

## Evrysdi (risdiplam), Spinraza (nusinersen) och Zolgensma (onasemnogen-abeparvovek) vid 5q spinal muskelatrofi (SMA)

NT-rådets yttrande till regionerna 2025-02-28

### Rekommendation och sammanvägd bedömning

#### NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att behandling med Evrysdi till **vuxna** patienter med 5q SMA typ 1, typ 2 eller typ 3 hanteras av centrum för nationell högspecialiserad vård.
- att behandling av **barn** med 5q SMA initieras och utvärderas initialt av behandlande läkare tillsammans med det av NT-rådet utsedda nationella behandlingsrådet för barn med 5q SMA.
  - att behandling, i första hand med Zolgensma, bör erbjudas barn som väger <13,5 kg med homozygot deletion i SMN1-genen och 1–3 SMN2-kopior med klinisk bild som vid spinal muskelatrofi (5q SMA) typ 1.
  - att behandling, i första hand med Zolgensma, bör erbjudas barn som identifierats via nyföddhetscreening med genetiskt verifierade bialleliska patogena variationer i SMN1-genen och upp till 3 kopior av SMN2-genen.
  - att för barn som inte är aktuella för Zolgensma bör Evrysdi användas i första hand och Spinraza i andra hand.
- att inte erbjuda kombinationsbehandling.
- att barn med symtom under fosterstadiet och kliniska symtom under första levnadsveckan inte bör erbjudas behandling (SMA typ 0).
- att behandling av vuxna och barn följs i det nationella kvalitetsregistret för neuromuskulära sjukdomar, NmiS.
- att administration av Zolgensma registreras med åtgärdskoderna DT016 och M09AX09 och administration av Spinraza med åtgärdskoderna DT012 och M09AX07.

TLV har beslutat att Evrysdi ska ingå i högkostnadsskyddet för patienter med 5q SMA typ 1, typ 2 och typ 3 från den 1 februari 2025. Ett avtal som omfattar receptförskrivning av Evrysdi har förhandlats fram av regionerna och företaget. Avtalet är en förutsättning för att Evrysdi ska omfattas av högkostnadsskyddet.

Socialstyrelsen har beslutat att vård vid SMA omfattas av nationell högspecialiserad vård (NHV). Behandling med Evrysdi till vuxna patienter med 5q SMA typ 1, typ 2 och typ 3 hanteras av de fyra centrumen för NHV. Behandling med Evrysdi till barn sker i samråd med NT-rådets behandlingsråd för 5q SMA.

Det finns flera typer av 5q SMA baserat på klinisk svårighetsgrad. För 5q SMA typ 1 och typ 2 bedömer NT-rådet svårighetsgraden som mycket hög. För typ 3 bedöms svårighetsgraden vara varierande från måttlig till hög.

Det föds årligen 4–8 barn med 5q SMA typ 1. Varje år diagnostiseras 2–3 personer med 5q SMA typ 2 respektive typ 3. Sedan hösten 2023 ingår de svåraste formerna av SMA i nyföddhetscreeningen ("PKU-provet").

För Spinraza är osäkerheten i den vetenskapliga dokumentationen måttlig och osäkerheten i den hälsoekonomiska värderingen mycket hög. NT-rådet rekommenderar sedan december 2017 att Spinraza används för vissa patienter med 5q SMA. Ett nationellt framtaget avtal möjliggör behandling av den begränsade patientgruppen. Kostnaden för Spinraza är på företagets begäran belagd med sekretess. NT-rådet bedömer utifrån avtalet att Spinraza kan betraktas som kostnadseffektivt vid behandling av en begränsad patientgrupp. Då behandlingskostnaden för Spinraza trots det avtalade priset är mycket hög kan behandling endast erbjudas de patientgrupper som har högst svårighetsgrad och för vilka studier kunnat visa störst behandlingsnytta.

I valet mellan Evrysdi och Spinraza rekommenderas att i första hand överväga Evrysdi då det innebär ett enklare administrationsförfarande för patienten och kostnaden per vunnet QALY är lägre för Evrysdi än för Spinraza.

