SÖKANDE

Novartis Sverige AB
ewa.ohlsson@novartis.com

BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket beslutar att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med den 1 maj 2026 till i tabellen angivna priser. Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket fastställer det alternativa försäljningspriset till samma belopp som AIP (apotekens inköpspris). Beslutet gäller med förmånsbegränsning och villkor enligt nedan.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)	AUP[1] (SEK)
Fabhalta	Kapsel	200 mg	56 st	555351	274 200	275 500

Förmånsbegränsning

Subventioneras endast för behandling av komplementfaktor 3-glomerulopati, för patienter med persisterande nefrotisk grad av albuminuri trots behandling med hämmare av renin-angiotensin-systemet och eventuell immunhämmare, eller när behandling med dessa inte är lämplig.

Villkor

Företaget ska tydligt informera om ovanstående förmånsbegränsning i all sin marknadsföring och annan information om läkemedlet.

Upplysning

Beslutet kan komma att ändras eller upphävas med stöd av 10 eller 13 §§ lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. om förutsättningarna för subventionen ändras eller om det framkommer nya uppgifter.

[1] Apotekens utförsäljningspris

ANSÖKAN

Novartis Sverige AB (företaget) har den 28 maj 2025 ansökt om att det läkemedel som anges i tabellen på sidan 1 ska ingå i läkemedelsförmånerna.

Företaget har ansökt om en förmånsbegränsning i enlighet med följande. Subventioneras endast för patienter med komplementfaktor 3-glomerulopati som har kraftigt förhöjd proteinuri (>3 g/g, >300 g/mol) och nefrotiskt syndrom.

Till stöd för sin ansökan har företaget kommit in med ett kliniskt underlag som bland annat består av resultat från en randomiserad klinisk studie där Fabhalta i tillägg till standardbehandling jämförts mot placebo (overksam behandling) i tillägg till standardbehandling. I den kliniska studien deltog patienter med komplementfaktor 3-glomerulopati (C3G). I företagets underlag ingår även en hälsoekonomisk analys i form av en kostnadsnyttoanalys som jämför Fabhalta i tillägg till standardbehandling med inget tillägg till standardbehandling.

SKÄLEN FÖR BESLUTET

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) bedömer att ansökan ska beviljas av följande skäl:

- Företaget har visat att Fabhalta som tillägg till standardbehandling har bättre effekt än jämförelsealternativet inget tillägg till standardbehandling.

- Fabhalta har en högre behandlingskostnad än jämförelsealternativet men kostnaderna bedöms bli rimliga med hänsyn tagen till den sidoöverenskommelse som tecknats mellan företaget och regionerna och att det finns skäl att acceptera en högre kostnad än vad TLV vanligtvis gör. TLV har vid denna bedömning utgått ifrån att C3G med persisterande kraftigt förhöjd proteinuri är ett tillstånd med mycket hög svårighetsgrad.

- TLV bedömer att det finns särskilda skäl att besluta om förmånsbegränsning.

Sammantaget bedömer TLV att kriterierna i 15 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. (nedan förmånslagen) är uppfyllda till det ansökta priset om läkemedlets användningsområde begränsas (förmånsbegränsning) och om TLV:s beslut förenas med villkor i enlighet med 11 § förmånslagen.

Tillämpliga bestämmelser framgår av bilagan till detta beslut.

Läkemedlet Fabhalta

Läkemedlet Fabhalta innehåller den aktiva substansen iptakopan, som blockerar ett protein i komplementsystemet som kallas ”faktor B”. Komplementsystemet är en del av människans immunförsvar mot infektioner. Hos patienter med C3G är komplementsystemet överaktivt och skadar de egna cellerna. Fabhaltas blockering av faktor B förhindrar skada av njurceller vid C3G. Läkemedlet är avsett för behandling av vuxna patienter med C3G, i kombination med en hämmare av renin-angiotensinsystemet (RAS-hämmare), eller till patienter som är intoleranta mot RAS-hämmare, eller för vilka RAS-hämmare är kontraindicerat. Läkemedlet är också godkänt för behandling av patienter med paroxysmal nokturnal hemoglobinuri.

