

SÖKANDE

Roche AB
Box 1228
171 23 Solna

SAKEN

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket beslutar att nedanstående läkemedel från och med den 1 juni 2022 ska ingå i läkemedelsförmånerna för ytterligare användningsområde till oförändrat pris och därmed med generell subvention.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Hemlibra	Injektionsvätska, lösning	30 mg/ml	Injektionsflaska, 1 x 1 ml	523913	23 930,68	24 455,54
Hemlibra	Injektionsvätska, lösning	150 mg/ml	Injektionsflaska, 1 x 0,4 ml	097982	47 871,79	48 875,48
Hemlibra	Injektionsvätska, lösning	150 mg/ml	Injektionsflaska, 1 x 0,7 ml	566403	83 767,81	84 814,06
Hemlibra	Injektionsvätska, lösning	150 mg/ml	Injektionsflaska, 1 x 1 ml	589578	119 674,26	120 720,51

126/2022

ANSÖKAN M.M.

Hemlibra ingår sedan september 2018 i läkemedelsförmånen med begränsad subvention. Begränsningen omfattar behandling av *patienter vars inhibitorutveckling inte hävts genom upprepad induktion av immuntoleransbehandling (ITI)* (dnr 1157/2018).

Företaget har nu ansökt om att Hemlibra ska subventioneras för resterande del av läkemedlets godkända indikation, det vill säga patienter med svår hemofili A utan inhibitorer, patienter med hemofili A och inhibitorer som inte har behandlats med ITI-behandling och patienter med hemofili A och inhibitorer vilka har hävts genom ITI-behandling. Företaget ansöker därmed om att Hemlibra ska erhålla generell subvention till oförändrat pris.

UTREDNING I ÄRENDET

Hemlibra innehåller den aktiva substansen emicizumab och är avsett som förebyggande behandling av blödningsepisoder hos patienter med hemofili A med inhiberande antikroppar mot faktor VIII och patienter med svår hemofili A utan inhiberande antikroppar mot faktor VIII. Hemlibra kan användas av alla åldersgrupper.

Hemofili (blödarsjuka) är en sällsynt och allvarlig sjukdom som orsakas av brist på koagulationsfaktorer. Karaktäristiskt för blödarsjuka är en benägenhet till långvariga blödningar, vilka kan uppträda till synes spontant eller efter minimal skada. Blödarsjuka behandlas genom att tillföra den saknade koagulationsfaktorn vilken vid hemofili A är faktor VIII. Genetiska och icke-genetiska faktorer kan dock ge upphov till antikroppar (inhibitorer) mot det tillförda faktorkoncentratet. Antikropparna binder till faktorkoncentratet och hämmar dess effekt. Inhibitorer utvecklas hos ungefär 30 procent av patienterna med hemofili A och är mindre vanligt hos patienter med mild hemofili. Vid utveckling av antikroppar ges hög dos faktor VIII-koncentrat (så kallad ITI-behandling) för att häva antikropparna.

Hemlibra ersätter funktionen av aktiverad faktor VIII vid brist på denna, för att ge effektiv hemostas. Den rekommenderade dosen är 3 mg per kg kroppsvikt en gång per vecka under de första fyra veckorna (laddningsdos), följt av underhållsdosering med antingen 1,5 mg per kg en gång per vecka, 3 mg per kg varannan vecka eller 6 mg per kg var fjärde vecka. Hemlibra administreras som en subkutan injektion.

Företaget har angett att profylaktisk behandling med faktor VIII-koncentrat är relevant jämförelsealternativ för patienter med svår hemofili A samt att ITI-behandling följt av profylaktisk behandling med faktor VIII-koncentrat är relevant jämförelsealternativ för patienter med hemofili A och inhibitorutveckling.

Företaget har kommit in med en indirekt jämförelse i form av en nätverksmetaanalys i vilken profylaktisk behandling med olika faktor VIII-koncentrat jämförs med profylaktisk behandling med Hemlibra. Företaget uppger att denna indirekta jämförelse och studieresultaten från HAVEN-3 ger tillräckligt stöd för att hävda att profylaktisk behandling med Hemlibra inte är sämre än profylaktisk behandling med faktor VIII-koncentrat.

Företagets ansökta pris är detsamma som det pris TLV redan har fastställt. Hemlibra finns i två styrkor, 30 mg/ml och 150 mg/ml och dosen är beroende av kroppsvikt. Läkemedelskostnaden för Hemlibra för ett barn som väger 30 kg uppgår till cirka 2,2 miljoner kronor (AUP) per år, beräknat på ett genomsnitt av de tre intervallen för underhållsbehandling

126/2022

enligt produktresumén. Motsvarande läkemedelskostnad för en vuxen patient som väger 70 kg uppgår till cirka 4,4 miljoner kronor (AUP) per år.

Företaget har två urskiljbara patientgrupper i sitt underlag; patienter med svår hemofili A utan inhibitorer och patienter med hemofili A och inhibitorer som går att häva med hjälp av ITI. För patientgruppen med svår hemofili A utan inhibitorer har företaget kommit in med en kostnadsminimeringsanalys mellan Hemlibra och profylaktisk behandling baserad på genomsnittliga årskostnader. För patientgruppen med hemofili A och inhibitorer som går att häva med hjälp av ITI har företaget kommit in med åtta kostnadsminimeringsanalyser med livstidshorisont, vilka skiljer sig åt i antaganden om vikt, ålder för insättning av behandling och ITI-behandlingens varaktighet.