Osäkerheten i den vetenskapliga dokumentationen för Zolgensma är hög avseende långtidseffekter. I samband med nationell samverkan för Zolgensma har nationella förhandlingar genomförts med företaget vilket har resulterat i avtal om reducerad kostnad. Avtal tecknas av de regioner som avser utföra behandling med Zolgensma. Kostnaden för Zolgensma är på företagets begäran belagd med sekretess. Utifrån TLV:s hälsoekonomiska bedömning och den avtalade kostnaden är NT-rådets sammanvägda bedömning att Zolgensma kan betraktas som kostnadseffektivt för patienter som väger <13,5 kg med klinisk bild som vid 5q SMA typ 1 och genetiskt verifierad biallelisk mutation i SMN1-genen och upp till 3 kopior av SMN2-genen.

Beslut om behandling av barn ska ske i samråd med NT-rådets behandlingsråd för barn med 5q SMA.

## Om läkemedlen

### Evrysdi

Risdiplam (Evrysdi) är en liten molekyl som binder till två ställen i pre-mRNA från SMN2-genen, 5' splice site i intron 7 och exonic splicing enhancer 2 (ESE2) i exon 7. Resultatet av detta blir att exon 7 i högre grad inkluderas i transkriptet, med högre nivåer av mRNA i fullängd från SMN2 och högre nivåer av funktionellt protein som följd. Evrysdi är ett pulver till oral lösning. Pulvret ska beredas innan flaskan lämnas till patient.

Godkänd indikation: Evrysdi är avsett för behandling av 5q spinal muskeltrofi (SMA) hos patienter med en klinisk diagnos av SMA typ 1, typ 2 eller typ 3 eller med en till fyra SMN2-kopior.

### **Spinraza**

Spinraza (nusinersen) är en antisens-oligonukleotid som binder till en intronisk splice silencing site, ISS-N1, i intron 7 för pre-mRNA vilket ökar transkriptionen av exon 7 i SMN2 mRNA och ger därmed högre nivåer av funktionellt protein. Spinraza är en injektionsvätska som ges intratekalt genom lumbalpunktion.

Godkänd indikation: Spinraza är avsett för behandling av spinal muskelatrofi av typ 5q.

### **Zolgensma**

Zolgensma (onasemnogen-abeparvovek) är ett genterapiläkemedel, en adenoassocierad virusbaserad vektor av serotyp 9 (AAV9), som innehåller cDNA av den humana SMN-genen under kontroll av cytomegalovirusförstärkaren/ $\beta$ -aktin-hybridpromotorn och uttrycker det humana proteinet överlevnadsmotorneuron (SMN). Zolgensma är en infusionsvätska som ges som en intravenös engångsdos.

Godkänd indikation: Zolgensma är avsett för behandling av

- patienter med 5q spinal muskelatrofi (SMA) med en biallelisk mutation i SMN1-genen och en klinisk diagnos på SMA typ 1 eller
- patienter med 5q SMA med en biallelisk mutation i SMN1-genen och upp till 3 kopior av SMN2-genen.

## **Bedömning av platsen i terapin för barn**

Socialstyrelsen har beslutat att viss vård vid neuromuskulära sjukdomar ska utgöra nationell högspecialiserad vård (NHV). Vård som avser barn och ungdomar med 5q SMA är koncentrerad till två enheter; Karolinska universitetssjukhuset och Sahlgrenska universitetssjukhuset. Sedan hösten 2023 ingår de svåraste formerna av 5q SMA i nyföddhetscreeningen ("PKU-provet").

### **Evrysdi och Spinraza**

#### **Patienter som kan övervägas för behandling med Evrysdi eller Spinraza**

För samtliga barn som kan komma i fråga för behandling gäller att:

- 5q SMA-diagnosen är genetiskt verifierad och uppgift om vilka mutationer i SMN1-genen patienten har samt från vilken förälder respektive mutation härrör ska registreras. Antal SMN2-kopior ska bestämmas.
- Patienten följs vid en av enheterna för högspecialiserad vård, och behandlingsteamet där ansvarar för behandlingsstart och uppföljningen av behandlingsresultat i samråd med hemmakliniken.
- Patienten ska följas i det nationella kvalitetsregistret för neuromuskulära sjukdomar, NMiS.

Patienter som redan får någon form av sjukdomsmodifierande behandling för 5q SMA ska inte sättas in på ytterligare en behandling då det inte finns vetenskapligt stöd för kombinationsbehandling.

### Patienter med 5q SMA typ 1

#### Kriterier för att behandling ska kunna startas:

- Att etiska aspekter på att inleda en behandling som kan riskera att förlänga lidande för patienten nog har övervägts och diskuterats med vårdnadshavare och i en etisk rond på respektive klinik och att detta journalförs.
- Att patienten inte har några symtom på 5q SMA vid 1 veckas kronologisk ålder eller gestationsvecka 38.
- Patienten ska vid behandlingsstart inte vara beroende av assisterad andning.
- Patienten har minst 2 kopior av SMN2-genen.

