



Läkemedel vid spinal muskelatrofi

Förutsättningar för utfallsbaserade avtal
2023-03-23

Sammanfattning och slutsatser

Den här rapporten beskriver förutsättningarna för ett utfallsbaserat avtal för rekvisitionsläkemedel som används vid ovanliga sjukdomar baserat på uppgifter i Socialstyrelsens hälsodataregister. Rapporten beskriver också översiktligt utfall för de patienter som behandlats med de nya läkemedlen vid SMA.

Under år 2017 till 2022 introducerades tre nya läkemedel vid sjukdomen spinal muskelatrofi (SMA) – Spinraza (2017), Evrysdi (2021) och Zolgensma (2022). Alla läkemedlen blev efter förhandlingar rekommenderade av NT-rådet för en begränsad patientgrupp och ska sättas in efter samråd med det behandlingsråd som NT-rådet utsett. NT-rådets rekommendation inkluderade också att läkemedelsanvändning skulle registreras i Patientregistret och i kvalitetsregister.

Eftersom Zolgensma är en engångsbehandling med en förväntad lång effektduration var kostnadseffektivitetsanalysen för läkemedlet mycket osäker. Inför avtal och rekommendation för Zolgensma diskuterades om ett utfallsbaserat avtal på patientnivå skulle kunna användas för att minska osäkerheten i rekommendationen från NT-rådet.

Bland annat på grund av osäkerheter i kvaliteten på registerdata ingicks inget utfallsbaserat avtal mellan regionerna och företaget. Däremot inledde NT-rådet en utvärdering av hur ett individbaserat avtal baserat på data från de nationella hälsodataregistren skulle fungerat om det hade införts för Zolgensma. Data från kvalitetsregister inkluderades inte på grund av att deltagande är frivilligt och att avtal baserade på patientnivå eftersträvades.

En ansökan om etiskt tillstånd för utvecklingsarbete med vetenskaplig grund möjliggjorde för regionernas samverkansmodell för läkemedel att få tillgång till så pass detaljerad information från Socialstyrelsens hälsodataregister att uppföljning av användning av läkemedel vid ovanliga sjukdomar och uppföljning av vissa utfall efter behandling kan göras. En analys visade att täckningsgraden för användning av Spinraza var mycket god och att vårdbesök där trakeostomi och respiratorbehov framgick fångades upp. Täckningsgraden för användning av Evrysdi är däremot mycket låg. Vissa enskilda regioner lämnar heller inte alls in uppgifter till Patientregistret om läkemedelssubstanser som administrerats. I jämförelse med hälsodataregistren har kvalitetsregistret Svenska neuroregister/neuromuskulära sjukdomar fler registrerade uppgifter om behandling med Evrysdi.



Följsamheten till NT-rådets rekommendation att registrera läkemedelsanvändning i Patientregistret har överlag varit låg, delvis på grund av tekniska förutsättningar. Registreringen i kvalitetsregistret har däremot varit hög, vilket i viss utsträckning kan bero på NT-rådets rekommendation.

Med utgångspunkt från de osäkerheter som förelåg vid rekommendationen för Zolgensma hade det med den täckningsgrad som uppnåtts inte varit lämpligt att använda sig av ett utfallsbaserat avtal på patientnivå som framför allt baserades på uppgifter från de nationella hälsodataregistren. Ett populationsbaserat avtal utifrån uppgifter från hälsodataregistren och kvalitetsregistret hade i det aktuella fallet kunnat vara bättre. Möjligheterna för enskilda kvalitetsregister att regelbundet lämna ut individdata för ändamålet är inte klarlagt.

Bakgrund

Spinal muskelatrofi (SMA) är en grupp ärftliga neuromuskulära sjukdomar som kännetecknas av att motoriska nervceller bryts ned. Sjukdomen orsakas vanligtvis av förändringar i en gen (SMN1) på kromosom 5. Hur kraftigt och tidigt i livet sjukdomen framträder beror på hur aktiv en delvis kompletterande gen (SMN2) är. Beroende på ålder vid diagnos och svårighetsgrad delas sjukdomen upp i fyra undertyper – typ 0 (symtom redan före födseln och avlider inom några månader) till typ 4 (lindriga symtom först i vuxen ålder)¹. I vissa fall kan en preliminär diagnos ändras från typ 1 till typ 2 och så vidare.

