescarta

103. NT-rådet. Regionernas Samverkansmodell För Läkemedel. 2019 [henvist 13. december 2023]. Yescarta (axikabtagen ciloleucel). Tilgængelig hos: https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/produktinfo/yescartaaxikabtagencilole ucel.4.737fc4451643b8af77bdb09.html

104. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2023 [henvist 13. december 2023]. Axicabtagene ciloleucel for treating diffuse large B-cell lymphoma and primary mediastinal large B-cell lymphoma after 2 or more systemic therapies. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/ta872

105. Nye Metoder. Nye Metoder. 2021 [henvist 13. december 2023]. Axicabtagene ciloleucel (Yescarta) - Indikasjon II. Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/axicabtagene-ciloleucel-yescarta-indikasjon-ii

106. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2023 [henvist 13. december 2023]. Axicabtagene ciloleucel for treating relapsed or refractory follicular lymphoma. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/ta894

107. Medicinrådet. Medicinrådet. 2023 [henvist 13. december 2023]. Axicabtagene ciloleucel (Yescarta). Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/a/axicabtagene-ciloleucel-yescarta-diffust-storcellet-b-cellelymfom-2-linje

108. Nye Metoder. Nye Metoder. 2023 [henvist 13. december 2023]. Axicabtagene ciloleucel (Yescarta) - Indikasjon III. Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/axicabtagene-ciloleucel-yescarta-indikasjon-iii

109. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2023 [henvist 13. december 2023]. Axicabtagene ciloleucel for treating relapsed or refractory diffuse large B-cell lymphoma after first-line chemoimmunotherapy. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/ta895

110. Medicinrådet. Medicinrådet. 2021 [henvist 13. december 2023]. Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma). Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/o/onasemnogene-abeparvovec-zolgensma-spinal-muskelatrofi

111. Nye Metoder. Nye Metoder. 2021 [henvist 13. december 2023]. Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma). Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/onasemnogene-abeparvovec-zolgensma

112. NT-rådet. Regionernas Samverkansmodell För Läkemedel. 2023 [henvist 13. december 2023]. Zolgensma (onasemnogen abeparvovek). Tilgængelig hos: https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/produktinfo/zolgensmaonasemnogenabeparvovek.4.7ede41a5169673587ec8ae02.html

113. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2021 [henvist 13. december 2023]. Onasemnogene abeparvovec for treating spinal muscular atrophy. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/hst15

114. Medicinrådet. Medicinrådet. 2021 [henvist 13. december 2023]. Betibeglogene autotemcel (Zynteglo). Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/tilbagetrukket/laegemidler-og-indikationsudvidelser/a-d/betibeglogene-autotemcel-zynteglo

115. Nye Metoder. Nye Metoder. 2020 [henvist 13. december 2023]. Betibeglogene autotmcel (Zynteglo). Tilgængelig hos: https://www.nyemetoder.no/metoder/betibeglogene-autotmcel-zynteglo

116. NT-rådet. Regionernas Samverkansmodell För Läkemedel. 2020 [henvist 13. december 2023]. Zynteglo (genmodifierade autologa stamceller). Tilgængelig hos: https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/produktinfo/zynteglogenmodifieradeautologastamceller.4.7ede41a5169673587ec8adc7.html

117. NICE. National Institute for Health and Care Excellence. NICE; 2022 [henvist 13. december 2023]. Betibeglogene autotemcel for treating transfusion-dependent beta-thalassaemia. Tilgængelig hos: https://www.nice.org.uk/guidance/discontinued/gid-ta10334

118. Medicinrådet. Medicinrådets metodevejledning for vurdering af nye lægemidler [Internet]. 2021 [henvist 13. december 2023]. Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/media/qg4jfvk1/medicinr%C3%A5dets_metodevejledning_for_vurdering_af_nye_l%C3%A6gemidler-vers-_1-1_februar_adlegacy.pdf

119. Simonsen HR. Oftamologisk Tidsskrift. 2023 [henvist 13. december 2023]. Knap tre år efter stormvejret: Sådan er det gået Luxturna-patienterne. Tilgængelig hos: https://oftalmologisktidsskrift.dk/behandlinger/knap-tre-ar-efter-stormvejret-sadan-er-det-gaet-luxturna-patienterne.html

120. AMGROS. AMGROS. [henvist 13. december 2023]. Organisering - Amgros. Tilgængelig hos: https://amgros.dk/om-amgros/organisering/

121. Hansen AL. Alternative Aftalemodeller. AMGROS; 2022 aug.

122. AMGROS. AMGROS. [henvist 13. december 2023]. Så går behandling med Luxturna i gang - Amgros. Tilgængelig hos: https://www.amgros.dk/om-amgros/nyheder/saa-gaar-behandling-med-luxturna-i-gang/

123. Medicinrådet. Baggrund for Medicinrådets anbefaling vedrørende voretigene neparvovec som mulig standardbehandling til behandling af arvelig RPE65-relateret nethindedystrofi [Internet]. Medicinrådet; 2020 [henvist 13. december 2023]. Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/media/kp0l4dv1/baggrund_for_medicinr%C3%A5dets_anbefaling_vedr_voretigene_til_arvelig_rpe65-relateret_nethindedystrofi-vers-_2-0_samt_bilag_adlegacy_123041.pdf

124. Medicinrådet. Bilag til Medicinrådets anbefaling vedrørende onasemnogene abeparvovec til behandling af spinal muskelatrofi [Internet]. Medicinrådet; 2021 [henvist 13. december 2023]. Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/media/t3ibn52w/bilag-til-medicinr%C3%A5dets-anbefaling-vedr-onasemnogene-abeparvovec-til-behandling-af-spinal-muskelatrofi-vers-1-0_adlegacy.pdf

125. Medicinrådet. Baggrund for Medicinrådets anbefaling vedrørende tisagenlecleucel som mulig standardbehandling til B-celle akut lymfatisk leukæmi (ALL) [Internet]. Medicinrådet; 2019 [henvist 13. december 2023]. Tilgængelig hos: https://medicinraadet.dk/media/wedl14ee/baggrund-for-medicinr%C3%A5dets-anbefaling-vedr-tisagenlecleucel-til-all-vers-1-0_adlegacy.pdf

126. Worldometer. Countries in the world by population [Internet]. 2023 [henvist 15. december 2023]. Tilgængelig hos: https://www.worldometers.info/world-population/population-by-country/

127. Office for National Statistics [Internet]. 2021 [henvist 15. december 2023]. Population estimates. Tilgængelig hos: https://www.ons.gov.uk/peoplepopulationandcommunity/populationandmigration/populationestimates

128. Danmarks statistik. Befolkningstal [Internet]. 2023 [henvist 15. december 2023]. Tilgængelig hos: https://www.dst.dk/da/Statistik/emner/borgere/befolkning/befolkningstal

129. PSI. Statisticians in the Pharmaceutical Industry. [henvist 13. december 2023]. EU HTA Regulation. Tilgængelig hos: https://www.psiweb.org

Nordic Institute of Health Economics

NORDIC INSTITUTE OF HEALTH
ECONOMICS A/S
GAMMEL MUNKEGADE 1, 1
8000 AARHUS C

TLF: +45 60 920 900
WWW.NIH-ECONOMICS.DK