### Patienter med 5q SMA typ 2 och 3

#### Kriterier för att behandling ska kunna startas:

- Sjukdomsprogress före behandlingsstart är väl dokumenterad så att effekten av behandlingen kan utvärderas.
- Patienten ska vid behandlingsstart inte vara beroende av assisterad andning.
- Patienten har minst 2 kopior av SMN2-genen.

### Utvärdering via behandlingsrådet

Behandlingens effekt ska utvärderas ett år efter insättning (för Spinraza före dos nr 7) och diskuteras av patientansvarig läkare tillsammans med det nationella behandlingsrådet för 5q SMA. Patienten ska vara stabil eller ha förbättrats med avseende på motorisk förmåga för att behandlingen ska fortsätta. Därefter sker fortsatt utvärdering via NHV.

## Zolgensma

#### Kriterier för att behandling ska kunna startas:

- 5q SMA-diagnosen är genetiskt verifierad och uppgift om vilka mutationer i SMN1-genen patienten har samt från vilken förälder respektive mutation härrör ska registreras. Antal SMN2-kopior ska bestämmas.
- Patienten har upp till 3 SMN2-kopior och är diagnostiserad via nyföddhetscreeningen samt har en klinisk bild som vid 5q SMA typ 1 *eller* Patienten väger <13,5 kg och har klinisk bild som vid 5q SMA typ 1 och genetiskt verifierad biallelisk mutation i SMN1-genen och upp till 3 kopior av SMN2-genen.
- Patienten följs vid en av enheterna för högspecialiserad vård, och behandlingsteamet där ansvarar för behandlingen och uppföljningen av behandlingsresultat i samråd med hemmakliniken.
- Patienten ska följas i det nationella kvalitetsregistret för neuromuskulära sjukdomar, NMiS.

Patienter med symtom under fosterstadiet och kliniska symtom under första levnadsveckan bör inte erbjudas behandling med Zolgensma (SMA typ 0).

## NT-rådets bedömning gällande Spinraza och Zolgensma

Den sammanvägda bedömningen gällande läkemedlen baseras på en värdering utifrån den etiska plattformen för prioriteringar och dess tre principer: människovärdesprincipen, behovs-solidaritetsprincipen och kostnadseffektivitetsprincipen. Plattformen har operationaliserats i fyra relevanta dimensioner: tillståndets svårighetsgrad, åtgärdens effektstorlek, tillståndets sällsynthet och åtgärdens kostnadseffektivitet.

NT-rådet bedömer den medicinska effekten av Spinraza och Evrysdi som likvärdig. TLV har bedömt att Evrysdi är kostnadseffektivt och ingår i läkemedelsförmånerna. Evrysdi kommenteras därför inte vidare i denna text.

### Tillståndets svårighetsgrad

Tillståndets svårighetsgrad för 5q SMA typ 1 och typ 2 bedöms vara mycket hög och för typ 3 bedöms svårighetsgraden vara varierande från måttlig till hög. För tidigt debuterande 5q SMA typ 3 (3a) bedöms svårigheten som hög (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

5q SMA typ 1 och 2 innebär en mycket stor sannolikhet för allvarlig skada, betydande invaliditet och tidig död. Sjukdomen är obotlig, kronisk och progredierande. Överlevnaden vid 5q SMA typ 1 är under 3 år; de flesta patienter dör före ett års ålder på grund av infektioner och andningssvårigheter. Prognosen för patienter med 5q SMA typ 2 varierar beroende på graden av muskelsvaghet men leder till betydande invaliditet och för tidig död även om många patienter lever upp i vuxen ålder. Patienter med 5q SMA typ 3 har på grupp nivå normal förväntad livslängd men hastigheten i sjukdomsprogressionen är mycket varierande.

### Förekomst av tillståndet

5q SMA typ 1 är mycket sällsynt, typ 2 är sällsynt och typ 3 är vanligt (på en skala av mycket sällsynt, sällsynt, mindre vanligt, och vanligt).

