

Medicinrådet  
[medicinraadet@medicinraadet.dk](mailto:medicinraadet@medicinraadet.dk)



Annemette Anker Nielsen  
[aan@medicinraadet.dk](mailto:aan@medicinraadet.dk)

St Gråbrødrestrede 10, 1.  
5000 Odense C

Tlf +45 661 19091  
CVR-nr.: 57 41 54 28  
[epilepsi@epilepsiforeninge.dk](mailto:epilepsi@epilepsiforeninge.dk)  
[www.epilepsiforeningen.dk](http://www.epilepsiforeningen.dk)

Odense, den 30. marts 2023

### Vedr. Behandling med fenfluramin til voksne patienter med Dravet syndrom:

Epilepsiforeningen fandt det glædeligt, at Medicinrådet den 22. marts 2022 vedtog anbefaling af fenfluramin til behandling af Dravet syndrom.

Vi var til gengæld forundrede over, at anbefalingen ikke omfattede opstart af fenfluramin til voksne patienter over 18 år. Ikke mindst fordi der lå en klar enig indstilling fra fagudvalget om, at voksen-gruppen burde omfattes af anbefalingen.

EMA har godkendt fenfluramin til behandling af både børn og voksne, til hvilke det anvendes i lande som for eksempel Storbritannien og Tyskland.

Af Medicinrådets anbefaling (dokument nr. 137571) fremgår: *"Medicinrådet anbefaler ikke opstart af fenfluramin til voksne patienter (> 18 år), fordi den kliniske effekt og bivirkningerne ved brug af fenfluramin ikke er undersøgt hos denne patientgruppe."* Følgen er, at patienter, der er startet i behandling med fenfluramin ikke skal seponere behandlingen, blot fordi de fylder 19 år.

ILAE (*International League Against Epilepsy – den internationale sammenslutning af epilepsibehandlere i verden*) har i "Epilepsia Open" 2022 udgivet resultater, som viser, at en voksenaldergruppe af patienter med Dravet syndrom oplevede 75% reduktion eller mere i frekvensen af månedlige krampeanfald<sup>1</sup>.

Vi anmoder Medicinrådet om at forholde sig til ovenstående i lyset af den hidtidige indskrænkning af målgruppen.

### **De regionale lægemiddelkomitéer:**

Vi er bekendte med en række cases, hvor især læger fra Epilepsihospitalet Filadelfia siden Medicinrådets afgørelse har ansøgt om tilladelse til behandling med fenfluramin hos en række voksne patienter, de vurderer, ikke har andre behandlingsalternativer.

Det er naturligvis sket efter en individuel faglig vurdering af behovet og de forventede effekter fra neurologer på landets specialhospital, hvor de allersværest belastede epilepsipatienter følges.

---

<sup>1</sup> (<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35801621/>)

Epilepsihospitalet har efter rådets beslutning søgt regionale lægemiddelkomiteer om tilladelse til opstart. Nogle ansøgninger er imødekommet, mens andre ikke er, og i de seneste måneder gives angiveligt konsekvent afslag.

Der er i vores optik tale om en meget lille og udsat patientgruppe uden nogle reelle behandlingsmæssige alternativer. Der er samtidig tale om en patientgruppe, hvor SUDEP udgør en meget reel risiko i dagligdagen – den risiko er som bekendt betydeligt større i netop gruppen af Dravet patienter, end i patientpopulationen i almindelighed.

#### Udfordring med anfaldsregistrering på bosteder:

Et andet problem vi gerne vil påpege i denne sammenhæng, handler om at Medicinrådet har sit primære fokus på effekt målt på reduktion af epilepsianfald, og nogle af de regionale afslag beror på, at der ikke er fundet tilstrækkeligt med anfald hos den enkelte person.

Imidlertid er det alment kendt i de kliniske miljøer, at der kan være betydelige udfordringer med anfaldsobservation og anfaldsregistrering af patienter på bosteder, etableret og drevet efter servicelovens bestemmelser.

Ud fra vores erfaring fra vores rådgivningstelefoner og netværk, arbejder der kun i yderst begrænset omfang autoriseret sundhedspersonale på netop dette område, og området er derudover præget af stor personalegennemstrømning og udbredt brug af vikarer.

Den normale epilepsikontrol og betjening er derfor ofte udfordret netop i forhold til gruppen af udviklingshandicappede, der bor på botilbud.

#### To cases:

Nedenstående to patientcases prøver at anskueliggøre, at der er en tæt sammenhæng mellem reduktion i antallet af anfald, og en væsentlig bedring i de kognitive funktioner og livskvalitet, der kan være af helt afgørende betydning i en dagligdag.

*Sag nr. 1:* Vi har kontakt med en mor til en 23-årig kvinde med Dravet syndrom. De har via Region Nordjylland fået godkendt, at kvinden kunne starte behandling med fenfluramin. Efter hun er kommet i behandling med fenfluramin, kan der registreres en kraftig reduktion i antallet af anfald, bedring i hendes almene funktioner, hvor hun nu er begyndt at kunne sige lyde, hun kan sætte sig op selv, er mindre træt og mere opsøgende i kontakten. Som moderen fortæller, har de har fået en helt anden veltilpas og glad datter, efter hun er startet på fenfluramin.

*Sag nr. 2:* Vi har kontakt med en anden mor. Hendes søn er 36 år og har ligeledes Dravet syndrom. Han bor i region Sjælland og har via samme læge som ovenstående kvinde, ansøgt om behandling med fenfluramin – her er dog meddelt afslag. Moderen fortæller at sønnen er plaget af mange kraftige anfald, og hans bosted har svært ved at rumme ham og registrere, hvor ofte han reelt har anfald. Når sønnen har kortvarige perioder uden anfald, opleves det, at han får mere sprog, bliver mere selvhjulpent, får bedret gangfunktion og ikke mindst bliver mere glad. Det er derfor nogle meget fortvivlede forældre, der ikke kan forstå, hvorfor deres søn ikke kan få lov at afprøve, om fenfluramin kan hjælpe på sønnens mange anfald og livskvalitet.

Epilepsiforeningen anmoder på baggrund af det medsendte derfor rådet at genoptage vurderingen af ikke at anbefale opstart af behandling med fenfluramin til voksne over 18 år.

Venlig hilsen

A handwritten signature in black ink, appearing to read "Lone Nørager Kristensen". The signature is written in a cursive, flowing style.

Landsformand Lone Nørager Kristensen