

## SÖKANDE

Novartis Sverige AB

## BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket beslutar att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med den 18 oktober 2024 till i tabellen angivna priser. Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket fastställer de alternativa försäljningspriserna till samma belopp som AIP (apotekens inköpspris).

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)	AUP <sup>1</sup> (SEK)
Finlee	Dispergerbar tablett	10 mg	420 tabletter	530647	27 810,00	28 553,50
Spexotras	Pulver till oral lösning	0,05 mg/ml	98 ml	474547	3 529,00	3 665,48

<sup>1</sup> Apotekens utförsäljningspris

## ANSÖKAN

Novartis Sverige AB (företaget) har den 30 april 2024 ansökt om att de läkemedel som anges i tabellen på sidan 1 ska ingå i läkemedelsförmånerna.

Till stöd för sin ansökan har företaget kommit in med direkta och indirekta studier av relativ effekt av Finlee i kombination med Spexotras (Finlee och Spexotras). I företagets underlag ingår även en hälsoekonomisk analys av kostnader och effekter.

## SKÄLEN FÖR BESLUTET

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

- Företaget har visat att Finlee och Spexotras har en bättre effekt än de kliniskt relevanta, mest kostnadseffektiva jämförelsealternativen.
- Finlee och Spexotras har en högre behandlingskostnad än jämförelsealternativen men kostnaderna bedöms vara rimliga utifrån läkemedlets bättre effekt.
- Pediatriskt låggradigt gliom och höggradigt gliom är tillstånd med hög respektive mycket hög svårighetsgrad.
- Pediatriskt gliom är en sällsynt cancerform och behovet av nya effektiva behandlingar som kan minska behandlingsrelaterade skador och förbättra patienternas livskvalitet och livslängd är stort.
- Det finns skäl att acceptera en högre kostnad per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår (QALY) för behandling av patienter med höggradigt gliom.

Sammantaget bedömer TLV att kriterierna i 15 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. (nedan förmånslagen) är uppfyllda till det ansökta priset.

Tillämpliga bestämmelser framgår av bilagan till detta beslut.

### Läkemedlen Finlee i kombination med Spexotras

Läkemedlet Finlee är ett cancerläkemedel som innehåller den aktiva substansen dabrafenib. Dabrafenib hämmar RAF-kinaser i den så kallade MAPK-signalvägen. Finlee används tillsammans med ett annat cancerläkemedel, trametinib, för att behandla barn från 1 års ålder med gliom (en typ av hjärntumör) som har en specifik genmutation i BRAF-genen som kallas BRAF V600E. Finlee i kombination med trametinib kan användas till barn med låggradigt gliom som kräver systemisk behandling och höggradigt gliom när patienten har fått minst en tidigare strål- eller kemoterapibehandling.

Läkemedlet Spexotras är ett cancerläkemedel som innehåller den aktiva substansen trametinib. Trametinib hämmar MEK-proteiner i den så kallade MAPK-signalvägen och förhindrar tillväxt och celledning av cancerceller. Spexotras används tillsammans med dabrafenib, för att behandla barn från 1 års ålder med gliom som har BRAF V600E-mutation. Spexotras i kombination med dabrafenib kan användas till barn med låggradigt gliom som kräver systemisk behandling och höggradigt gliom när patienten har fått minst en tidigare

strål- eller kemoterapibehandling. Sålunda inhiberar trametinib och dabrafenib två kinaser i MAPK-signalvägen, MEK och RAF, och därför ger kombinationen samtidig hämning av signalvägen.

Test för att bekräfta eventuell närvaro av BRAF V600E-mutation genomförs rutinmässigt på barn med cancer. BRAF V600E-mutationen har identifierats i cirka 17 procent av pediatrika låggradigt gliom och cirka fem procent av pediatrik höggradigt gliom. Både Finlee och Spexotras är läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar (särsläkemedel).