Komplementfaktor 3-glomerulopati med ihållande kraftig proteinuri är ett tillstånd med mycket hög svårighetsgrad

TLV bedömer att svårighetsgraden är mycket hög för det sjukdomstillstånd som ansökan avser, det vill säga C3G med persisterande nefrotisk grad av albuminuri. Bedömningen av svårighetsgrad görs mot bakgrund av att sjukdomstillståndet är livslångt och innebär en hög risk för att patienten utvecklar terminal njursvikt. För patienter med terminal njursvikt är hälsorelaterad livskvalitet och förväntad livslängd mycket påverkad.

Av 15 § förmånslagen framgår att TLV ska beakta de principer som ska ligga till grund för prioriteringarna i vården, bl.a. behovs- och solidaritetsprincipen, vid bedömningen av om ett läkemedel ska beviljas subvention. Behovs- och solidaritetsprincipen innebär att angelägenhetsgraden är av central betydelse vid prioriteringar i vården (prop. 2001/02:63 s. 44). De patienter som har de största behoven, de svåraste sjukdomarna och den sämsta livskvaliteten ska tilldelas mer av hälso- och sjukvårdens resurser. TLV bedömer därför vilken svårighetsgrad det aktuella tillståndet har för att avgöra vilken kostnad som kan accepteras per vunnen hälsoeffekt för en behandling.

Bedömningen av tillståndets svårighetsgrad ska göras på gruppnivå för den patientpopulation som är drabbad av tillståndet och med utgångspunkten att dessa patienter står på standardbehandling enligt svensk klinisk praxis. Det är den fas av det medicinska tillståndet där behandling med det nya läkemedlet förväntas ske och hur tillståndet skulle utvecklats utan behandling med det nya läkemedlet som ska beaktas. Hänsyn tas till hur stor hälsoförlusten är över tid för personer som drabbas av tillståndet både vad gäller livskvalitet och påverkan på återstående livslängd. Tillståndets varaktighet och risken att försämras i framtiden vägs därför in. TLV bedömer svårighetsgraden för ett tillstånd på en fyrgradig skala från låg till mycket hög.

Indikationen för Fabhalta inkluderar vuxna patienter med C3G oberoende av graden av proteinuri. Den aktuella ansökan om att Fabhalta ska ingå i läkemedelsförmånerna omfattar dock enbart C3G-patienter med persisterande nefrotisk grad av albuminuri. Företaget anför att risken för att sjukdomen snabbt ska förvärras till det sista stadiet av kronisk njursvikt är hög hos C3G-patienter med ihållande höga nivåer av protein i urinen. Vid terminal njursvikt är njurarnas funktion så pass nedsatt att njurersättande behandling, det vill säga dialys eller njurtransplantation, är de enda behandlingsalternativen. Företaget framför att återfallsfrekvensen av C3G hos patienter som genomgår njurtransplantation är hög, och de som återfår sjukdomen kan drabbas av en avstötning av transplantatet. Företaget uppger vidare att patienter med kraftig proteinuri ofta drabbas av nefrotiskt syndrom, ett kliniskt tillstånd som karakteriseras av onormal ansamling av vätska i kroppen (ödem) och en ökad risk för blodproppar (tromboser) och allvarliga infektioner. I den kliniska studien för Fabhalta hade cirka 80 procent av C3G-patienterna med kraftigt förhöjd proteinuri, urinprotein/kreatinin kvot (UPCR) >300 g/mol även nefrotiskt syndrom.

TLV konstaterar att C3G leder till att njurarnas funktion stegvis försämras. 30 till 50 procent av C3G-patienterna utvecklar njursvikt inom fem till tio år från diagnos. Faktorer som används i klinisk praxis för att bedöma risk för snabb sjukdomsprogress och terminal njursvikt är bland annat grad av albuminuri och försämringstakten av njurfunktion (årlig minskning av estimerad glomerulär filtrationshastighet). TLV bedömer att det finns ett samband mellan svårighetsgraden inom C3G-populationen och grad av ihållande albuminuri. Risk att utveckla terminal njursvikt är större vid persisterande nefrotisk grad av albuminuri. För patienter med terminal njursvikt och i behov av njurersättande behandling rapporteras förkortad livslängd. För patienter i dialys rapporteras stor påverkan på livskvalitet. TLV

bedömer att svårighetsgraden är mycket hög för det sjukdomstillstånd som ansökan avser, det vill säga C3G med persisterande nefrotisk grad av albuminuri trots behandling med hämmare av renin-angiotensin-systemet och eventuell immunhämmare, eller när behandling med dessa inte är lämplig.