Spinal muskelatrofi kännetecknas av tilltagande muskelsvaghet och muskelförtvining, mest i den muskulatur som finns närmast bålen. Beroende på diagnos innebär det varierande svårigheter att andas och svälja och tilltagande snedhet i ryggen. Utan behandling avlider barn med typ 1 i andningssvikt före två års ålder.

Varje år insjuknar i Sverige 4–8 barn i SMA typ 1. När det gäller typerna 2 och 3, insjuknar 2–3 personer med vardera typen årligen i Sverige.

I mitten av 2017 fick Spinraza (nusinersen) marknadsföringsgodkännande, det första läkemedlet för behandling av SMA. Kostnaden för läkemedlet var hög och NT-rådet rekommenderade användning till en begränsad grupp patienter efter att ett avtal om kostnadsreduktion tagits fram. Rekommendationen innebar också regelbunden utvärdering av patienter som satts in på behandling och utsättning vid tydligt försämrat tillstånd. Ett behandlingsråd infördes som tillsammans med behandlande läkare fattar beslut om behandling och utsättning.

¹ <https://www.socialstyrelsen.se/kunskapsstod-och-regler/omraden/sallsynta-halsotillstand/spinal-muskelatrofi/>



Vid årsskiftet 2021/2022 rekommenderades ytterligare två behandlingar vid SMA: Evrysdi (risdiplam) och Zolgensma (onasemnogen-abeparvovek). Inte heller dessa läkemedel var möjliga att rekommendera utan avtal om kostnadsreduktion. Båda alternativen innebar fördelar inom vissa områden jämfört med Spinraza, bland annat vad gäller administrationsform. Spinraza ges intratekalt (i ryggmärgsvätskan) var fjärde månad medan Evrysdi tas peroralt dagligen. Zolgensma administreras intravenöst en enda gång. Se tabell nedan för sammanfattning av rekommendationer.

Läkemedel	Datum	Rekommendation
Spinraza (nusinersen)	Juni 2017	Avvakta, behandla i undantagsfall, registrera i kvalitetsregister
Spinraza	December 2017	Använda vid typ 1, 2 & 3 enligt särskilda kriterier och i samråd med behandlingsråd, följas i kvalitetsregister
Spinraza	Juni 2019	Enligt tidigare rekommendation, förtydligande behandlingsråd
Zolgensma (onasemnogen-abeparvovek)	Juni 2020 & September 2021	Avvakta
Evrysdi (risdiplam)	April 2021	Avvakta
Evrysdi & Spinraza	December 2021	Typ 1, 2 & 3, under 18 år: I första hand Evrysdi och andra hand Spinraza enligt särskilda kriterier
Evrysdi, Spinraza, Zolgensma	Februari 2022	Zolgensma, typ 1 enligt särskilda kriterier. Typ 1, 2 & 3, under 18 år: I första hand Evrysdi och andra hand Spinraza enligt särskilda kriterier Behandlingsråd, registrera i kvalitetsregister och Patientregistret.

Tabell 1 Sammanfattning av NT-rådets rekommendationer för läkemedel vid SMA

Rekommendationen av Zolgensma baserades på dokumentation med hög osäkerhetsgrad och NT-rådet konstaterade att det inte gick att bedöma om effekten av läkemedlet på den motoriska utvecklingen fortsätter, avstannar eller om det sker en tillbakagång på lång sikt. Behandling med Zolgensma leder till en mycket stor engångskostnad och eftersom effektens durationslängd inte var väl dokumenterad bedömdes osäkerheten i den hälsoekonomiska bedömningen vara mycket hög.

På grund av denna osäkerhet var ett utfallsbaserat avtal en tänkbar lösning för att uppnå en rekommendation med större säkerhet. De uppgifter som behövdes för ett sådant avtal för Zolgensma var dock för detaljerade för en ordinarie statistikleverans från Socialstyrelsen och täckningsgraden för relevanta data i Patientregistret hos Socialstyrelsen var osäker. Eftersom möjlighet till avtal på patientnivå (1) eftersträvades bedömdes användning av uppgifter från



kvalitetsregister som otillräckligt på grund av patienters rättighet att välja att inte delta i registret.

Därför baserades inte avtalet för Zolgensma på uppgifter om senare händelser för patienter som behandlats med läkemedlet. NT-rådet beslöt dock att utvärdera hur ett eventuellt utfallsbaserat avtal för Zolgensma hade fungerat i praktiken avseende ledtider, datatillgång och täckningsgrad. Arbetet med att undersöka möjligheterna till nya avtalslösningar och betalningsmodeller motiverades också av ett politiskt uppdrag från SKR:s kongress.