### **Pediatrik låggradigt och höggradigt gliom är tillstånd med hög respektive mycket hög svårighetsgrad**

TLV bedömer svårighetsgraden för pediatrik låggradigt gliom på gruppnivå som hög och för pediatrik höggradigt gliom som mycket hög.

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 svårighetsgraden ska göras för den fas av det medicinska tillståndet där behandlingen förväntas ske. Bedömningen görs vidare baserat på den genomsnittliga personen som är drabbad av tillståndet och med utgångspunkten att denne står på standardbehandling enligt svensk klinisk praxis. Hänsyn tas till hur stor hälsoförlusten är över tid för personer som drabbas av ett visst tillstånd. Tillståndets varaktighet och risken att drabbas eller försämrans i framtiden vägs därför in. TLV bedömer svårighetsgraden för ett tillstånd på en fyrgradig skala från låg till mycket hög.

Gliom är ett samlingsnamn för den vanligaste typen av tumörer och utgör cirka hälften av alla tumörer i centrala nervsystemet (CNS) hos barn. Patientens prognos beror bland annat på om tumören är låg- eller höggradig och vilken undergrupp tumören tillhör.

Patienter med låggradigt gliom kan leva länge med sin sjukdom. Men tillståndet resulterar i livslång försämrad livskvalitet då dessa patienter ofta har multipla progressioner där nytillkomna symptom blir helt eller delvis bestående. Vidare kräver varje behandlingsperiod täta vårdkontakter vilket leder till frånvaro från socialt liv och skola. Behandlingsperioderna leder också till risk för behandlingsrelaterad sjukdomsörda som påverkar livslängden negativt senare i livet. Därtill ökad oro för patient och vårdnadshavare. Låggradiga tumörer som inte går att avlägsna med kirurgi eller som endast går att delvis avlägsna med kirurgi har en tendens till att progrediera och kan övergå till höggradigt gliom.

Höggradigt gliom är ett tillstånd som är progredierande, praktiskt taget saknar möjlighet till bot och leder till förkortad livslängd med kraftigt försämrad livskvalitet. Behandlingen är palliativ och syftar till att förlänga livet och minska symtombördan. Median överlevnad för patienter med höggradigt gliom är cirka 9 till 15 månader räknat från tiden för diagnos, och femårsöverlevnaden varierar mellan 10 och 35 procent.

TLV:s kliniska experter har uppgett att behovet av nya effektiva behandlingsmöjligheter är mycket stort för pediatrik låggradigt gliom och höggradigt gliom. För patienter med låggradigt gliom som har kvarstående symtom eller progredierar efter neurokirurgi kan en mer effektiv behandling minska behandlingsrelaterade komplikationer. Pediatrika patienter med höggradigt gliom saknar idag effektiv botande behandling och behovet av ny effektiv behandling är mycket stort för en förbättrad livskvalitet och livslängd.

### **Låggradigt respektive höggradigt gliom har inte samma jämförelsealternativ**

Val av behandling för gliom är individuellt och är beroende av symptom, tumörens lokalisation och genetisk profil. TLV anser, liksom företaget, att karboplatin i kombination med vinkristin utgör relevant jämförelsealternativ till Finlee och Spexotras för patienter med låggradigt gliom. För patienter med höggradigt gliom som inte tidigare behandlats med temozolomid bedömer TLV i likhet med företaget att temozolomid är relevant jämförelsealternativ. För patienter med höggradigt gliom som tidigare behandlats med temozolomid anser TLV, liksom företaget, att bästa understödjande behandling utgör relevant behandlingsalternativ till Finlee och Spexotras.

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. Ibland kan det vara motiverat att använda mer än ett jämförelsealternativ.

I Sverige finns inget nationellt vårdprogram för barnonkologisk tumörbehandling. Det finns dock ett väletablerat nationellt samarbete i så kallade vårdplaneringsgrupper där beslut tas om rekommendationer för bästa tillgängliga behandling för behandling av olika tumörtyper. Val av behandling av gliom är individuell och styrs av kliniska symptom, tumörens lokalisation och genetiska profil.

För patienter med låggradigt gliom är karboplatin i kombination med vinkristin relevant jämförelsealternativ till Finlee i kombination med Spexotras  
TLV konstaterar utifrån konsultation med kliniska experter att karboplatin i kombination med vinkristin är kliniskt relevant jämförelsealternativ i de fall en medicinsk behandling behövs för patienter med låggradigt gliom. Behandlingsregimen karboplatin och vinkristin har inte tidigare utvärderats av TLV. Då läkemedlen som ingår i behandlingsregimen finns tillgängliga som generika bedömer TLV att behandlingsregimen kan antas vara kostnadseffektiv.

För patienter med höggradigt gliom är temozolomid respektive bästa understödjande behandling relevanta jämförelsealternativ till Finlee i kombination med Spexotras  
Enligt TLV:s kliniska expert finns det ingen etablerad, effektiv systemisk behandling vid pediatrik höggradigt gliom. Av information från TLV:s experter framgår att val av systemisk behandling varierar och att det görs en individuell bedömning utifrån symptom och molekylärgenetiska förändringar hos tumören. I det fall medicinsk behandling behövs utgör temozolomid i kombination med Lomustine (CCNU) ett behandlingsval för barn över tre till

fyra år med höggradigt gliom. Lomustine är ett cytostatikum som har indikationen hjärntumörer (primär eller metastaserad). Behandling av pediatrik höggradigt gliom med Lomustine baseras på en klinisk fas II studie, ACNS0423. Enligt en av TLV:s kliniska experter finns det tillfällen då man behandlar med enbart temozolomid. Båda TLV:s kliniska experter uppger att testning för BRAF V600E-mutation sker rutinmässigt och att patienter som har påvisad BRAF V600E-mutation redan idag får målriktad behandling med dabrafenib i kombination med trametinib.

Barn under tre till fyra år med höggradigt gliom behandlas enligt TLV:s kliniska expert med olika kombinationer av cytostatika (bland annat metotrexat, vinkristin) enligt ett separat protokoll, det så kallade ”infantil”-protokollet. I den kliniska studien som det europeiska marknads godkännandet baseras på var medianålder för patienter med höggradigt gliom 13 år och endast ett fåtal barn med höggradigt gliom var under sex år varför endast enstaka patienter med höggradigt gliom förväntas få behandling enligt ”infantil”-protokollet.

Temozolomid finns som generika inom läkemedelsförmånerna och ingår i periodens varusystemet. Då temozolomid finns tillgänglig som generika bedömer TLV att den kan antas vara kostnadseffektiv. Lomustine har inte utvärderats av TLV och ingår inte i förmånssystemet. TLV kan därmed inte bedöma hur kostnadseffektiv temozolomid i kombination med Lomustine är.

För patienter som är refraktära mot och som återfaller på kemoterapi i första linjen är behandlingsalternativen väldigt begränsade, om inte målinriktad behandling kan användas, och består oftast av palliativ vård.

#### **Företaget har visat att Finlee i kombination med Spexotras har en bättre effekt än temozolomid samt karboplatin i kombination med vinkristin**

Enligt TLV har företaget visat att Finlee i kombination med Spexotras har en relativt bättre effekt än karboplatin och vinkristin hos patienter med pediatrik BRAF V600E-muterad låggradigt gliom. TLV bedömer också att företaget har visat att Finlee i kombination med Spexotras har en relativt bättre effekt än temozolomid hos patienter med pediatrik BRAF V600E-muterad höggradigt gliom.

Den relativa effekten av Finlee i kombination med Spexotras jämfört med relevant jämförelsealternativ (karboplatin och vinkristin) hos patienter med låggradigt gliom baseras på en direkt jämförande fas II-studie, TADPOLE. Resultaten från denna studie visar statistiskt signifikant bättre progressionsfri överlevnad med Finlee i kombination med Spexotras. Data för total överlevnad var omogna då endast en händelse inträffade i kemoterapiarmen.

Delen av TADPOLE som utvärderade effekten av Finlee i kombination med Spexotras hos patienter med höggradigt gliom var enkelarmad. Enkelarmade studier, innebär generellt större osäkerhet. Dock är pediatrik höggradigt gliom en ovanlig sjukdom med mycket dålig prognos med få behandlingsalternativ vilket innebär begränsade möjligheter till att utföra större randomiserade kontrollerade studier på denna patientpopulation. För att utvärdera den relativa effekten av Finlee i kombination med Spexotras med relevant jämförelsealternativ (temozolomid) för patienter med höggradigt gliom har företaget använt indirekta jämförelser. Med hänvisning till resultat från indirekta jämförelser anför företaget att Finlee och Spexotras har visat bättre effekt än temozolomid. TLV finner att det finns anledning att anta att Finlee och Spexotras har väsentlig effekt som är av klinisk relevans för patienter som idag saknar effektiv botande behandling. Resultaten från TADPOLE visar att

patienter med höggradigt gliom har betydligt längre överlevnad jämfört med vad som tidigare har rapporterats. Resultaten från den indirekta jämförelsen visar konsekvent statistiskt bättre effekt av Finlee och Spexotras jämfört med kemoterapi. Hur stor effektfördel Finlee och Spexotras har i förhållande till temozolomid är dock osäkert. Osäkerheten grundar sig att relativ effekt avseende höggradigt gliom utvärderats genom indirekta jämförelser. I aktuellt underlag baseras osäkerheterna främst på avsaknad av tillgång till relevanta studier, information om BRAF V600E-mutation, prognostiska faktorer samt om patienter som inkluderats i studierna tidigare antingen har behandlats med temozolomid eller inte. Även små patientgrupper bidrar till osäkerhet kring resultatet av de indirekta jämförelserna.

Företaget har inte kommit in med någon jämförelse för höggradigt gliom där effekten av Finlee i kombination med Spexotras jämförs med bästa understödande behandling. I den hälsoekonomiska analysen utgår företaget från antagandet att samtliga patienter som enbart får bästa understödande behandling har progredierat och har en progredierad överlevnad motsvarande behandling med Finlee och Spexotras i TADPOLE.

### **Kostnaderna för Finlee i kombination med Spexotras bedöms vara rimliga i förhållande till den nytta som behandlingen ger**

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 av Finlee och Spexotras bedöms vara bättre än karboplatin i kombination med vinkristin, temozolomid samt bästa understödande behandling baseras TLV:s hälsoekonomiska analys på en kostnadsnyttoanalys. I en kostnadsnyttoanalys ingår både kostnader och effekter där effekten ofta mäts i kvalitetsjusterade levnadsår, vilket i sig innefattar två dimensioner av hälsa: livskvalitet och livslängd.

Företagets hälsoekonomiska analys bygger på en individbaserad Markov-modell med två pediatrika patientkohorter: patienter med låggradigt gliom och patienter med höggradigt gliom. Sjukdomsförloppet modelleras med stöd av överlevnadskurvor.

För låggradigt gliom överstiger inte kostnaderna den nivå som TLV vanligtvis bedömer som rimlig vid tillstånd med hög svårighetsgrad. TLV:s analyser visar att kostnaden per vunnet QALY för patienter med låggradigt gliom inte överstiger den nivå TLV vanligtvis bedömer som rimlig vid tillstånd med hög svårighetsgrad.

För att uppskatta effekten av progressionsfri- och total överlevnad av Finlee och Spexotras utgår företaget från en direkt jämförande studie, TADPOLE, där Finlee och Spexotras jämförs mot karboplatin och vinkristin.