Inget tillägg till standardbehandling är relevant jämförelsealternativ till Fabhalta
TLV konstaterar att det idag inte finns någon specifik läkemedelsbehandling avsedd för C3G tillgänglig i Sverige. TLV bedömer liksom företaget att inget tillägg till standardbehandling är relevant jämförelsealternativ till Fabhalta som tilläggsbehandling till standardbehandling. Standardbehandling vid C3G liknar den vid kronisk njursjukdom i allmänhet och inkluderar läkemedel som genom att kontrollera blodtryck och minska inflammation ska bromsa fortsatt försämring av njurfunktionen. Standardbehandling inkluderar läkemedel som hämmar Renin-Angiotensin-Aldosteron-Systemet, läkemedel som hämmar natrium-glukostransportör 2 (SGLT2) och immunhämmare.

Enligt 15 § förmånslagen kan ett läkemedel endast omfattas av läkemedelsförmånerna om 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. Det innebär att kostnaden för det utvärderade läkemedlet måste ställas i relation till ett jämförelsealternativ.

Enligt TLV:s allmänna råd (TLVAR 2003:2) om ekonomiska utvärderingar bör det mest kostnadseffektiva av de i Sverige tillgängliga och kliniskt relevanta behandlingsalternativen utgöra jämförelsealternativ.

Företaget har visat att Fabhalta som tillägg till standardbehandling har en bättre effekt än inget tillägg till standardbehandling
TLV bedömer att det är sannolikt att Fabhalta kan bromsa försämringstakten av njurfunktionen till följd av minskningen av proteinuri, men antagandet om hur stor den långsiktiga effektfördelen blir vid tillägg av iptakopan, det vill säga hur länge tilläggsbehandling med iptakopan kan skjuta upp ett eventuellt behov av njurersättande behandling, är förenat med hög osäkerhet. Graden av proteinuri vid studieavslut efter 12 månader indikerar fortsatt risk för progress av njurfunktionsnedsättning.

Effekten av iptakopan vid behandling av C3G baseras på resultat från den placebokontrollerade kliniska studien APPEAR-C3G. Studien visar att behandling med iptakopan, i tillägg till standardbehandling, är effektivare än placebo, i tillägg till standardbehandling, avseende att minska mängden av proteiner i urinen hos vuxna patienter med C3G. Patienterna som deltog i studien hade redan behandlats för C3G med andra läkemedel såsom RAS-hämmare och immunhämmare. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) har bedömt att den effekt som observerats i studien är kliniskt relevant för patientgruppen.

Företagets hälsoekonomiska analys utgår från resultaten från de patienter i studien APPEAR-C3G som hade proteinuri inom det nefrotiska intervallet, vid behandlingsstart. Tillägget av iptakopan till standardbehandling resulterade i ett partiellt svar avseende UPCR. Minskningen av proteinuri stöds av resultat som visar att njurfunktionen, mätt som estimerad glomerulär filtrationshastighet (eGFR), stabiliseras under studietiden. Det kliniska underlaget omfattar också resultat från en enarmad förlängningsstudie. Data från förlängningsstudien visar på en ihållande minskning av proteinuri vid behandling med

iptakopan. Längsta behandlingstid med iptakopan rapporterad från den pågående förlängningsstudien är 57 månader.

Försämringstakt av njurfunktion (årlig minskning av eGFR), innan och efter insättning av iptakopan, undersöks i en explorativ analys av patienter som ingått i APPEAR-C3G. Data avseende årlig minskning av eGFR används i den hälsoekonomiska analysen för att skatta sjukdomsprogression och övergång i senare stadier av kronisk njursjukdom. TLV anser att studieresultat avseende årlig försämring av eGFR är mycket osäkra. För att fastställa förändring av eGFR behövs uppföljning av behandling under flera år. Eftersom relativ effekt baserats på en jämförelse där historisk observationell data använts för beräkningen av årlig förändring av eGFR för standardbehandling, och inte resultat från den randomiserade jämförelsen, finns en risk för bias. Små patientgrupper begränsar också möjligheten till tolkning av data.