Den här rapporten beskriver grundförutsättningarna för ett utfallsbaserat avtal för rekvisitionsläkemedel som används vid ovanliga sjukdomar baserat på uppgifter i Socialstyrelsens hälsodataregister. Rapporten beskriver också översiktligt utfall för de patienter som behandlats med de nya läkemedlen vid SMA.

Metod

Uppgifter från Socialstyrelsen hälsodataregister

Etikprövningsmyndigheten godkände en ansökan för utvecklingsarbete med vetenskaplig grund den 19 oktober 2021 (dnr 2021-04622). Den 14 januari 2022 beställdes registeruppgifter från Socialstyrelsen (se bilaga 1) för åren 2018 till 2022. Efter kortfattad dialog skickade Socialstyrelsen ett datautdrag den 17 november 2022. Ytterligare ett utdrag skickades den 22 februari 2023.

Uppgifter från kvalitetsregistret Svenska neuroregister

Aggregerad information beställdes från Svenska neuroregister/neuromuskulära sjukdomar-NMiS den 19 januari 2023. Uppgifter om antalet patienter per kvartal där behandling med Spinraza, Evrysdi eller Zolgensma registrerats uppdelat på rapporterande sjukvårdsregion, samt antalet behandlingsbyten efterfrågades. Kvalitetsregistret skickade de beställda uppgifterna den 10 februari 2023.

Databearbetning

Uppgifterna från hälsodataregistrerna lästes samman och händelser definierades baserat på:

- SMA diagnos (SMA 1,2,3 eller odefinierad). Eftersom diagnos i vissa fall varierat över tid definierades den diagnos per individ med högst svårighetsgrad och de diagnoser som angavs det kvartal läkemedelsbehandling inleddes för första gången.



- Läkemedelsbehandling (substans och åtgärdskod för administration). Utöver ATC-kod i Läkemedelsregistret eller som åtgärdskod i Patientregistret inkluderades åtgärdskod för intratekal administration hos patienter med SMA som kod för administration av Spinraza.
- Andra vårdhändelser (trakeostomi, respiratoranvändning, dödsfall)

Uppgifterna från kvalitetsregistret var aggregerade och innehöll antal patienter som behandlats med respektive läkemedel uppdelat på rapporterande sjukvårdsregion. Vid en jämförelse av antal registrerade patienter mellan kvalitetsregister och Patientregistret användes ackumulerat antal patienter som inlett behandling. Detta eftersom Patientregistret innehåller enskilda behandlingstillfällen medan kvalitetsregistret inte gör det. Eftersom patienter som senare behandlas i Region Skåne inleder behandling i Västra Götalandsregionen slogs Södra och Västra sjukvårdsregionen ihop vid jämförelsen. På grund av litet patientantal lämnades inte uppgifter från sjukvårdsregion Mellansverige ut från kvalitetsregistret och togs inte med i jämförelsen.

Utöver uppgifterna från hälsodataregistren och kvalitetsregistret inhämtades försäljningsstatistik för de aktuella läkemedlen från E-hälsomyndigheten via Concise. Baserat på doseringstexten i Spinrazas produktresumé antogs en förpackning Spinraza motsvara ett behandlingstillfälle.