TLV bedömer att det råder hög osäkerhet vad gäller företagets antagande om total överlevnad för patienter med låggradigt gliom. Detta eftersom uppskattningen delvis baseras på litteratur. Även skattningen av progressionsfri överlevnad är förenad med hög osäkerhet. TLV har justerat företagets antaganden gällande progressionsfri och total överlevnad.

I företagets grundscenario för patienter med låggradigt gliom uppgår kostnaden per vunnet QALY till 443 708 kronor och livskvalitetsvinsten till 3,40 för behandling med Finlee och Spexotras jämfört med karboplatin och vinkristin.

I TLV:s grundscenario för låggradigt gliom blir kostnaden per vunnet QALY 737 393 kronor vid jämförelse mot karboplatin och vinkristin. För att undersöka osäkerheterna i analysen har TLV genomfört känslighetsanalyser. Känslighetsanalyserna illustrerar att antaganden om diskontering och stoppregel för Finlee och Spexotras har störst påverkan på kostnaden per vunnet QALY. Majoriteten av dessa visar att kostnaden per vunnet QALY inte överstiger den nivå TLV vanligtvis bedömer som rimlig vid tillstånd med hög svårighetsgrad.

Det finns skäl att acceptera högre kostnader för patienter med höggradigt gliom. Mot bakgrund av att det är en sjukdom med mycket hög svårighetsgrad, att det är fråga om få patienter som saknar alternativ sjukdomsmodifierande behandling samt med beaktande av läkemedlets effekt bedömer TLV, för denna patientgrupp, att det föreligger skäl att acceptera en högre kostnad än vad TLV vanligtvis gör.

TLV bedömer osäkerheten i den hälsoekonomiska analysen som hög. Det beror främst på osäkerheter gällande relativ överlevnad. I företagets grundscenario för gruppen patienter som inte tidigare behandlats med temozolomid uppgår kostnaden per vunnet QALY till 1,4 miljoner kronor och patienterna som behandlas med Finlee och Spexotras vinner 0,79 QALYs. För gruppen patienter som tidigare behandlats med temozolomid uppgår, enligt företaget, kostnaden per vunnet QALY till 1,2 miljoner kronor och QALY-vinsten till 1,14.

I TLV:s grundscenario för höggradigt gliom blir kostnaden per vunnet QALY 1 416 635 kronor vid jämförelse mot temozolomid och mot bästa understödjande behandling blir kostnaden per vunnet QALY 1 243 180 kronor. För att undersöka osäkerheten i analysen har TLV genomfört ett flertal känslighetsanalyser. Känslighetsanalyserna illustrerar att antaganden om vid vilken tidpunkt patienter avslutar behandlingen med Finlee och Spexotras har störst påverkan på resultatet. Majoriteten av TLV:s känslighetsanalyser visar ett resultat som ligger i nivå med den kostnad per vunnet QALY som TLV presenterar i sitt grundscenario för båda subgrupperna.

Kostnaden per vunnet QALY för Finlee och Spexotras jämfört med temozolomid uppgår till cirka 1,4 miljoner kronor och cirka 1,2 miljoner kronor jämfört med bästa understödjande behandling, vilket är högre än vad TLV vanligtvis accepterar för tillstånd med mycket hög svårighetsgrad.

Företaget har anfört att det finns skäl att acceptera en högre kostnad per vunnet QALY för användning av Finlee och Spexotras för patienter med höggradigt gliom än vad TLV vanligtvis gör.

TLV har i några tidigare ärenden accepterat en högre kostnad per vunnet QALY än vad TLV vanligtvis gör i förhållande till det aktuella tillståndets svårighetsgrad (se exempelvis TLV:s beslut i ärenden med dnr 1967/2015, 1082/2024 och 3046/2018). TLV har då konstaterat att

det under särskilda förutsättningar kan vara rimligt att ett medicinskt tillstånd sällsynthet motiverar en högre kostnad i förhållande till effekten och nyttan av läkemedlet samt att förutsättningarna är att det ska vara ett mycket svårt sjukdomstillstånd, mycket god behandlingseffekt och att det saknas andra kliniskt relevanta behandlingsalternativ - förutom att det rör sig om få patienter.

TLV konstaterar att höggradigt gliom är en sällsynt cancerform i Sverige som innebär kort överlevnad med påtaglig försämrad livskvalitet. TLV:s kliniska experter uppskattar att upp till fem nya patienter med höggradigt gliom per år kan vara aktuella för behandling med Finlee och Spexotras. Därtill uppskattar TLV:s kliniska experter vardera att upp till 10 respektive upp till 20 patienter med låggradigt gliom kan bli aktuella för behandling med Finlee och Spexotras. Totalt sett är det alltså få patienter per år som kan bli aktuella för behandling med Finlee och Spexotras. Idag utförs det rutinmässig testning för BRAF V600E-mutationer i Sverige för barn med cancer. Det rör sig således om ett fåtal patienter med höggradigt gliom och som ovan konstaterats är svårighetsgraden för höggradigt gliom mycket hög.

TLV finner således att det är fråga om ett mycket svårt sjukdomstillstånd med få patienter som är aktuella för behandling med Finlee och Spexotras.

Frågan är då om det kliniska underlag företaget gett in med tillräcklig styrka visar en sådan klinisk effekt som krävs för att acceptera en högre kostnad än vad TLV vanligtvis gör.

Indirekta jämförelser av studier innebär alltid en större osäkerhet. Det som talar för en klinisk effekt av tillräcklig styrka är att Finlee och Spexotras förlänger överlevnaden samt förbättrar livskvaliteten för patienter som saknar effektivt botande behandling. I den kliniska studien har patienter med Finlee och Spexotras betydligt längre överlevnad än vad som tidigare har rapporterats i litteraturen och de indirekta jämförelserna visar konsekvent statistiskt signifikant effektfördel för Finlee och Spexotras jämfört med relevant jämförelsealternativ. TLV anser att företaget har visat att den kliniska effekten är sådan som krävs för att TLV ska kunna acceptera en högre kostnad per vunnet QALY än vad myndigheten vanligtvis gör.

Även om TLV accepterar en högre kostnad per vunnet QALY än normalt får kostnaden inte vara hur hög som helst. Även den högre kostnaden måste vara rimlig. TLV:s grundscenario visar att kostnaden per vunnet QALY för Finlee och Spexotras jämfört med temozolomid är cirka 1,4 miljoner kronor och 1,2 miljoner kronor jämfört med bästa understödande vård. Pediatrik höggradigt gliom är en ovanlig sjukdom med mycket dålig prognos med få behandlingsalternativ. Det finns begränsade möjligheter till att utföra större randomiserade kontrollerade studier på denna patientpopulation. Mot bakgrund av sjukdomens svårighetsgrad, att det är fråga om få patienter som saknar alternativ sjukdomsmodifierande behandling samt med beaktande av läkemedlets visade effekt bedömer TLV att det finns skäl att acceptera den högre kostnaden per vunnet QALY.

Detta beslut har fattats av Nämnden för läkemedelsförmåner hos TLV. Följande ledamöter har deltagit i beslutet: Tidigare överintendenten Staffan Bengtsson (ordförande), docenten Gerd Lärffars, överläkaren Inge Eriksson, överläkaren Margareta Berglund Rödén, läkemedelschefen Maria Landgren, biträdande professorn Martin Henriksson, forskningsansvarige Monica Persson och professorn Sofia Källemark Sporrang. Ärendet har föredragits av hälsoekonomen Sonja Tähti. I den slutliga handläggningen har även medicinska utredaren Mirjana Poljakovic och juristen Mattias Ahlstedt medverkat.



Staffan Bengtsson

Sonja Tähti

## 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))

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)