

Datum
2022-11-18Vår beteckning
2198/2022**PART**Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Ltd.
28-32 Pembroke Street Upper, Dublin 2
Do2 EK 84 Ireland**SAKEN**

Omprövning av beslut inom läkemedelsförmånerna

BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket beslutar att nedanstående läkemedel ska fortsätta att ingå i läkemedelsförmånerna med oförändrad subventionsstatus (generell subvention) och till oförändrat pris.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Orkambi	Filmdragerad tablett	100 mg/ 125 mg	Blister 112 (4 x 28) tabletter	083886	115 475	116 521,25
Orkambi	Filmdragerad tablett	200 mg/ 125 mg	Blister 112 (4 x 28) tabletter	418179	115 475	116 521,25
Orkambi	Granulat	100 mg/ 125 mg	56 dospåsar	026127	115 475	116 521,25
Orkambi	Granulat	150 mg/ 188 mg	56 dospåsar	173267	115 475	116 521,25

BAKGRUND

Läkemedlet Orkambi är godkänt för behandling av cystisk fibros (CF).

Orkambi ingår sedan den 1 juli 2018 i läkemedelsförmånerna med generell subvention, dnr 45/2018. Inom ramen för det ärendet ingick företaget och regionerna en sidoöverenskommelse, som utgjorde en del av underlaget när Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV, beslutade om pris och subvention. Sidoöverenskommelsen har inneburit att företaget har återbetalat en del av kostnaden för användningen av Orkambi till regionerna och var en förutsättning för att Orkambi skulle inkluderas i läkemedelsförmånerna. Den 30 juni 2022 löpte avtalstiden ut för denna sidoöverenskommelse utan att någon ny upprättades. Sedan den 1 juli 2022 är det därför det fastställda priset (AUP) som utgör faktisk kostnad för Orkambi. Med anledning av detta initierade TLV den 4 juli 2022 en omprövning av Orkambi, dnr 2198/2022. Syftet var att säkerställa att kostnaden för Orkambi är rimlig utifrån 15 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. (nedan förmånslagen).

UTREDNING I ÄRENDET

Cystisk fibros, CF, är en ärftlig sjukdom som orsakas av mutationer i genen för proteinet CFTR (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator). Det finns i dagsläget fyra godkända läkemedel med förmåga att modulera effekten av det defekta proteinet: Kalydeco (ivakaftor), Orkambi (lumakaftor/ivakaftor), Symkevi (tezakaftor/ivakaftor) och Kaftrio (elexakaftor/tezakaftor/ ivakaftor).

Orkambi, som innehåller de aktiva substanserna lumakaftor och ivakaftor, är avsett för behandling av cystisk fibros hos patienter från två år och äldre som är homozygota för F508del-mutationen i CFTR-genen.

Sedan TLV:s beslut att inkludera Orkambi i läkemedelsförmånerna 2018 har kombinationsbehandlingen Kaftrio och Kalydeco fått godkännande. Kaftrio i kombination med Kalydeco är avsett för behandling av cystisk fibros hos patienter sex år och äldre som har minst en F508del-mutation i CFTR-genen. Indikationen motsvarar patienter som har en F/F-, F/MF-, F/RF-, och F/G-genotyp. Orkambi är indicerat för behandling av cystisk fibros (CF) hos patienter från två år och äldre som är homozygota för F508del-mutationen i CFTR-genen (F/F-genotyp). Indikationerna överlappar därför delvis avseende patienter med F/F-genotyp i åldern sex år och äldre.

Inom ramen för möjligheten till överläggning som ges i förmånslagen, har TLV haft trepartsöverläggningar med företaget och regionerna kring de osäkerheter som är förknippade med underlagen i ärendena Kaftrio (dnr 1867/2022), Kalydeco (dnr 1913/2022) och Symkevi (dnr 3631/2022). Inom ramen för den trepartsöverläggningen kom företaget och regionerna överens om att även Orkambi skulle inkluderas i sidoöverenskommelsen. Sidoöverenskommelsen omfattar därför all försäljning av Kaftrio, Kalydeco, Symkevi och Orkambi inom läkemedelsförmånerna från den 1 december 2022. Genom sidoöverenskommelsen åtar sig företaget att betala en del av kostnaden för användningen av Kaftrio, Kalydeco, Symkevi samt Orkambi till regionerna. Underlag till sidoöverenskommelsen har tillförts detta ärende och utgör därmed en del av beslutsunderlaget.

