

Frågor och svar Translarna

Vad har TLV beslutat?

Translarna ingår i högkostnadsskyddet för patienter med Duchennes muskeldystrofi som har bibehållen gångförmåga från och med den 1 maj 2019 till och med den 30 juni 2022.

När börjar beslutet gälla?

Den 1 maj 2019.

Varför säger ni ja till ansökan?

TLV bedömer att kostnaden för Translarna är rimlig i förhållande till nyttan som läkemedlet ger för patienter med Duchennes muskeldystrofi som har bibehållen gångförmåga. TLV accepterar i detta beslut en högre kostnad för Translarna än vad TLV vanligtvis gör vid tillstånd med mycket hög svårighetsgrad. I beslutet har TLV bland annat vägt in sjukdomens svårighetsgrad och antalet patienter samt behovet av nya behandlingar vid Duchennes muskeldystrofi.

Vad har TLV kommit fram till när det gäller Translarna?

TLV bedömer att kostnaden för Translarna är rimlig i förhållande till nyttan som läkemedlet ger för patienter med Duchennes muskeldystrofi som har bibehållen gångförmåga. Kostnaden är markant högre för patienter som saknar gångförmåga och därför ingår Translarna enbart i högkostnadsskyddet för behandling av patienter med Duchennes muskeldystrofi som har bibehållen gångförmåga.

Effekten är osäker och därför ska företaget komma in med resultat från pågående kliniska studier. Subventionen av Translarna är tidsbegränsad till den 30 juni 2022. Detta för att en ny utvärdering av effekten ska göras när företaget skickat in resultat från pågående kliniska studier. TLV planerar även att utvärdera om den begränsade subventionen följs.

Varför prövar TLV Translarna?

Läkemedelsföretaget PTC Therapeutics som säljer Translarna i Sverige har ansökt om att Translarna ska ingå i läkemedelsförmånerna.

Vem kan överklaga ett beslut?

Enligt förvaltningslagen får ett beslut överklagas av den som beslutet angår, om det har gått honom eller henne emot.

Hur många patienter berörs?

Translarna är endast avsett för behandling Duchennes muskeldystrofi, som orsakas av en så kallad nonsensmutation i dystrofingenen (nmDMD). Det är ungefär 25 patienter i Sverige som har denna genförändring och cirka hälften av dessa patienter har bibehållen gångförmåga.

Vad behandlar Translarna?

Translarna som innehåller den aktiva substansen ataluren är avsett för behandling av Duchennes muskeldystrofi, som orsakas av en så kallad nonsensmutation i dystrofingenen (nmDMD), hos patienter med bibehållen gångförmåga som är två år och äldre. Duchennes muskeldystrofi karakteriseras av tilltagande muskelsvaghet och tidig förlust av gångförmågan. Patienterna får med tiden behov av rullstol och andningshjälp. Sjukdomen är svår och leder till för tidig död.

Vilka alternativa läkemedel finns det istället för Translarna?

Patienterna får idag vad man kallar för bästa tillgängliga vård vilket innebär behandling med så kallade kortikosteroider och annan stödjande symptomlindrande behandling.

Translarna är dyrare hur motiverar ni att använda det?

TLV bedömer att bästa tillgängliga vård är det mest relevanta jämförelsealternativet eftersom Translarna ska läggas till övrig vård. TLV bedömer att kostnaden av att behandla patienter med Duchennes muskeldystrofi som har bibehållen gångförmåga med Translarna i tillägg till övrig vård är rimlig.

TLV accepterar i detta fall en högre kostnad för Translarna än vad TLV vanligtvis gör vid tillstånd med mycket hög svårighetsgrad. I beslutet har TLV bland annat vägt in sjukdomens svårighetsgrad och antalet patienter samt behovet av nya behandlingar vid Duchennes muskeldystrofi.

Vad innebär det här för regionerna?

Trepartsöverläggningar har ägt rum mellan TLV, regionerna och företaget. Dessa överläggningar har resulterat i att regionerna och företaget enats om att teckna en sidoöverenskommelse som resulterar i att kostnaden för användning minskar. Sidoöverenskommelsen omfattar all försäljning av Translarna inom läkemedelsförmånerna från den 1 maj 2019.

Hur har TLV kvalitetssäkrat de bedömningar som ligger till grund för verkets beslut?

TLV har tidigare anlitat två kliniska experter som har svarat på frågor om Translarna och behandling av Duchennes muskeldystrofi.

Har patienterna varit delaktiga i beslutet?

TLV har tidigare träffat företrädare för Neuroförbundet och förbundet för Rörelsehindrade barn och ungdomar som har getts möjlighet att berätta om sjukdomen. I Nämnden för läkemedelsförmåner, som är de som fattar beslutet, ingår patientföreträdare från andra patientorganisationer.