Fabhalta uppfyller kriterierna för att TLV ska acceptera en högre kostnad än vad TLV vanligtvis gör i förhållande till ett tillstånd med mycket hög svårighetsgrad

TLV bedömer att Fabhalta uppfyller kriterierna för att TLV ska acceptera en högre kostnad än vanligt för ett tillstånd med mycket hög svårighetsgrad. Bedömningen grundas på att C3G är ett sällsynt tillstånd med ett lågt antal patienter som har hälsotillståndet (prevalens) och få nya patienter som tillkommer varje år (incidens). Patienter med C3G med ihållande kraftig proteinuri har en mycket hög svårighetsgrad. Behandling med Fabhalta i tillägg till standardbehandling, bedöms ha en klinisk relevant hälsovinst eftersom läkemedlet minskar mängden av proteiner i urinen och stabiliserar njurfunktionen, vilket kan förskjuta tiden till eventuell njurersättande behandling.

Enligt TLV innebär människovärdesprincipen i den etiska plattformen att jämlik tillgång till vård ska eftersträvas och att alla patienter har lika värde och samma rätt oavsett om de är drabbade av ett vanligt eller ovanligt tillstånd. Behovs-solidaritetsprincipen innebär att TLV bör sträva efter att uppnå ett så lika hälsoutfall som möjligt för medborgarna. Kostnadseffektivitetsprincipen innebär att det ska vara en rimlig relation mellan kostnader och effekter, mätt i förbättrad hälsa och förhöjd livskvalitet. Principerna innebär att det under vissa förutsättningar finns skäl att acceptera en högre kostnad per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår (QALY) för läkemedel avsedda för mycket svåra och sällsynta hälsotillstånd än för andra läkemedel avsedda för större patientgrupper med lika svåra tillstånd.

Den grundläggande ekonomiska motiveringen för att acceptera en högre kostnad i relation till hälsovinsten för läkemedel vid mycket svåra och sällsynta hälsotillstånd är att forskning, utveckling och tillverkning av läkemedel är förenat med stora fasta kostnader. Ju färre patienter som behandlas, desto större del av företagets fasta kostnader måste behandlingen av varje patient bära. Detta leder till att det utifrån den etiska plattformen, som den kommer till uttryck i 15 § förmånslagen, är rimligt att kostnaden per vunnet QALY kan tillåtas vara högre ju mer sällsynt tillståndet är. Det innebär att det finns skäl att i viss utsträckning kompensera företag för den lägre intjäningsförmåga som ett hälsotillstånds sällsynthet typiskt sett orsakar och på så sätt förbättra tillgängligheten till läkemedel för mycket sällsynta hälsotillstånd.

För att TLV ska acceptera en högre kostnad per vunnet QALY ska hälsotillståndet vara mycket sällsynt och ha en mycket hög svårighetsgrad. Läkemedlet ska därtill ge en kliniskt relevant hälsovinst. Om dessa kriterier är uppfyllda är graden av sällsynthet och graden av osäkerhet i den hälsoekonomiska utvärderingen är avgörande för hur hög kostnad som kan

anses rimlig. TLV har i tidigare ärenden bedömt att kriterierna är uppfyllda och därför accepterat en högre kostnad per vunnet QALY än vad TLV vanligtvis gör i förhållande till det aktuella tillståndets svårighetsgrad (dnr 3654/2024, 3890/2024 och 4538/2024).

Bedömningen av ett hälsotillstånds sällsynthet (patientantalet) utgår som huvudregel från den patientgrupp som motsvarar läkemedlets samtliga godkända indikationer. För att få ett mått på tillståndets sällsynthet beräknar TLV ett index utifrån dess prevalens och incidens i Sverige. För att TLV ska acceptera en högre kostnad ska sällsynthetsindex inte överstiga cirka 100. Ju lägre sällsynthetsindex, desto högre kostnad i förhållande till hälsovinsten kan TLV acceptera.

Företaget framför att uppskattningar om incidens och prevalens bör utgå från den patientgrupp som kan komma i fråga för behandling med läkemedlet utifrån ansökt subventionsbegränsning.