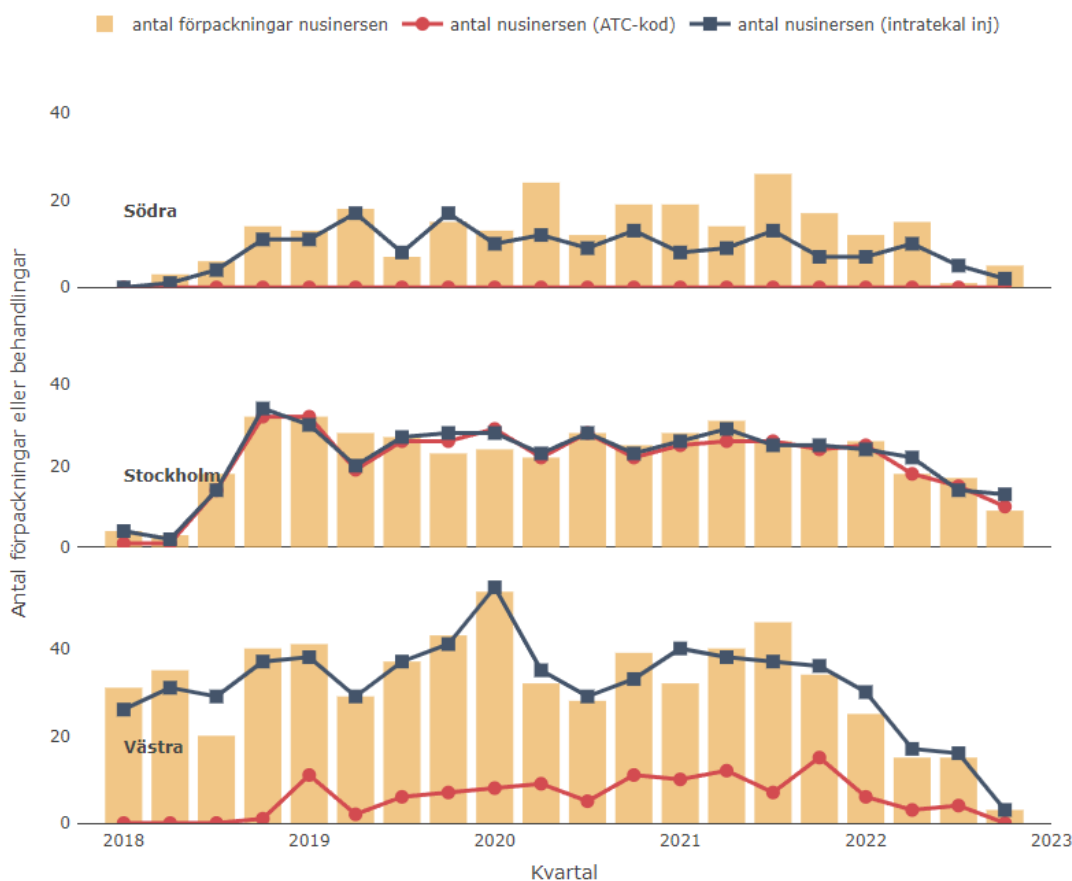
All datahantering gjordes i programmeringsspråket R (2).

Resultat

Antal inköpta förpackningar Spinraza och registrerade behandlingstillfällen i Patientregistret

Försäljning av Spinraza har skett i fyra olika sjukvårdsregioner, Södra, Västra, Stockholm och Mellansverige sedan 2018, med störst användning i Västra sjukvårdsregionen. Vid rapportering av behandling till Patientregistret har åtgärds-koden för intratekal administration följt av ATC-koden för Spinraza (nusinersen) använts i två sjukvårdsregioner - Mellansverige² och Stockholm. I Södra sjukvårdsregionen har enbart intratekal administration registrerats men aldrig ATC-kod registrerats och/eller aldrig förts över till Patientregistret och i Västra sjukvårdsregionen förekommer båda sätten att registrera, med och utan ATC-kod (se figur 1).