Varje år föds cirka 4–8 barn per år i Sverige med 5q SMA typ 1. 5q SMA typ 2 och typ 3 finns sannolikt hos totalt 2–3 personer per 100 000 (2–3 personer med vardera typen diagnostiseras varje år i Sverige). Detta gör 5q SMA till en av de vanligaste ärftliga neuromuskulära sjukdomarna. De svåraste formerna av 5q SMA ingår sedan hösten 2023 i nyföddhetscreeningen ("PKU-provet") som erbjuds alla barn som föds i Sverige.

### Åtgärdens effektstorlek – Spinraza

Effekten bedöms stor för 5q SMA typ 1 och måttlig för 5q SMA typ 2 (på en skala av liten, måttlig, stor, och mycket stor). Effekten av Spinraza vid 5q SMA typ 3 är fortfarande inte klarlagd.

Effekten av Spinraza vid 5q SMA typ 1 är utvärderad i en randomiserad, dubbelblind, fas 3-studie (ENDEAR). I studien ingick 121 spädbarn med 5q SMA typ 1, där 80 randomiserades till Spinraza och 41 till simuleringskontrollgrupp. Behandlingslängden var 6–442 dagar. Efter en interim-analys avbröts studien i förhand då gynnsamma utfall påvisades i Spinraza-gruppen. Studien visade en statistiskt signifikant effekt på händelsefri överlevnad (andel patienter som avled eller fick permanent ventilation), HR 0,53 (0,32–0,89)  $p=0,0046$  och total överlevnad, HR 0,37 (0,18–0,77)  $p=0,0041$ . Andel patienter som uppnådde kriterier för fördefinierat svar på motorisk milstolpe (HINE avsnitt 2) var 51 %,  $p < 0,0001$  i Spinraza-gruppen och 0 % i simuleringsgruppen.

Effekt och säkerhet av Spinraza vid 5q SMA typ 2 har utvärderats i en randomiserad, dubbelblind, simulerings-kontrollerad fas 3-studie (CHERISH). I studien ingick 126 patienter med symtomdebut efter 6 månaders ålder. Behandlingslängden var 170–470 dagar. Doserna i studien var lägre än den godkända doseringen. Efter en interimsanalys avbröts studien i förhand då gynnsamma utfall påvisades i Spinraza-gruppen. Förändringen från baslinjen i totalt poäng enligt Hammersmith Functional Motor Scale Expanded (HFSME) efter 15 månader var 4,0 (95 % KI 2,9–5,1),  $p=0,0000002$  för Spinraza-gruppen och -1,9 (95 % KI -3,8-0,0) för kontrollgruppen.

### **Osäkerhet i den vetenskapliga dokumentationen – Spinraza**

Osäkerheten är måttlig (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

En mycket tydlig behandlingseffekt är visad för 5q SMA typ 1 och 5q SMA typ 2, men studier som visar på effekten över längre tid är begränsade. Trots den tydliga initiala effekten på relevanta utfallsmått är det svårt att bedöma nyttan av behandlingen på längre sikt för den enskilda patienten. Baserat på patofysiologin vid 5q SMA, verkningmekanismen för Spinraza och data från publicerade studier finns det goda skäl att anta att behandlingen har störst effekt om den påbörjas tidigt i sjukdomsförloppet.

### **Åtgärdens kostnadseffektivitet – Spinraza**

I TLV:s hälsoekonomiska underlag från 2017 skattas kostnaden per vunnet QALY för Spinraza och standardbehandling jämfört med endast standardbehandling till 5,7–7,7 miljoner kronor för 5q SMA typ 1 och 7,3–12,8 miljoner kronor för 5q SMA typ 2 (exklusive avtalad rabatt). Med regionernas avtalade rabatt blir kostnaden per vunnet QALY lägre. TLV bedömde resultaten för 5q SMA typ 3 alltför osäkra för att presentera några resultat.

Den lägre svårighetsgraden gör att betalningsviljan är lägre för 5q SMA typ 2 och 3 än för typ 1. Detta i kombination med den mycket höga kostnaden per vunnet QALY gör att Spinraza inte bedöms vara kostnadseffektivt för en större grupp patienter.

### **Osäkerheten i den hälsoekonomiska bedömningen – Spinraza**

Osäkerheten är mycket hög (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

Osäkerheten beror i huvudsak på frågetecken kring långsiktiga effekten för Spinraza, behandlingens påverkan på överlevnad, samt vilken livskvalitet patienter med 5q SMA har. Kostnaden, även med avtalad rabatt, är mycket hög. Det är därför låg osäkerhet i bedömningen att behandlingen endast är kostnadseffektiv för de svårast sjuka patienterna.