SKÄLEN FÖR BESLUTET

Tillämpliga bestämmelser m.m.

Enligt 10 § förmånslagen får TLV på eget initiativ besluta att ett läkemedel eller en annan vara som ingår i läkemedelsförmånerna inte längre ska ingå i förmånerna.

Av 15 § förmånslagen framgår att ett receptbelagt läkemedel ska omfattas av läkemedelsförmånerna och inköpspris och försäljningspris ska fastställas för läkemedlet under förutsättning att

1. kostnaderna för användning av läkemedlet, med beaktande av bestämmelserna i 3 kap. 1 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30), framstår som rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter, och
2. det inte finns andra tillgängliga läkemedel eller behandlingsmetoder som enligt en sådan avvägning mellan avsedd effekt och skadeverkningar som avses i 4 kap. 1 § första stycket läkemedelslagen (2015:315) är att bedöma som väsentligt mer ändamålsenliga.

I förarbetena till förmånslagen anges att TLV:s beslutsfattande utgår från tre grundläggande principer: människovärdesprincipen - att vården ska ges med respekt för alla människors lika värde och för den enskilda människans värdighet, behovs- och solidaritetsprincipen – att den som har det största behovet av hälso- och sjukvården ska ges företräde till vården samt kostnadseffektivitetsprincipen – att det bör eftersträvas en rimlig relation mellan kostnader och effekt, mätt i förbättrad hälsa och förhöjd livskvalitet (se prop. 2001/02:63 s. 43 ff., jfr prop. 1996/97:60 s. 18 ff.).

Av 27 § förmånslagen framgår att TLV:s beslut gäller omedelbart om inte annat beslutas.

TLV gör följande bedömning

Cystisk fibros (CF) innebär att tjockt, segt slem produceras och ansamlas i slemproducerande organ i kroppen, bland annat i lungorna, bukspottkörteln, lever och svettkörtlar. Sjukdomen har allvarliga effekter på bland annat lungfunktion och matsmältning. Sjukdomen är livslång, fortskridande och innebär en försämrad livskvalitet och kraftigt förkortad livslängd för en majoritet av patienterna. TLV bedömer att svårighetsgraden för CF generellt är mycket hög, även om det finns stor individuell variation.

TLV presenterar mot bakgrund av innehållet i sidoöverenskommelsen en genomsnittlig kostnad per vunnet QALY för de fyra patientpopulationerna aktuella för behandling med Kaftrio i kombination med Kalydeco samt Orkambi, F/F, F/MF, F/RF, och F/G. Med hänsyn tagen till innehållet i sidoöverenskommelsen uppgår kostnaden per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår till cirka 980 000 kronor. Sidoöverenskommelsens uppbyggnad medför att läkemedelskostnaden per patient förväntas bli lägre över tid. TLV har tagit fram ett flertal känslighetsanalyser som visar att resultaten är relativt robusta. En sammanvägd bedömning av resultaten visar att kostnaden per vunnet QALY ligger i linje med det som TLV vanligtvis accepterar för sjukdomar med mycket hög svårighetsgrad

Sammantaget bedömer TLV att kostnaderna för användning av Orkambi fortfarande är rimliga och att kriterierna i 15 § förmånslagen även i övrigt är uppfyllda. Orkambi ska därför fortsätta att ingå i förmånerna med generell subvention och till oförändrat pris.

Se nedan hur man överklagar.

2198/2022

Detta beslut har fattats av Nämnden för läkemedelsförmåner hos TLV. Följande ledamöter har deltagit i beslutet: tidigare överintendenten Staffan Bengtsson (ordförande), överläkaren Margareta Berglund Rödén, förbundsordföranden Elisabeth Wallenius, överläkaren Inge Eriksson, universitetslektorn Martin Henriksson, läkemedelschefen Maria Landgren, docenten Gerd Lärfars och professorn Sofia Kälvemark Sporrang. Föredragande har varit enhetschefen Jonathan Lind Martinsson.

Staffan Bengtsson

Jonathan Lind Martinsson

HUR MAN ÖVERKLAGAR

Beslutet kan överklagas hos Förvaltningsrätten i Stockholm. Överklagandet ska vara skriftligt och ställas till förvaltningsrätten, men måste skickas till TLV. TLV ska ha fått överklagandet inom tre veckor från den dag klaganden fick del av beslutet, annars kan överklagandet inte prövas. TLV skickar vidare överklagandet till förvaltningsrätten för prövning om inte TLV själv ändrar beslutet på det sätt som begärts.