Inom ramen för möjligheten till överläggning, som ges i lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. (nedan förmånslagen), har TLV haft trepartsöverläggningar med företaget och regionerna. Trepartsöverläggningarna har resulterat i en sidoöverenskommelse mellan företaget och regionerna. Sidoöverenskommelsen omfattar all försäljning av Hemlibra inom läkemedelsförmånerna från den 1 juni 2022. Genom sidoöverenskommelsen åtar sig företaget att betala en del av kostnaden för användningen av Hemlibra till regionerna. Underlag till sidoöverenskommelsen har tillförts detta ärende och utgör därmed en del av beslutsunderlaget.

SKÄLEN FÖR BESLUTET

Tillämpliga bestämmelser m.m.

Enligt 8 § första stycket lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. (nedan förmånslagen) får den som marknadsför ett läkemedel eller en vara som avses i 18 § samma lag 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.

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

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

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

126/2022

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

Om det finns särskilda skäl får Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket enligt 11 § förmånslagen 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.

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

TLV gör följande bedömning

TLV instämmer i företagets bedömning att faktor VIII-koncentrat är kliniskt relevanta jämförelsealternativ. Samtliga kliniskt relevanta faktor VIII-koncentrat inom läkemedelsförmånerna har sidoöverenskommelser, vilket gör att kostnaden för användning av dem minskar. Den avtalade återbäringsnivån i sidoöverenskommelserna omfattas av sekretess. Det finns därmed ingen offentlig information om den faktiska kostnaden för användning efter återbärning. TLV bedömer därför att relevant jämförelsealternativ för Hemlibra är ingen behandling för de utvärderade patientgrupperna.

Baserat på den indirekta jämförelsen och studieresultaten från HAVEN-3 bedömer TLV att effekten av Hemlibra som profylaktisk behandling är åtminstone jämförbar med effekten av profylaktisk behandling med faktor VIII-koncentrat.

TLV har i en tidigare omprövning (dnr 123/2020) bedömt att en rimlig kostnad för användning av faktor VIII-koncentrat motsvarar en maximal läkemedelskostnad per patient (70 kg) och år på cirka 1 301 000 kronor vid profylaktisk behandling i jämförelse mot ingen behandling. TLV finner inte skäl att frångå denna bedömning. Mot bakgrund av att TLV utgår från att Hemlibra har jämförbar effekt med faktor VIII-koncentrat bedömer TLV att samma maximala läkemedelskostnad ska utgöra grund för bedömningen av om kostnaden för användning av Hemlibra är rimlig.

TLV bedömer att en kostnadsminimeringsanalys mellan Hemlibra och ingen behandling baserad på ett genomsnitt mellan den antagna behandlingens kostnaden de två första åren är en rimlig metod för att utvärdera om kostnaden för Hemlibra för de ansökta patientgrupperna är rimlig. Med beaktande av innehållet i sidoöverenskommelsen bedömer TLV att analysen är en rimlig metod för att utvärdera både patientgruppen med svår hemofili A utan inhibitorer och patientgruppen med hemofili A med inhibitorer som går att häva med hjälp av ITI. Utgångspunkten för analysen är den vikt (70 kg) som har använts i tidigare omprövningar.

TLV kan konstatera att sidoöverenskommelsen som träffats avseende Hemlibra innebär att kostnaden för användning av Hemlibra inom läkemedelsförmånerna minskar.

TLV:s kostnadsjämförelse visar att den maximala läkemedelskostnaden per patient (70 kg) och år för Hemlibra, med hänsyn tagen till innehållet i sidoöverenskommelsen, understiger den maximala läkemedelskostnad per patient (70) kg och år som TLV tidigare bedömt är rimlig för faktor VIII-koncentrat vid profylaktisk behandling i jämförelse mot ingen behandling.

126/2022

Sammantaget bedömer TLV att kostnaderna för användning av Hemlibra för de ansökta patientgrupperna är rimliga och att kriterierna i 15 § förmånslagen även i övrigt är uppfyllda. Ansökan ska därför bifallas.

Hemlibra ingår sedan tidigare i läkemedelsförmånerna med begränsad subvention till patienter vars inhibitorutveckling inte hävts genom upprepad induktion av immuntoleransbehandling (ITI) (dnr 1157/2018). Genom det nu aktuella beslutet beviljas Hemlibra subvention för resterande delar av sin godkända indikation. Det föreligger därmed inte längre skäl att förena Hemlibras subvention med begränsningar och villkor i enlighet med 11 § förmånslagen. Hemlibra ska därmed ingå i läkemedelsförmånerna med generell subvention.

Sidoöverenskommelsen mellan regionerna och företaget börjar gälla den 1 juni 2022, varför TLV finner att beslutet ska börja gälla först den 1 juni 2022.

Se nedan hur man överklagar.

Detta beslut har fattats av Nämnden för läkemedelsförmåner hos TLV. Följande ledamöter har deltagit i beslutet: tidigare överintendenten Staffan Bengtsson (ordförande), överläkaren Margareta Berglund Rödén, förbundsordföranden Elisabeth Wallenius, överläkaren Inge Eriksson, universitetslektorn Martin Henriksson, docenten Gerd Lärfars och läkemedelschefen Maria Landgren. Ärendet har föredragits av medicinska utredaren Cecilia Olven. I den slutliga handläggningen har även hälsoekonom Andreas Böhlin och senior jurist Elin Borg deltagit.

Staffan Bengtsson

Cecilia Olven

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.