### **Åtgärdens effektstorlek – Zolgensma**

Effekten bedöms stor vid uppföljning till 18 månaders ålder (på en skala av liten, måttlig, stor och mycket stor). Långtidseffekten är osäker.

I den dokumentation som företaget inkommit med till TLV:s bedömning, redovisas effekten av Zolgensma vid 5q SMA 1 med två SMN2-kopior i två öppna, okontrollerade fas I- respektive III-studier med totalt 37 patienter.

Fas 1-studien (START, CL-301) inkluderade 15 symptomatiska spädbarn. Primärt effektmått var säkerhet och sekundärt effektmått var överlevnad efter 24 månader. Alla patienter utom en var

efter studietiden på 24 månader vid liv och utan behov av permanent andningshjälp. En patient var i behov av andningshjälp vid 29 månaders ålder. Patienterna gick efter studieavslut in i uppföljningsstudien LT-001. Enligt TLV:s rapport finns underlag från 11 patienter som genomgått 1 års uppföljningsbesök och 7 med 2 års uppföljningsbesök. Vid 1-årsuppföljningen hade behandling med Spinraza påbörjats för 7 patienter. Av de 10 patienter som fått en högre dos Zolgensma, behövde 50 % inget andningsstöd.

Zolgensma har också studerats i en öppen, enarmad fas III-studie, (STR1VE-US, CL-303) med 22 symtomatiska spädbarn med 5q SMA typ 1 och med symtomdebut före 6 månaders ålder. Patienterna följdes i 18 månader. 20 patienter (90,9 %) var efter studietiden vid liv och utan behov av permanent andningshjälp vilket var ett av de primära effektmåten. En patient dog vid 7,8 månaders ålder av andningsrelaterade orsaker, vilket inte bedömdes relaterat till läkemedlet. En patient avbröt studien vid 11,9 månaders ålder; denna patient var i permanent behov av andningshjälp och uppnådde inte det primära effektmåttet. Det andra primära effektmåttet att sitta utan stöd i minst 30 sekunder vid 18 månaders ålder uppnåddes av 13 patienter.

Indirekta jämförelser av behandlingseffekt har gjorts mot studier av naturalförloppsdata samt kliniska studier av Spinraza. Den indirekta jämförelsen indikerar enligt TLV:s och EMA:s bedömning att på gruppnivå har symtomatiska patienter med 5q SMA typ 1 med 2 kopior av SMN2 behandlade med Zolgensma en högre överlevnad och utvecklar fler motoriska förmågor i jämförelse med patienter behandlade med Spinraza.

Med hänsyn till avsaknaden av kliniska studiedata för symtomatiska patienter med 5q SMA typ 2 eller typ 3 bedömer TLV att det inte går att dra slutsatser om den kliniska effekten av behandling med Zolgensma för dessa patientgrupper.

### **Osäkerhet i den vetenskapliga dokumentationen – Zolgensma**

Osäkerheten är hög (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

Studierna som ledde till godkännandet av Zolgensma är öppna och enarmade med ett litet antal patienter, men de visar kliniskt relevant effekt och ökad överlevnad. De indirekta jämförelserna med Spinraza är förknippade med stora osäkerheter bland annat i form av skillnader i definitioner av effektmått, att patientgrupperna är små och uppföljningstiden kort. Det går inte att bedöma om effekten av Zolgensma på den motoriska utvecklingen fortsätter, avstannar eller om det sker en tillbakagång på lång sikt, och inte heller hur biverkningsprofilen ser ut på lång sikt.

### **Åtgärdens kostnadseffektivitet – Zolgensma**

TLV har genomfört en hälsoekonomisk värdering av Zolgensma. TLV bedömer att Spinraza och bästa understödande behandling är relevanta jämförelsealternativ och presenterar 6 hälsoekonomiska scenarier, baserad på antagande om effektdurationen, för respektive jämförelsealternativ.

Jämfört med bästa understödande behandling skattas kostnaden per vunnet QALY till 5,7 Mkr för 10 års effektduration och 2,9 Mkr för aldrig avtagande effekt. Jämfört med Spinraza skattas kostnaden per vunnet QALY till 3,2 Mkr för 10 års effektduration och 0,9 Mkr för aldrig avtagande



effekt. Beräkningarna tar inte hänsyn till regionernas sekretessbelagda rabatterade pris för Spinraza, vilket innebär att kostnaden per vunnet QALY i praktiken är högre än TLV:s beräknade värden.