² Mellansverige redovisas inte separat i figur på grund av litet antal patienter



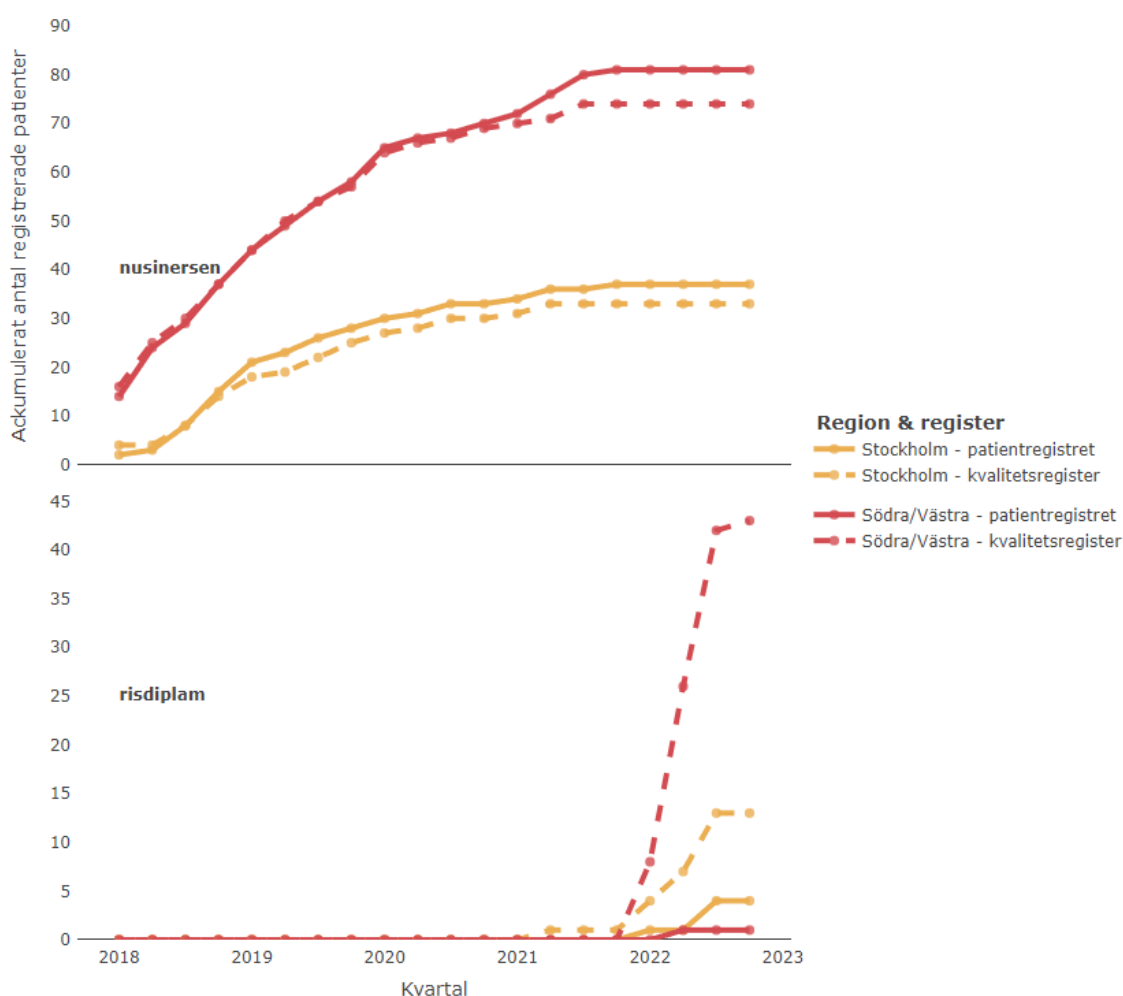
Figur 1 Försäljning av Spinraza (nusinersen, antal förpackningar) från år 2018 och framåt uppdelat på inköpande sjukvårdsregion och kvartal. Antal registrerade behandlingar per kvartal med diagnos SMA som registrerats med åtgärds kod intratekal injektion eller åtgärds kod M09AX07 (Spinraza, nusinersen). Sjukvårdsregion Mellansverige redovisas inte på grund av litet antal patienter.

En jämförelse mellan antalet inköpta förpackningar och antalet registrerade behandlingar per kvartal visar att åtgärds koden intratekal administration för patientgruppen har en tydlig koppling till antalet inköpta förpackningar Spinraza.



Antal registrerade patienter i Patientregistret och kvalitetsregistret över tid

Det ackumulerade antalet patienter som inlett behandling med Spinraza (nusinersen) eller Evrysdi (risdiplam) och registrerats i Patientregistret och kvalitetsregistret över tid uppdelat på rapporterende sjukvårdsregion jämfördes (Figur 2). På grund av att patienter i Region Skåne också ofta initialt behandlats i Västra Götalandsregionen kombinerades Södra och Västra sjukvårdsregionen.



Figur 2 Ackumulerat antal patienter som registrerats som behandlade med Spinraza (nusinersen, övre) eller Evrysdi (risdiplam, nedre) i Patientregistret (linje) och kvalitetsregistret Svenska neuroregister/neuromuskulära sjukdomar-NMiS (streckad linje).

Antalet patienter registrerade i Patientregistret och kvalitetsregistret var liknande för Spinraza (nusinersen) men högre för Evrysdi (risdiplam) i kvalitetsregistret.



Registrerad användning av Zolgensma

Ett litet antal patienter har fram till januari 2023 behandlats med Zolgensma (onasemnogen-abeparvovek). Behandlingarna registrerades i både Patientregistret och kvalitetsregistret i Region Stockholm men hittills enbart i kvalitetsregistret i Västra Götalandsregionen, eventuellt beroende på eftersläpning i fullständig rapportering av slutenvård. Enligt uppgifter från kvalitetsregistret har hittills ingen ytterligare SMA-behandling inletts för dessa patienter efter Zolgensma.

Antal patienter

Totalt identifierades 430 patienter i Patientregistret hos Socialstyrelsen med diagnos SMA under perioden 2018 till januari 2023. 120 av dessa hade enligt registret fått intratekal administration av läkemedel (Spinraza) minst en gång (tabell 2).

Diagnos med högsta svårighetsgrad	Födelseår	Antal individer i utdrag från Patientregistret	Antal som fått intratekal administration av läkemedel*
hSMA (odefinierad)	<2000	162	
	2000-2017	10	<3
	2017-2020	<3	
	2021+	<3	
hSMA1	<2000	14	
	2000-2017	15	11
	2017-2020	23	16
	2021+	9	
hSMA2	<2000	37	
	2000-2017	44	43
	2017-2020	13	13
	2021+	<3	<3
hSMA3	<2000	58	
	2000-2017	40	33
	2017-2020	<3	<3

Tabell 2 Antal patienter som identifierades i Patientregistret hos Socialstyrelsen med diagnos SMA under perioden 2018 till 26 januari 2023, uppdelat på födelseår *intratekal administration av läkemedel antas vara behandling med Spinraza



Vårdhändelser för patienter med SMA där behandling med Spinraza varit huvudsakligt alternativ

En analys av behandlingsval vid SMA baserat på uppgifter i Patientregistret begränsades till patienter födda under perioden 2017 till 2020 och för vilka eventuell behandling har inletts innan 2022. Detta eftersom Spinraza då var det enda tillgängliga behandlingsalternativet och täckningsgraden är god för behandling med Spinraza i Patientregistret. Av de 37 patienter som föddes under perioden och som hittills registrerats med diagnosen SMA har 23 fått diagnosen SMA typ 1. Bland patienterna med diagnos SMA typ 1 fick 16 stycken behandling med Spinraza, registrerat som intratekal administration. Dessa har hittills med få undantag överlevt, och var i slutet av år 2022 mellan 2 och 6 år gamla (medel: 3,6 år). De patienter som inte behandlades med Spinraza avled i normalfallet mindre än ett år efter födseln.

De patienter som registrerades med SMA typ 2 eller 3 under perioden, 14 stycken, har enligt Patientregistret alla behandlats med Spinraza, registrerat som intratekal administration (10 stycken med registrerad ATC-kod).

En analys av hur många patienter i den utvalda gruppen som avslutat behandling försvåras av den låga täckningsgraden för behandling med Evrysdi som introducerades i slutet av 2021. Ett mycket litet antal patienter i gruppen avslutade behandling innan kvartal 3 2021.

Av de 145 patienter som fötts sedan år 2000 och framåt och registrerats med SMA diagnos har enbart ett fåtal registrerats med vårdkontakter som indikerar kronisk respiratorbehandling (11 st) eller trakeostomi (färre än 3 st) under den observerade perioden.

Diskussion

Täckningsgrad i registren

En jämförelse av försäljningsvolym av Spinraza (nusinersen) och antal registrerade behandlingar per kvartal indikerar att täckningsgraden för åtgärden i Patientregistret är mycket god, men att det finns variation mellan sjukvårdsregionerna vilka kombinationer av koder som används. Möjligheten att detektera användning av Spinraza i den aktuella patientpopulationen är mer eller mindre unik på grund av den ovanliga administrationsvägen – injektion i ryggmärgsvätskan. En nyligen publicerad studie använder samma metod för att definiera användning av Spinraza (3). Användbarheten av Patientregistret för att på nationell nivå fånga upp behandling med rekviderade läkemedel är för de flesta andra läkemedel i dagsläget otillförlitlig, framför allt eftersom Region Skåne i dagsläget inte rapporterar ATC-kod alls. Den hanteringen baseras tills vidare på en dispens från Socialstyrelsen fram till att ett nytt journalsystem är infört.



Evrysdi (risdiplam) är en oral lösning som används dagligen. Läkemedlet ingår inte i läkemedelsförmånerna och har under år 2021 och 2022 framför allt distribuerats genom rekvisition till klinik men har också förskrivits utan förmån i vissa fall. Behandling med Evrydsdi har i Patientregistret enbart identifierats baserat på ATC-kod i åtgärdskod. Antalet unika patienter som registrerats som mottagare av Evrydsdi i Patient- eller Läkemedelsregistret var under slutet av 2022 fem stycken. Baserat på mängden sålt läkemedel (DDD) bör antalet vara minst 50 personer.

Täckningsgraden i Svenska neuroregister/neuromuskulära sjukdomar för patienter som behandlades med Spinraza framstår som god. Till skillnad från Patientregistret fångar även kvalitetsregistret upp användning av Evrydsdi. I både kvalitetsregistret och Patientregistret har behandlingar med Zolgensma registrerats.

Sammantaget har inte NT-rådets rekommendation om att registrera ordinationen av Evrydsdi i Patientregistret fått genomslag i klinisk praxis. Däremot sker registrering till kvalitetsregistret, vilket också ingick i NT-rådets rekommendation.

Möjligheten till utfallsbaserade avtal

Detta är en En ansökan om etiskt tillstånd för utvecklingsarbete med vetenskaplig grund möjliggjorde för regionernas samverkansmodell att få tillgång till så pass detaljerad information från Socialstyrelsens hälsodataregister att uppföljning av användning av läkemedel vid ovanliga sjukdomar och uppföljning av vissa utfall efter behandling kan göras. Tiden från beställning till datatillgång var cirka 11 månader. Efter den initiala kötiden för att begäran om uppgifter ska behandlas kan uppdaterade uppgifter lämnas från Socialstyrelsen med kortare väntetid.

Efter ett etikgodkännande är det alltså möjligt för regionernas samverkansmodell att få tillgång till uppgifter från Socialstyrelsen och sannolikt andra register som kan användas i utfallsbaserade avtal. För att kunna bedöma om uppgifter i till exempel Patientregistret kan användas behövs dock god förberedelse, eller tillgång på förhand till förekomsten av relevanta diagnos- och åtgärds-koder i registret.

I fallet med den nya genterapin vid SMA visar utvärderingen att det inte hade varit lämpligt att basera ett utfallsbaserat avtal på en prenumeration på uppgifter från Patientregistret. Eftersom Evrydsdi i dagsläget i regel inte expedieras på apotek och inte heller administreras vid ett läkarbesök är det osannolikt att ordination eller utlämnande av läkemedlet kommer att registreras i tillräcklig grad. Även om dessa vårdbesök registrerats i enlighet med NT-rådets rekommendation skulle den läkemedelsanvändning som skedde i Skåne i dagsläget inte komma med i registret.

Avtal för läkemedel vid ovanliga sjukdomar där utfallet baseras på sådana uppgifter som kräver etikgodkännande påverkar hur uppgifter om eventuella kostnadsjusteringar kan förmedlas till



regioner och företag. Justeringar baserade på behandling och utfall för boende i små regioner blir lätt sekretessbrytande. Eventuella utfallsbaserade avtal kan därför tänkas fungera bättre om de baseras på utfall på populationsnivå, i stället för patientnivå. Vad som också talar för detta är att täckningsgraden i Patientregistret av flera skäl kan bli ofullständig och även om täckningsgraden i ett kvalitetsregister kan tänkas bli hög är deltagande i sådana frivillig. Ett populationsbaserat avtal är alltså lämpligare i de fall vi vi inte kan förvänta oss fullständig täckningsgrad nationellt och i de fall uppgifter från kvalitetsregister behöver användas. Deltagande i frivilliga register kan inte krävas för att behandling med vissa läkemedel ska inledas. brödtext

Användningen av Spinraza

En analys av behandlingsval för de patienter som fått diagnosen SMA begränsades till individer födda under perioden 2017 till 2020. Skälet till begränsningen är att Spinraza då var ett alternativ för dessa patienter och att Evrysdi eller Zolgensma ännu inte var det. Eftersom täckningsgraden för Evrysdi i underlaget är låg inkluderades inte barn födda år 2021 och framåt.

Analysen visade att patienter med SMA typ 1 som behandlas med Spinraza i regel överlever medan de som inte behandlas inte gör det. Resultatet beror sannolikt på en kombination av behandlingsrådets prioriteringar i enlighet med NT-rådets rekommendation och läkemedlets effekt. Noterbart är också att ingen av de överlevande patienterna som sattes in på Spinraza tycks ha avbrutit behandling. Baserat på lydelsen av NT-rådets rekommendation kan det tolkas som en kvarstående effekt av läkemedlet, men kan också bero på en ovilja att avbryta behandling.

Av de patienter som föddes under tidsperioden och registrerades med diagnos SMA typ 2 eller 3 inledde alla behandling med Spinraza och har därefter kvarstått minst fram till slutet av 2021, då ett flertal kan ha bytt behandling till Evrysdi.



Referenser

1. Wenzl, M. och S. Chapman (2019), "Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states: How they work and possible improvements going forward", OECD Health Working Papers, No. 115, OECD Publishing, Paris, <https://doi.org/10.1787/6e5e4c0f-en>.
2. R Core Team. R: A language and environment for statistical computing. R Foundation for Statistical Computing, Vienna, Austria. URL <https://www.R-project.org/>. 2022.
3. Berglund A, Berkö S, Lampa E och Sejersen T. Survival in patients diagnosed with SMA at less than 24 months of age in a population-based setting before, during and after introduction of nusinersen therapy. Experience from Sweden. Eur J Paediatr Neurol. 2022 Sep;40:57-60. doi: 10.1016/j.ejpn.2022.07.005. Epub 2022 Jul 31. PMID: 35973318.

För frågor om rapporten mejla love.linner@regionstockholm.se



Bilaga 1 Beställning från hälsodataregistren

Studiepopulationen utgörs av individer som behandlats med de aktuella läkemedlen och identifieras i Läkemedelsregistret och Patientregistret baserat på ATC-kod samt baserat på diagnos (ICD-10) utifrån indikation för dessa läkemedel.

Uppgifter om identifierade individer i studiepopulationen inhämtas från följande register hos Socialstyrelsen:

- Läkemedelsregistret
- Patientregistret
- Cancerregistret
- Dödsorsaksregistret

Från dessa register kommer bland annat uppgifter om individer, folkbokföringsregion, vårdgivare, vårdhändelser och diagnoser inhämtas.

Studiepopulationen definieras enligt följande: Åtgärdskod M09AX09 (onasemnogen-abeparvovek) eller någon av diagnoskoderna G120, G121 med underkoder i Patientregistret.

För dessa individer beställs uppgifter från Patientregistret, Läkemedelsregistret och Dödsorsaksregistret: Alla händelser (rader) från och med 2018-01-01 fram till senast tillgängliga datum som innehåller koderna i tabell 1 nedan efterfrågas.

register	typ	kod	info kod
PAR	diagnoskod	G120	Infantil spinal muskelatrofi, typ I
PAR	diagnoskod	G121	Annan hereditär spinal muskelatrofi
PAR	diagnoskod	G121A	Hereditär spinal muskelatrofi, seninfant
PAR	diagnoskod	G121B	Hereditär spinal muskelatrofi, juvenil
PAR	diagnoskod	G121W	Annan hereditär spinal muskelatrofi
PAR	diagnoskod	Z430	Tillsyn av trakeostomi
PAR	diagnoskod	Z930	Tillstånd med trakeostomi
PAR	diagnoskod	Z991	Beroende av respirator
PAR	åtgärdskod	DG008	Kronisk respiratorbehandling, kontroll (i)



PAR	åtgärdskod	DG016	Tillsyn av trakeostomi
PAR	åtgärdskod	DG024	Byte av trakeostomitub
PAR	åtgärdskod	GBB00	Trakeostomi
PAR	åtgärdskod - läkemedel	M09AX07	nusinersen
PAR	åtgärdskod - läkemedel	M09AX09	onasemnogen-abeparvovek
DÖDSORSAK	Dödsfall	Dödsfall	Dödsfall
LÄK	Expediering av läkemedel	M09AX10	risdiplom

Tabell 1 Diagnos- och åtgärds-koder

För dessa händelser efterfrågas informationen i tabell 2 nedan.

Variabel	Patientregistret	Läkemedelsregistret	Dödsorsaksregistret
LÖPNR	X	X	X
Öppenvård / Slutenvård	X		
Födelseår	X		
Födelsemånad	X		
Kön	X		
Folkbokföringsregion	X	X	
Region vårdgivare	X		
Region förskrivare		X	
Indatum	X		
Utdatum	X		
Förskrivningsdatum		X	
Expeditionsdatum		X	
Diagnoskoder	X		
Åtgärds-koder	X		
Expedierad ATCKOD		X	
Datum dödsfall			X

Tabell 2 Efterfrågade variabler