I bedömningen av hälsotillståndets sällsynthet har TLV, till skillnad från företaget, utgått från Fabhaltas samtliga indikationer. TLV har utgått från företagets uppskattningar av incidens och prevalens. Företaget har uppskattat att det idag finns cirka 78 personer i Sverige som har diagnosen C3G. Företaget uppskattar att det varje år tillkommer ungefär åtta ny vuxna patient med diagnosen C3G i Sverige. För att uppskatta prevalens och incidens av C3G i Sverige har företaget utgått från skattningar av hur vanligt C3G är i Storbritannien och information i vetenskapliga artiklar. Incidens och prevalens för svår form av paroxysmal nokturnal hemoglobinuri baseras på uppgifter i företagets ansökan och beslut i ärende med dnr 3654/2024. Antal patienter som insjuknar med den svårare formen av paroxysmal nokturnal hemoglobinuri uppskattas vara fyra och prevalensen anges vara mellan 30-45. Med dessa uppgifter beräknas sällsynthetsindex ligga i intervallet mellan 56 och 85. Beräknat sällsynthetsindex bedöms vara osäkert, främst eftersom det inte finns tillförlitliga uppgifter om hur många patienter som har C3G i Sverige.

Sammantaget bedömer TLV att samtliga kriterier är uppfyllda för att acceptera en högre kostnad än vad TLV vanligtvis gör för tillstånd med mycket hög svårighetsgrad.

De högre kostnaderna för Fabhalta bedöms vara rimliga i förhållande till den nytta som behandlingen ger för patienter med Komplementfaktor 3-glomerulopati och ihållande kraftig proteinuri.

Utifrån graden av sällsynthet och identifierade osäkerheter i den hälsoekonomiska analysen och med hänsyn tagen till innehållet i sidoöverenskommelsen bedömer TLV att de högre kostnaderna för Fabhalta är rimliga i förhållande till den nytta som behandlingen ger för patienter med C3G-patienter med ihållande kraftig proteinuri. Identifierade osäkerheter i den hälsoekonomiska analysen bedöms inte vara större än att de kan accepteras inom ramen för bedömningen.

Kostnadseffektivitetsprincipen innebär att en rimlig relation mellan kostnader och effekt, mätt i förbättrad hälsa och förhöjd livskvalitet, bör eftersträvas vid val mellan olika verksamheter och åtgärder (prop. 2001/02:63 s. 44).

TLV:s allmänna råd (TLVAR 2003:2) beskriver hur TLV anser att en hälsoekonomisk analys bör utformas. Av de allmänna råden framgår att den rekommenderade analysmetoden är kostnadseffektivitetsanalys, främst kostnadsnyttoanalyser med kvalitetsjusterade levnadsår (QALY) som effektmått. Vid behandlingar som påverkar överlevnaden bör både livskvalitetsvinst och vunna levnadsår redovisas. Vidare framgår att om läkemedlet som

ansökan avser har samma hälsoeffekt som jämförelsealternativet kan en kostnadsminimeringsanalys vara tillräcklig.

Mot bakgrund av att den kliniska effekten bedöms vara bättre för Fabhalta än för jämförelsealternativet, baseras TLV:s hälsoekonomiska analys på en kostnadsnyttoanalys. I en kostnadsnyttoanalys ingår både kostnader och effekter. Effekten mäts ofta i kvalitetsjusterade levnadsår, vilket i sig innefattar två dimensioner av hälsa: livskvalitet och livslängd. Företaget har kommit in med en kostnadsnyttoanalys i form av en markovmodell där behandling med Fabhalta som tillägg till standardbehandling jämförs med inget tillägg till standardbehandling. TLV bedömer att företagets hälsoekonomiska modell kan användas som grund för den hälsoekonomiska analysen, eftersom den fångar relevanta kostnader och effekter kopplade till sjukdomen.

Identifierade osäkerheter

TLV har identifierat ett flertal osäkerheter i den hälsoekonomiska analysen och har justerat flera antaganden. TLV justerar företagets antagande om Fabhaltas effekt (hur länge behandling med Fabhalta kan senarelägga behovet av njurersättandebehandling) och genomsnittlig tid till transplantation. TLV justerar också företagets antagande om patientkaraktäristika vid behandlingsstart avseende patienternas ålder, genomsnittliga eGFR-värde och andel patienter i respektive stadium för kronisk njursvikt (CKD-stadium). Företagets antagande om genomsnittlig överlevnad för en transplanterad njure, livskvalitet, och mortalitetsrisk för C3G patienter är också osäkra men bedöms rimliga som utgångspunkt i den hälsoekonomiska analysen.

Företagets modell tar inte hänsyn till att njurtransplanterade patienter kan bli aktuella för behandling med Fabhalta vid återfall av C3G i transplanterad njure. TLV anser att det finns en osäkerhet gällande modellens struktur avseende antagandet att patienter som återfår sjukdomen efter njurtransplantation inte får Fabhalta i modellen. TLV anser att det är troligt att även transplanterade patienter kan komma att behandlas med Fabhalta vid återfall av C3G i transplanterad njure. Återinsättning av Fabhalta kommer att resultera i ökade läkemedelskostnader. Samtidigt kan behandling med Fabhalta bromsa försämring av njurfunktion och generera en hälsovinst. Osäkerheten kring återinsättning ligger längre fram i tiden och sett till diskonteringseffekter bedömer TLV att en återinsättning av Fabhalta vid återfall efter transplantation troligen har en mindre påverkan på resultatet.

Företaget antar att patienter är 28 år vid behandlingsstart baserat på samtliga individer i APPEAR-studien. TLV kan inte med säkerhet säga vid vilken genomsnittsålder patienter i Sverige kommer att påbörja behandling med Fabhalta, då data från C3G-patienter i Sverige inte finns tillgänglig. I brist på svensk data anser TLV att ålder vid diagnos för aktuell subgrupp redovisad i APPEAR-C3G om 23 år är mest rimlig att utgå ifrån.

TLV bedömer att det är osäkert hur patienter i Sverige som är aktuella för behandling med Fabhalta kommer att vara fördelade mellan olika CKD-stadier och vilket genomsnittligt eGFR de har när de påbörjar behandlingen. Företaget har inte utgått från den kliniska studien vid patientgruppens fördelning i CKD-stadier. Företaget utgår istället från resultaten i en studie där information om patientkaraktäristika för C3G-patienter samlats in från kliniska experter. Data från C3G-patienter i Sverige finns inte att tillgå. TLV justerar fördelning av patienter i olika CKD-stadier och genomsnittlig eGFR vi behandlingsstart baserat på det brittiska registret National Registry of Rare Kidney Diseases.

För att skatta patienters progressionstakt och tid till terminal njursvikt utgår företaget från uppmätt årlig förändring av eGFR för patienter i APPEAR-C3G som haft kraftig proteinuri. Patienter har behandlats med Fabhalta i upp till 12 månader. Företaget antar att det inte sker någon ytterligare försämring av patienters njurfunktion så länge de står kvar på behandling med Fabhalta. Företaget antar att den årliga förändringen av eGFR är konstant över hela modellens tidshorisont och inte påverkas av vilket CKD-stadium patienten befinner sig i, eftersom varken data eller modellen tillåter förändringar specifika för ett CKD-stadium. TLV anser att antaganden om en stabiliserad behandlingseffekt är förenat med hög osäkerhet och kan riskera att överskatta behandlingseffekten. Vidare saknas evidens som stödjer att förändringstakten i eGFR är konstant över tid eller oberoende av i vilket CKD-stadium patienten befinner sig. Sammantaget anser TLV att det föreligger betydande osäkerheter kring företagets modellering av långsiktig behandlingseffekt, progression och behandlingslängd. TLV justerar därför företagets antagande om hur njurfunktionen förändras över tid. TLV utgår ifrån den årliga förändring av eGFR som har beräknats för subgruppen vid ett senare uppföljningstillfälle då patienterna behandlats med Fabhalta i upp till 24 månader.

Företaget antar en mediantid till transplantation baserat på brittiska registerdata. Svenskt njurregister (SNR) visar på kortare tid till transplantation än vad företaget antar. TLV justerar antagandet avseende tid till transplantation i enlighet med uppgifter redovisade i SNR årsrapport från 2024.

Företaget har i sin hälsoekonomiska modell inkluderat patientkostnader som ett mått på den tid som patienter lägger på behandlingar såsom dialys och transplantationer. Patienter i behov av dialys har en tidskrävande behandling som påverkar patientens vardag i hög utsträckning. Enligt TLV:s praxis inkluderas inte kostnader för produktivitetsförluster eller den tid patienter avsätter vid behandling i TLV:s grundscenario. Detta eftersom TLV anser att det går emot människovärdesprincipen att behandla människor olika utifrån deras arbetsförmåga, vilket blir resultatet i det fall man inkluderar produktionsförluster i en hälsoekonomisk analys. TLV exkluderar företagets antagande om produktivitetsförluster vid dialys och transplantation men har undersökt hur detta påverkar resultatet i känslighetsanalyser.

Företaget antar minskade läkemedelskostnader efter patentutgång vid 15 år. Företagets antagande baseras på TLV:s rapport med dnr 3021/2016. TLV beaktar inte hypotetiska antaganden om framtida prisutveckling i den hälsoekonomiska analysen, utan baserar beräkningarna på ansökt läkemedelspris (AUP).

Med hänsyn tagen till innehållet i sidoöverenskommelsen uppgår kostnaden per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår till cirka 2 miljoner kronor

Företagets hälsoekonomiska analys innehåller flera osäkerheter som innebär en risk att kostnaden per vunnet QALY kan bli högre än vad TLV bedömer är en rimlig kostnad i förhållande till den aktuella nivån av sällsynthet. Trots att flera antaganden i den hälsoekonomiska analysen justerats anser TLV att osäkerheter kvarstår. TLV bedömer att osäkerheten i den hälsoekonomiska analysen är hög och det grundar sig främst i osäkerheten kring antaganden om Fabhaltas effekt och hur det är modellerat. Vid en lägre läkemedelskostnad för Fabhalta minskar risken för att kostnaden per vunnet QALY kan bli högre än vad TLV bedömer är rimligt.

I företagets grundscenario uppgår kostnaden per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår till 5,7 miljoner kronor för behandling med Fabhalta jämfört med inget tillägg till standardbehandling.

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 underlaget. Trepartsöverläggningarna har resulterat i en sidoöverenskommelse mellan företaget och regionerna. Sidoöverenskommelsen omfattar all försäljning av Fabhalta inom läkemedelsförmånerna från den 1 maj 2026. Genom sidoöverenskommelsen åtar sig företaget att betala en del av kostnaden för användningen av Fabhalta till regionerna. Underlag till sidoöverenskommelsen har tillförts detta ärende.

I TLV:s grundscenario vinner patienterna som behandlas med Fabhalta 3,9 kvalitetsjusterade levnadsår jämfört med inget tillägg till standardbehandling. Med hänsyn tagen till innehållet i sidoöverenskommelsen uppgår kostnaden per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår till cirka 2 miljoner kronor för behandling med Fabhalta jämfört med inget tillägg till standardbehandling. Resultaten från TLV:s känslighetsanalyser visar att faktisk kostnad per vunnet QALY kan bli högre än vad TLV anser är rimlig, trots den aktuella nivån av sällsynthet. Denna risk är dock inte större än att TLV kan bedöma kostnaden per vunnet QALY i TLV:s grundscenario som rimlig.

Det finns särskilda skäl att besluta om förmånsbegränsning

Enligt 11 § förmånslagen har TLV möjlighet att besluta om begränsad subvention till ett visst användningsområde eller till en viss patientgrupp om det finns särskilda skäl.

En förutsättning för en förmånsbegränsning är enligt TLV att den får genomslag i den kliniska vardagen och utgör ett verksamt instrument för att begränsa användningen av läkemedlet till de patienter där användningen framstår som kostnadseffektiv med hänsyn tagen till svårighetsgraden.

Företaget har ansökt om att Fabhalta endast ska subventioneras för patienter med komplementfaktor 3-glomerulopati som har kraftigt förhöjd proteinuri (>3 g/g, >300 g/mol) och nefrotisk syndrom. Enligt en av TLV:s kliniska experter innebär företagets förslag på skrivning en otydlighet gällande vilka patienter som omfattas av subventionen. Mot denna bakgrund anser TLV att förmånsbegränsningen ska formuleras enligt följande. Subventioneras endast för behandling av komplementfaktor 3-glomerulopati, för patienter med persisterande nefrotisk grad av albuminuri trots behandling med hämmare av renin-angiotensin-systemet och eventuell immunhämmare, eller när behandling med dessa inte är lämplig.

Denna förmånsbegränsning omfattar den patientgrupp företaget har ansökt subvention för och företaget har inte haft något emot denna formulering.

Utredningen har visat att det finns avgränsade patientgrupper inom Fabhaltas godkända indikation där kostnadseffektiviteten för användning av Fabhalta skiljer sig åt. TLV bedömer att risken för omfattande förskrivning inom förmånerna utanför förmånsbegränsningen, det vill säga till C3G-patienter utan kraftig proteinuri och utan tydligt progredierande njurfunktionsnedsättning, är liten. Detta mot bakgrund av att C3G-patienter ska tas om hand inom nationell högspecialiserad vård och att kriterierna för förmånsbegränsningen är tydliga och möjliga för förskrivare att identifiera. Därmed bedömer TLV att det finns särskilda skäl

att begränsa subventionen av Fabhalta avseende behandlingen för C3G patienter med ihållande kraftig proteinuri och nefrotiskt syndrom.

Beslutet ska börja gälla senare

Sidoöverenskommelsen mellan regionerna och företaget börjar gälla den 1 maj 2026 och TLV anser därför att beslutet ska börja gälla samma datum.

Detta beslut har fattats av Nämnden för läkemedelsförmåner hos TLV. Följande ledamöter har deltagit i beslutet: Tidigare överintendenten Staffan Bengtsson (ordförande), docenten Emelie Heintz, överläkaren Inge Eriksson, läkemedelschefen Maria Landgren, verksamhetschefen Maria Palmetun Ekbäck, överläkaren Maria Strandberg, professorn Mats Bergman, forskningsansvariga Monica Persson och professorn Sofia Kälvemark Sporrong. Ärendet har föredragits av medicinska utredaren Sofi Eriksson. I den slutliga handläggningen har även hälsoekonomen Hillevi Glantz och juristen Åsa Levin medverkat.

Staffan Bengtsson

Sofi Eriksson

HUR MAN ÖVERKLAGAR

Beslutet kan överklagas hos Förvaltningsrätten i Stockholm. Överklagandet ska vara skriftligt och ställas till förvaltningsrätten, men skickas till TLV som skickar vidare överklagandet till förvaltningsrätten. TLV ska ha fått överklagandet inom tre veckor från den dag klaganden fick del av beslutet, annars kan överklagandet inte prövas. I överklagandet ska det anges vilket beslut som överklagas och på vilket sätt beslutet ska ändras. Om TLV ändrar det beslut som överklagats, överlämnas även det nya beslutet till förvaltningsrätten. Överklagandet omfattar även det nya beslutet.

BILAGA

Tillämpliga bestämmelser

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket beslutar om ett läkemedel eller en vara som avses i 18 § ska ingå i läkemedelsförmånerna och fastställer inköpspris och försäljningspris som, med de undantag som anges i 7 a och 7 b §§, ska tillämpas av öppenvårdsapoteken. (7 § första stycket lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. (förmånslagen)).

Den som marknadsför ett läkemedel eller en vara som avses i 18 § förmånslagen får ansöka om att läkemedlet eller varan ska ingå i läkemedelsförmånerna. Sökanden ska visa att villkoren enligt 15 § förmånslagen är uppfyllda och lägga fram den utredning som behövs för att fastställa inköpspris och försäljningspris. (8 § första stycket förmånslagen).

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.
(15 § förmånslagen).

Målet med hälso- och sjukvården är en god hälsa och en vård på lika villkor för hela befolkningen. Vården ska ges med respekt för alla människors lika värde och för den enskilda människans värdighet. Den som har det största behovet av hälso- och sjukvård ska ges företräde till vården. (3 kap. 1 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30)

Ett läkemedel ska vara av god kvalitet och ändamålsenligt. Läkemedlet är ändamålsenligt om det är verksamt för sitt ändamål och vid normal användning inte har skadeverkningar som står i missförhållande till den avsedda effekten. (4 kap. 1 § första stycket läkemedelslagen (2015:315)

Om det finns särskilda skäl får TLV besluta att ett läkemedel eller annan vara ska ingå i läkemedelsförmånerna endast för ett visst användningsområde (förmånsbegränsning). Myndighetens beslut får förenas med andra särskilda villkor. (11 § förmånslagen)

Innan Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket meddelar beslut i frågor som avses i 7 § förmånslagen ska sökanden och regionerna ges tillfälle till överläggningar med myndigheten. (9 § förmånslagen)

TLV:s beslut gäller omedelbart om inte annat beslutas. (27 § förmånslagen)

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket fastställer ett alternativt försäljningspris, som ska vara lika med inköpspriset, för alla läkemedel i läkemedelsförmånerna. (4 § Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets föreskrifter och allmänna råd (TLVFS 2009:4) om prissättning av utbytbara läkemedel och utbyte av läkemedel m.m.)

Ett beslut om att ett läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna tillämpas på öppenvårdsapoteken tidigast från och med dagen efter den då beslutet meddelades. (19 § Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets föreskrifter och allmänna råd (TLVFS 2008:2) om ansökan och beslut om läkemedel och varor som förskrivs i födelsekontrollerande syfte)