Nationella förhandlingar genomförts med företaget vilket har resulterat i avtal om sekretessbelagd reducerad kostnad för Zolgensma. Det innebär att den faktiska kostnaden per vunnet QALY som ligger till grund för NT-rådets bedömning, är lägre än TLV:s beräknade värden, även inräknat det rabatterade priset för Spinraza. Bedömningen baseras på antagandet att effekten är livslång.

### **Osäkerhet i den hälsoekonomiska bedömningen – Zolgensma**

Osäkerheten i den hälsoekonomiska värderingen är mycket hög (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

Den hälsoekonomiska värderingens osäkerhet beror i stor utsträckning på den begränsade uppföljningstiden i de kliniska studierna, vilket innebär att det krävs antaganden om durationen av behandlingens effekt och biverkningar på lång sikt. Vidare beror osäkerheten bland annat på osäkerhet i den relativa effekten mellan Zolgensma och jämförelsealternativen samt på prisutvecklingen för Spinraza.

## **Uppföljning**

Patienterna ska följas i det nationella kvalitetsregistret för neuromuskulära sjukdomar, NMiS. Användningen av Evrysdi följs via receptregistret.

Administrering av Spinraza ska registreras med åtgärdskoderna DT012 och M09AX07.

Administrering av Zolgensma ska registreras med åtgärdskoderna DT016 och M09AX09.

Användningen av läkemedel mot 5q SMA i riket följs inom regionernas samverkansmodell genom behandlingsrådet, NMiS, Socialstyrelsens patientregister och receptregister samt försäljningsstatistik.

## **Tidpunkter för revision av yttrandet**

Det här yttrandet har uppdaterats 2025-02-28 med anledning av att TLV beslutat att Evrysdi ingår i högkostnadsskyddet för patienter med 5q SMA typ 1, typ 2 eller typ 3. Rekommendationen ersätter den tidigare rekommendationen för Evrysdi, Spinraza och Zolgensma från 2023-09-04.

## **Referenser**

[TLV:s förmånsbeslut – Evrysdi](#)

[TLV:s hälsoekonomiska värdering – Spinraza](#)

[TLV:s hälsoekonomiska värdering - Zolgensma](#)

[EPAR \(produktresumé\) – Evrysdi](#)

[EPAR \(produktresumé\) – Spinraza](#)



[EPAR \(produktresumé\) – Zolgensma](#)

[Socialstyrelsens beslut om högspecialiserad vård](#)

[Socialstyrelsens rekommendation om att införa screeningprogram för SMA](#)

## **NT-rådets behandlingsråd för barn med SMA (5q)**

Behandlingsrådet för SMA är utsett av NT-rådet och består av läkare från respektive sjukvårdsregion. Läkarna har bred kompetens inom området sällsynta diagnoser samt inom barn- och vuxen-neurologi. Regionrepresentanterna är jävsdeklarerade och bedömer i patientärenden om kriterier för behandling är uppfyllda samt deltar i val av läkemedel. Även samordnaren för NT-rådets behandlingsråd ingår i behandlingsrådet.

Ricard Nergårdh, ordförande behandlingsrådet, Sjukvårdsregion Stockholm-Gotland; Ralph Bågenholm, Västra sjukvårdsregionen; Bettina Herm, Norra sjukvårdsregionen; Jesper Petersson, Södra sjukvårdsregionen; Eric Steninger, Sjukvårdsregion Mellansverige; Johan Wahlström, Sydöstra sjukvårdsregionen; Lena Persson, samordnare NT-rådets behandlingsråd (bedömer ej i patientärenden).

Regionrepresentanterna har adjungerat följande experter på SMA till rådet (deltar ej i behandlingsrådets beslut gällande val av läkemedel): Christoffer Ehrstedt, Akademiska sjukhuset Uppsala; Erik Eklund, Skånes universitetssjukhus; Helgi Hjartarson, Karolinska Universitetssjukhuset Stockholm; Thomas Sejersen, Karolinska Universitetssjukhuset Stockholm.

## **Närvarande vid beslut**

Åsa Derolf, ordförande NT-rådet; Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen; Maria Palmetun Ekbäck, Sjukvårdsregion Mellansverige; Maria Landgren, Södra sjukvårdsregionen; Anna Lindhé, Västra sjukvårdsregionen; Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen Rickard Malmström, Sjukvårdsregion Stockholm/Gotland

Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet.