

Biomarin International Limited

Ansökan om att Voxzogo ska ingå i läkemedelsförmånerna

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets beslut

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket beviljar ansökan om att läkemedlet nedan ska ingå i läkemedelsförmånerna. Läkemedlet ingår i läkemedelsförmånerna från och med den 1 november 2026 till de priser som anges i tabellen.

Namn	Form	Styrka	Förpackning	Varunummer	Inköpspris (AIP)	Försäljningspris (AUP)
Voxzogo	Pulver och vätska till injektionsvätska	0,4 mg	10 sprutor	483922	50 572,36	51 872,36
Voxzogo	Pulver och vätska till injektionsvätska	0,56 mg	10 sprutor	134083	50 572,36	51 872,36
Voxzogo	Pulver och vätska till injektionsvätska	1,2 mg	10 sprutor	377159	50 572,36	51 872,36

Upplysning

Detta beslut grundar sig på de förutsättningar som förelåg vid tidpunkten för beslutet. En sådan förutsättning är att läkemedlet omfattas av ett giltigt avtal (sidoöverenskommelse) med villkor som medför att den faktiska kostnaden för användning av läkemedlet motsvarar eller understiger den nivå som legat till grund för prövningen i detta beslut. Om dessa förutsättningar ändras kan Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) komma att ändra beslutet med stöd av 10 eller 13 §§ lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m.

Ärendet

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

Till stöd för sin ansökan har företaget kommit in med två pivotala studier och tillhörande uppföljningsstudier samt en indirekt jämförelse som tillsammans beskriver effekt och säkerhet av Voxzogo i tillägg till bästa understödjande vård (BUV) hos barn med akondroplasi i jämförelse med inget tillägg till BUV. Företaget har dessutom kommit in med en hälsoekonomisk analys i form av en kostnadsnyttoanalys som jämför Voxzogo i tillägg till BUV med inget tillägg till BUV.

Skälen för beslutet

TLV bedömer att ansökan ska beviljas av följande skäl:

- Företaget har visat att Voxzogo som tillägg till BUV har en bättre effekt än det kliniskt relevanta, mest kostnadseffektiva jämförelsealternativet som är inget tillägg till BUV.
- Voxzogo har en högre behandlingskostnad än relevant jämförelsealternativ. Kostnaderna för behandling av patienter med akondroplasi bedöms dock vara rimliga, med hänsyn tagen till den sidoöverenskommelse som tecknats mellan företaget och regionerna.
- TLV har vid denna bedömning utgått ifrån att patienter med akondroplasi har mycket hög svårighetsgrad.
- Läkemedlet uppfyller kriterierna för en högre accepterad kostnad än vad TLV vanligtvis godtar i förhållande till tillstånd med mycket hög svårighetsgrad.

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

Tillämpliga bestämmelser framgår av bilagan till detta beslut.

Läkemedlet Voxzogo

Läkemedlet Voxzogo innehåller den aktiva substansen vosoritid. Voxzogo är avsett för behandling av akondroplasi hos patienter i åldern 4 månader och äldre vars epifyser inte är slutna. Diagnosen akondroplasi ska bekräftas med lämpliga genetiska tester. Vosoritid är en modifierad analog av natriuretisk peptid av C typ. Hos patienter med akondroplasi är FGFR3-receptorn permanent aktiverad, vilket hämmar den normala bentillväxten och leder till att skelettet blir kortare än normalt. Vosoritid verkar genom att binda till natriuretisk peptidreceptor B (NPR-B), vilket motverkar den överaktiva FGFR3-signalerings. Därigenom stimuleras bentillväxten.

Akondroplasi är ett tillstånd med mycket hög svårighetsgrad

TLV bedömer att svårighetsgraden är mycket hög för det sjukdomstillstånd som ansökan avser, det vill säga akondroplasi som bekräftats med lämpliga tester. Bedömningen görs mot bakgrund av att akondroplasi är en kronisk livslång sjukdom med en hög och mycket långvarig påverkan på hälsorelaterad livskvalitet samt en viss förkortad förväntad återstående livslängd.

Riksdagen har beslutat om en etisk plattform med tre grundläggande etiska principer som ska ligga till grund för prioriteringar inom vården. Principerna är människovärdesprincipen, behovs- och solidaritetsprincipen och principen om kostnadseffektivitet (prop. 1996/97:60 s.18).

Behovs- och solidaritetsprincipen innebär att resurserna i första hand bör fördelas till de områden där behoven är störst (prop. 1996/97:60 s. 18).

Vid bedömningen av vad som är en rimlig kostnad för den hälsovinst patienten får av en behandling ska TLV därför beakta hur svårt hälsotillståndet är. Ju högre svårighetsgrad, desto högre kostnad i förhållande till hälsovinsten är det rimligt att betala för ett läkemedel (punkt 14 i de allmänna riktlinjerna om subvention och prissättning av läkemedel).

Bedömningen av svårighetsgraden ska göras på gruppnivå och utgå från det hälsotillstånd patientgruppen befinner sig i när behandlingen förväntas ske. Bedömningen ska utgå från att patientgruppen står på gängse behandling enligt svensk klinisk praxis, och ska beakta hur

sjukdomen hade utvecklats utan den nya behandlingen. Behandling med det nya läkemedlet ska inte vägas in i bedömningen (punkt 15 i de allmänna riktlinjerna).

Hälsotillståndets svårighetsgrad ska bedömas utifrån en fyrgradig skala, låg, medelhög, hög eller mycket hög. Hälsotillståndets påverkan på patienternas livslängd och den hälsorelaterade livskvaliteten avgör var på skalan som det aktuella hälsotillståndet placeras. Hur ofta symtomen förekommer (frekvens), hur länge sjukdomen varar (varaktighet) och risken att patienten försämras eller drabbas av en hälsoförlust i framtiden har också betydelse (punkt 17 i de allmänna riktlinjerna).

TLV konstaterar att akondroplasi är en kronisk sjukdom som ger patienterna ständiga fysiska och psykiska besvär av olika karaktär och med en hög påverkan på patientens hälsorelaterade livskvalitet. Patienterna har ofta nedsatt rörlighet och en återkommande smärtproblematik. Därtill rapporteras ryggtrötthet, känselbortfall, stickningar i benen, inkontinens, nedsatt hörsel och sömnsvärigheter som orsakas av nattliga svettningar och obstruktiv sömnapné. Patienterna kan även uppleva oro, ångest och depression. Det finns även en ökad dödlighet i alla åldersgrupper hos patienter med akondroplasi. TLV har i en tidigare utredning (dnr 1345/2023) bedömt att livslängden i genomsnitt är förkortad med cirka tio år vilket kan orsakas av påverkan på andningen och blodcirkulationen.

Vid bedömningen av ett tillståndets svårighetsgrad får TLV även beakta antalet förlorade kvalitetsjusterade levnadsår (QALY) (punkt 19 i de allmänna riktlinjerna). Akondroplasi är ett medfött tillstånd som påverkar individen under hela livet. Även om den förväntade överlevnaden i många fall är relativt lång medför tillståndet en varaktig nedsättning av livskvaliteten genom bland annat återkommande medicinska komplikationer, funktionsnedsättning och begränsningar i det dagliga livet. Den hälsorelaterade belastningen uppkommer tidigt och kvarstår under patientens livstid, vilket innebär att den samlade förlusten av hälsa över tid blir betydande. Mot denna bakgrund bedömer TLV att kvantitativa mått som fångar den ackumulerade förlusten av hälsa över patientens livstid är av särskild betydelse som komplement till de kvalitativa aspekterna vid svårighetsgradsbedömningen. Detta är särskilt relevant eftersom de huvudsakliga behandlingsvinsterna förväntas uppstå successivt under en lång tidsperiod, medan behandlingskostnaderna till stor del uppkommer i början av behandlingen. Till följd av diskontering får framtida hälsovinster ett relativt mindre genomslag i den hälsoekonomiska analysen än vad deras faktiska betydelse för patienterna över livstiden kan ge intryck av. Vid en samlad bedömning, där såväl tillståndets medicinska konsekvenser som den betydande förlusten av kvalitetsjusterade levnadsår beaktas, bedömer TLV att svårighetsgraden för akondroplasi är mycket hög.

Inget tillägg till bästa understödjande vård är relevant jämförelsealternativ till Voxzogo som tillägg till bästa understödjande vård

TLV bedömer, liksom företaget, att inget tillägg till bästa understödjande vård (BUV) är relevant jämförelsealternativ till Voxzogo som tillägg till BUV. I dagsläget saknas det andra godkända behandlingsalternativ för patienter med akondroplasi.

Ett läkemedel kan 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 (15 § förmånslagen).

Jämförelsealternativet ska vara kliniskt relevant, tillgängligt i Sverige och kunna antas vara kostnadseffektivt. Om det finns flera kostnadseffektiva jämförelsealternativ ska det mest kostnadseffektiva väljas (punkt 20 i de allmänna riktlinjerna).

Om det saknas jämförelsealternativ som är kliniskt relevant och som kan antas vara kostnadseffektivt ska jämförelsen göras mot alternativet att inte ge någon behandling alls eller ingen behandling utöver bästa understödjande vård (punkt 20 i de allmänna riktlinjerna).

Att jämförelsealternativet ska vara kliniskt relevant innebär att det används eller förväntas användas i en viss omfattning i klinisk praxis och är i överensstämmelse med vetenskap och beprövad erfarenhet. Vid bedömningen av användningens omfattning ska bland annat terapiområdets storlek, antalet behandlingsalternativ, användningen av respektive alternativ och hur länge behandlingsalternativet funnits på marknaden beaktas (punkt 21 de allmänna riktlinjerna).

Företaget har visat att Voxzogo som tillägg till BUV har en bättre effekt än inget tillägg till BUV

TLV bedömer, i likhet med EMA, att den kliniska effekten av vosoritid i tillägg till BUV vid behandling av akondroplasi är bättre än inget tillägg till BUV.

TLV bedömer att vosoritid i tillägg till BUV har bättre effekt än inget tillägg till BUV avseende årlig tillväxthastighet hos barn i åldern 5 till 17 år. Bedömningen baseras på data från den pivotala kliniska studien 111–301. Studien bedöms ha lämplig design, vara av god kvalitet och ha god överförbarhet till den avsedda patientgruppen och bedömningen är därmed förenad med låg osäkerhet.

Även för barn under fem år bedömer TLV att vosoritid i tillägg till BUV har bättre effekt än inget tillägg till BUV avseende årlig tillväxthastighet. Effekten av vosoritid på barn under fem år studerades i den ett år långa studien 111–206. Mot bakgrund av att det var ett lågt patientantal i placebogrupperna i studie 111–206 utgår företaget ifrån data från förlängningsstudien 111–208 och gör en indirekt jämförelse med publicerade naturalförloppsdata. TLV bedömer att det finns en hög osäkerhet kring effektstorleken hos patienter under fem år eftersom indirekta jämförelser alltid medför ett mått av osäkerhet kring de resultat som genereras.

Voxzogo uppfyller kriterierna för en högre accepterad kostnad än vad TLV vanligtvis accepterar i förhållande till tillstånd med mycket hög svårighetsgrad

Baserat på att akondroplasi är ett mycket sällsynt tillstånd med mycket hög svårighetsgrad och att Voxzogo har en kliniskt relevant patientnytta bedömer TLV att kriterierna är uppfyllda för att acceptera en högre kostnad för Voxzogo.

TLV ska under vissa förutsättningar acceptera en högre kostnad i förhållande till hälsovinsten för ett läkemedel för mycket sällsynta hälsotillstånd, jämfört med ett läkemedel för mer vanliga men lika svåra hälsotillstånd. För att TLV ska acceptera en högre kostnad ska hälsotillståndet vara mycket sällsynt och ha en mycket hög svårighetsgrad och läkemedlet ska ge en kliniskt relevant hälsovinster. Om dessa kriterier är uppfyllda är det två faktorer som avgör hur hög kostnad TLV kan acceptera: graden av sällsynthet och graden av osäkerhet i den hälsoekonomiska utvärderingen (avsnitt 3.5.1 i de allmänna riktlinjerna).

I bedömningen av hälsotillståndets sällsynthet ska TLV utgå från antalet patienter som under ett år har hälsotillståndet (prevalens) och hur många nya patienter som tillkommer varje år (incidens). Vid bedömningen av hur hög kostnad som kan accepteras ska incidensen ha större betydelse än prevalensen (punkt 40 i de allmänna riktlinjerna).

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 (avsnitt 3.5.1. i de allmänna riktlinjerna).

Bedömningen ska som huvudregel utgå från den patientgrupp som motsvarar läkemedlets samtliga godkända indikationer (punkt 44 i de allmänna riktlinjerna).

Om det finns särskilda skäl får bedömningen avgränsas till en mindre patientgrupp. Särskilda skäl kan vara att det bara är en mindre del av patientgruppen inom indikationen som, till exempel av medicinska skäl, är aktuella för behandling. Det kan i vissa fall även vara aktuellt att beakta en större patientgrupp, till exempel om det finns skäl att tro att läkemedlet kommer att användas för behandling utanför godkänd indikation (punkt 44 i de allmänna riktlinjerna).

Företaget uppgav initialt att maximalt 77 patienter kan vara aktuella för behandling med Voxzogo. Under utredningens gång har företaget kommit in med en lägre siffra (max 50) baserat på att en andel av patienterna ingår i kliniska prövningar med andra läkemedelskandidater och därmed inte är aktuella för behandling med Voxzogo. TLV bedömer att det saknas skäl att undanta patienter som deltar i kliniska studier och utgår ifrån total incidens och prevalens. TLV har därmed utgått ifrån incidensen 5 baserat på uppgifter från Socialstyrelsen och prevalensen 80 som beräknats utifrån incidensen och den genomsnittliga behandlingens längden om 16 år. Detta ger ett sällsynthetsindex på 47. TLV bedömer vidare att akondroplasi har en mycket hög svårighetsgrad (se ovan) samt att Voxzogo bedöms ge en kliniskt relevant hälsovinst eftersom läkemedlet ökar längdtillväxten, vilket i sin tur minskar riskerna för att utveckla komplikationer som kan leda till för tidig död och försämrad livskvalitet.

De högre kostnaderna för Voxzogo bedöms vara rimliga i förhållande till den nytta som behandlingen ger

Utifrån graden av sällsynthet och identifierade osäkerheter i den hälsoekonomiska analysen bedömer TLV att de högre kostnaderna för Voxzogo är rimliga för akondroplasipatienter i förhållande till den nytta som behandlingen ger.

Med kostnadseffektivitetsprincipen menas att vid val mellan olika verksamhetsområden eller åtgärder bör en rimlig relation mellan kostnader och effekt, mätt i förbättrad hälsa och förhöjd livskvalitet, eftersträvas (prop. 1996/97:60 s. 18).

Mot bakgrund av att den kliniska effekten bedöms vara bättre för Voxzogo i tillägg till BUV än för inget tillägg till BUV, baseras TLV:s hälsoekonomiska utvärdering 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. Företaget har kommit in med en kostnadsnyttoanalys i form av en Markovmodell.

Företagets modell utgörs av en singel kohortmodell med två hälsotillstånd, levande och död där komplikationer kan uppstå inom en modelleykel. TLV bedömer att företagets analys kan användas som grund för den hälsoekonomiska bedömningen för behandling av patienter med akondroplasi, jämfört med inget tillägg till BUV.

Identifierade osäkerheter

TLV bedömer att osäkerheten i det hälsoekonomiska underlaget är hög vilket påverkar den hälsoekonomiska analysen. Trots TLV:s justeringar av företagets antaganden kvarstår stor osäkerhet i den hälsoekonomiska analysen.

TLV anser att behandlingseffekten av Voxzogo hos patienter under fem år är förknippad med hög osäkerhet då företagets antagande baseras på en indirekt jämförelse. Trots denna osäkerhet bedömer TLV att företagets antagande är mest rimligt att utgå från. Detta då den kliniska studien för barn under fem år inkluderade ett lågt antal patienter medan den indirekta jämförelsen baseras på ett större patientunderlag. Därtill saknas det andra relevanta datakällor. TLV konstaterar även att det saknas tillgänglig information om den slutliga vuxenlängd som behandling med Voxzogo leder till eftersom ingen patient har behandlats med Voxzogo från fyra månaders ålder fram till dess att epifyserna stängts vid 16 års ålder.

TLV anser att det finns osäkerheter i företagets val av avbrottsfrekvens. TLV delar företagets antagande att patienter i hög utsträckning står kvar på behandling baserat på data från klinisk praxis (real world evidence). Samtidigt konstaterar TLV att avhopp förekommer i samtliga kliniska studier för Voxzogo. TLV justerar därför avbrottsfrekvensen utifrån uppföljningsstudien av den pivotala studien, som inkluderar samma patientpopulation som effekten för barn 5 till 17 år baseras på. Detta medför en något högre årlig avbrottsfrekvens än vad företaget antar, vilket leder till att färre patienter står kvar på behandling över tid och därmed något lägre läkemedelskostnader och livskvalitetsvinst.

Företaget modellerar risken för akuta komplikationer och mortalitet baserat på patientens längdtillväxt. TLV anser att det är osäkert i vilken utsträckning den ökade längdtillväxten vid behandling med Voxzogo kan leda till en minskad risk för akuta komplikationer och död, eftersom det saknas långtidsdata. Vidare uppger TLV:s kliniska expert att en ökad längdtillväxt avspeglar en förbättrad skelettutveckling i hela kroppen, vilket kan minska risken för komplikationer och död. TLV konstaterar att inkludera akuta komplikationer endast har en marginell påverkan på resultatet. TLV inkluderar därför akuta komplikationer och mortalitet i den hälsoekonomiska analysen.

Företaget antar att livskvaliteten är relaterad till patienters längd, där en kortare längd är förknippad med en lägre livskvalitetsvikt och livskvaliteten ökar exponentiellt med ökad längd. Sambandet har estimerats och extrapolerats med en regressionsmodell baserad på data från vuxna personer som inte har diagnosen akondroplasi från Christensen et al. 2007. TLV bedömer att företagets tillvägagångssätt leder till orimligt låga livskvalitetsvikter som inte stämmer överens med data som rapporterats för patienter med akondroplasi (Yonko et al. 2021 och Maghnie et al. 2023). Företaget har under utredningen även redovisat en scenarioanalys med en alternativ regressionsmodell baserad på delar av samma data från Christensen et al. 2007. Denna ger en högre genomsnittlig livskvalitetsvikt men som fortfarande är lägre än de patientrapporterade skattningarna. TLV utesluter inte att enskilda patienter kan ha en livskvalitet i nivå med företagets uppskattningar men bedömer att livskvaliteten riskerar att underskattas för en genomsnittlig patient som behandlas med BUV. TLV konstaterar att det kvarstår osäkerhet oavsett vilken regressionsmodell som används,

eftersom samtliga modeller baseras på data från personer utan akondroplasi. Mot denna bakgrund justerar TLV livskvalitetsvikterna i analysen så att de bättre överensstämmer med observerade data i patientpopulationen (Yonko et al. 2021 och Maghnie et al. 2023).

Företaget antar att patienter som når en längd om 150 cm får en permanent livskvalitetsvinst om 0,1 i den hälsoekonomiska analysen. Enligt TLV:s anlitade kliniska expert motsvarar 150 cm en kliniskt betydelsefull längd eftersom många vardagsaktiviteter är utformade för personer som är 150 cm eller längre. TLV anser därför att det är rimligt att inkludera en permanent livskvalitetsvinst när en patient uppnår denna längd. Det är dock osäkert hur stor denna livskvalitetsvinst är eftersom det saknas evidens till stöd för värdet 0,1.

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

När TLV tar fram ett grundscenario utgår det från företagets hälsoekonomiska analys men där en eller flera parametrar vid behov justeras för att spegla den användning av läkemedlet som TLV bedömer är mest representativ i svensk klinisk praxis efter ett eventuellt införande.

I företagets grundscenario uppgår kostnaden per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår till cirka 2 miljoner kronor för behandling med Voxzogo i tillägg till BUV jämfört med jämförelsealternativet.

TLV har med stöd av 9 § förmånslagen haft överläggning med företaget och regionerna (trepartsöverläggning). Trepartsöverläggningen har resulterat i en sidoöverenskommelse mellan företaget och regionerna. Sidoöverenskommelsen omfattar all försäljning av Voxzogo inom läkemedelsförmånerna från den 1 november 2026. Genom sidoöverenskommelsen åtar sig företaget att betala en del av kostnaden för användningen av Voxzogo till regionerna. Underlag till sidoöverenskommelsen har tillförts detta ärende.

TLV kan konstatera att sidoöverenskommelsen som träffats avseende Voxzogo innebär att kostnaden för användningen av Voxzogo inom läkemedelsförmånerna minskar. I TLV:s grundscenario, med hänsyn tagen till innehållet i sidoöverenskommelsen för Voxzogo, bedömer TLV att kostnaden per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår för Voxzogo i tillägg till BUV jämfört med inget tillägg till BUV, är cirka 2 miljoner kronor.

Resultaten från känslighetsanalyserna 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.

Voxzogo ingår i läkemedelsförmånerna från och med 1 november 2026

Sidoöverenskommelsen mellan regionerna och företaget börjar gälla den 1 november 2026 och TLV anser därför att Voxzogo ska ingå i läkemedelsförmånerna från samma datum och till de priser som anges i tabellen på sid 1.

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, professorn Mats Bergman, forskningsansvariga Monica Persson och professorn Sofia Källemark Sporrong. Ärendet har föredragits av hälsoekonomen Magdalena Sterky. I den slutliga handläggningen har även enhetschefen

Martin Moberg, medicinska utredaren Åsa Kallas och juristen Sofia Palmqvist medverkat medverkat.

Staffan Bengtsson

Magdalena Sterky

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]).

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).

Sekretess gäller, i den utsträckning regeringen meddelar föreskrifter om det, i en statlig myndighets verksamhet som består i utredning, planering, prisreglering, tillståndsgivning, tillsyn eller stödverksamhet med avseende på produktion, handel, transportverksamhet eller näringslivet i övrigt

1. för uppgift om en enskilds affärs- eller driftförhållanden, uppfinningar eller forskningsresultat, om det kan antas att den enskilde lider skada om uppgiften röjs, och
2. för uppgift om andra ekonomiska eller personliga förhållanden än som avses i 1 för den som har trätt i affärsförbindelse eller liknande förbindelse med den som är föremål för myndighetens verksamhet. (30 kap. 23 § första stycket offentlighets- och sekretesslagen [2009:400], OSL).

Sekretess hindrar inte att en enskild eller en myndighet som är part i ett mål eller ärende hos domstol eller annan myndighet och som på grund av sin partsställning har rätt till insyn i handläggningen, tar del av en handling eller annat material i målet eller ärendet. En sådan handling eller ett sådant material får dock inte lämnas ut till parten i den utsträckning det av hänsyn till allmänt eller enskilt intresse är av synnerlig vikt att sekretessbelagd uppgift i materialet inte röjs. I sådana fall ska myndigheten på annat sätt lämna parten upplysning om vad materialet innehåller i den utsträckning det behövs för att parten ska kunna ta till vara sin rätt och det kan ske utan allvarlig skada för det intresse som sekretessen ska skydda (10 kap. 3 § första stycket OSL).