

## SÖKANDE

Roche AB

## BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket beslutar att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med den 1 februari 2025 till i tabellen angivna priser. Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket fastställer det alternativa försäljningspriset till samma belopp som AIP (apotekets inköpspris). Beslutet gäller med förmånsbegränsning och villkor enligt nedan.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)	AUP <sup>1</sup> (SEK)
Evrysdi	Pulver till oral lösning	0,75 mg/ml	1 st flaska 80 ml	573248	84 880,76	86 180,76

## Förmånsbegränsning

Subventioneras endast för behandling av 5q spinal muskelatrofi (SMA) hos patienter med SMA typ 1, typ 2 eller typ 3.

## Villkor

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

<sup>1</sup> Apotekens utförsäljningspris

## ANSÖKAN

Roche AB (företaget) har den 2 maj 2024 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 behandling av 5q spinal muskelatrofi (SMA) hos patienter med SMA typ 1, typ 2 eller typ 3.

Till stöd för sin ansökan har företaget lämnat in kliniska studier för att påvisa den kliniska effekten av Evrysdi. Företaget har även kommit in med ett hälsoekonomiskt underlag för att utvärdera kostnader och effekter kopplade till läkemedlet.

## SKÄLEN FÖR BESLUTET

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

- Företaget har visat att Evrysdi har en bättre effekt än det relevanta jämförelsealternativet ”inget tillägg till bästa understödjande vård”.
- Evrysdi har en högre behandlingskostnad än jämförelsealternativet men kostnaderna bedöms vara rimliga utifrån läkemedlets bättre effekt.
- TLV bedömer att patienter med SMA typ 1 ska inkluderas i ett beslut för patienter med SMA typ 2 och 3 med hänsyn till behovs- och solidaritetsprincipen.
- TLV har vid denna bedömning utgått ifrån att svårighetsgraden för SMA typ 1 och SMA typ 2 är mycket hög och att svårighetsgraden för SMA typ 3 är hög.

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 Evrysdi

Läkemedlet Evrysdi innehåller den aktiva substansen risdiplam. Evrysdi är en sjukdomsmodifierande behandling som är avsedd för behandling av spinal muskelatrofi hos patienter med en klinisk diagnos av SMA typ 1, typ 2 eller typ 3 eller med en till fyra SMN2-kopior. Beredningsformen är pulver till oral lösning, vilket gör att läkemedlet kan tas i hemmet.

Den aktiva substansen i Evrysdi, risdiplam, är en liten molekyl som gör att SMN2-genen kan producera ett fullängdsprotein med normal funktion. Detta förväntas öka överlevnaden hos motorneuroner och därigenom minska de aktuella symtomen på sjukdomen och sakta ner dess progression.

**Spinal muskelatrofi är ett tillstånd med hög respektive mycket hög svårighetsgrad**

TLV bedömer att svårighetsgraden för SMA typ 1, typ 2 och tidigt debuterande typ 3 är mycket hög. Svårighetsgraden för SMA typ 3 bedöms dock vara hög. Bedömningen grundar sig på att SMA typ 1 och typ 2 medför en mycket stor risk för allvarlig skada, för tidig död och betydande invaliditet. Sjukdomen är obotlig, kronisk och gradvis ökande (progredierande). Obehandlade patienter med SMA typ 1 förväntas inte överleva de första levnadsåren och får därför anses vara särskilt svårt sjuka. För SMA typ 3 finns däremot en stor variation i sjukdomsbild, där symtomen kan vara hanterbara och sjukdomsprogressionen långsam (medelhög svårighetsgrad) eller likna symtomen vid SMA typ 2 (mycket hög svårighetsgrad). Sjukdomssymtomen hos barn med SMA typ 2 och tidigt debuterande SMA typ 3 liknar varandra, därav mycket hög svårighetsgrad. Även om livslängden för patienter med SMA typ 3 är densamma som för normalbefolkningen, förlorar patienter som insjuknar tidigt många levnadsår under en livstid, i synnerhet efter förlust av gångförmågan.

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 också till hur stor hälsoförlusten är över tid för personer som drabbas av ett visst tillstånd. Tillståndets varaktighet och risken att drabbas eller försämrats i framtiden vägs därför in. TLV bedömer svårighetsgraden för ett tillstånd på en fyrgradig skala från låg till mycket hög.

**Inget tillägg till bästa understödjande vård är relevant jämförelsealternativ till Evrysdi**

TLV bedömer att inget tillägg till bästa understödjande vård är relevant jämförelsealternativ till Evrysdi för samtliga patientgrupper som företagets ansökan omfattar. Detta eftersom det saknas kliniskt relevanta behandlingsalternativ som kan antas vara kostnadseffektiva för den aktuella patientpopulationen.

Företaget har anfört att Evrysdi till avtalat pris utgör relevant jämförelsealternativ för patienter som idag behandlas med Evrysdi i enlighet med NT-rådets rekommendationer, vilket omfattar patienter med SMA typ 1 samt patienter med SMA typ 2 eller 3 födda år 2000 eller senare. Företaget framför att de kliniskt relevanta behandlingsalternativen för dessa patienter är Evrysdi på rekvisition eller Spinraza och av de alternativen bör Evrysdi användas i första hand, enligt NT-rådets rekommendation. Härtill anför företaget att Evrysdi har bedömts som ett kostnadseffektivt alternativ av sjukvården. För patienter med SMA typ 2 och typ 3 födda innan år 2000 menar företaget att inget tillägg till bästa understödjande vård är relevant jämförelsealternativ. Företaget har under handläggningen av ärendet kommit in med ett hälsoekonomiskt underlag för Evrysdi i jämförelse med bästa understödjande vård för patienter med SMA typ 1.

Läkemedelsförmånssystemet bygger på en värdebaserad prissättning som utgår från en beräkning av kostnader och hälsoeffekter vid användning av läkemedlet. Sådan beräkning av

ett läkemedels kostnadseffektivitet förutsätter en jämförelse med en alternativ behandling. En behandling kan inte vara kostnadseffektiv i sig självt utan är det alltid i relation till ett jämförelsealternativ. Av 15 § förmånslagen framgår att en bedömning av ett läkemedels ändamålsenlighet ska göras i relation till andra tillgängliga läkemedel eller behandlingsmetoder. Evrysdi till avtalet pris utgör inget annat läkemedel utan är exakt samma läkemedel som företaget ansöker om ska ingå i läkemedelsförmånen. Redan av den anledning bedömer TLV att Evrysdi inte kan utgöra ett relevant jämförelsealternativ. Därtill kommer att beräkningarna görs utifrån ett bestämt pris som i sig måste kunna antas vara rimligt enligt kriterierna i 15 § förmånslagen. Om priset för jämförelsealternativet inte kan antas var rimligt sätts det värdebaserade systemet ur spel. Även om en jämförelse av Evrysdi mot Evrysdi till upphandlat pris, skulle godtas är det förhållandet att Evrysdi till upphandlat pris används i sjukvården inte tillräckligt för att anta att det är kostnadseffektivt (Se Kammarrätten i Stockholm 7618-23). Företaget har inte anfört några omständigheter i övrigt som gör att det kan antas att Evrysdi är kostnadseffektivt till upphandlat pris.

Vad gäller Spinraza anser TLV att det utgör ett kliniskt relevant behandlingsalternativ till Evrysdi för de patientgrupper som rekommenderas Spinraza av NT-rådet. I TLV:s hälsoekonomiska bedömning av Spinraza (dnr 3752/2022) bedömde TLV att flera av företagets parametrar och antaganden var förknippade med så pass stora osäkerheter att det inte gick att ta fram tillförlitliga analyser. De resultat som togs fram, om än väldigt osäkra, visade på en hög kostnad per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår oavsett läkemedelskostnad. TLV har dessutom inte kännedom om det avtalade priset för Spinraza. Härtill är ett upphandlat pris i sjukvården i sig inte tillräckligt för att kunna anta att ett läkemedels pris är rimligt enligt kriterierna i 15 § förmånslagen. Sammantaget konstaterar TLV att det saknas omständigheter som medför att Spinraza kan antas vara kostnadseffektivt på det sätt som krävs för att kunna utgöra ett relevant jämförelsealternativ i läkemedelsförmånslagens mening.

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. När det saknas behandlingsalternativ som är kliniskt relevanta och kostnadseffektiva kan jämförelsealternativet vara "ingen behandling". I klinisk praxis ges patienterna understödande vård i avsaknad av sjukdomsmodifierande behandling. I sådana fall ersätter inget tillägg till bästa understödande "ingen behandling" som jämförelsealternativ vid en hälsoekonomisk utvärdering.

### **Företaget har visat att Evrysdi har en bättre effekt än inget tillägg till bästa understödande vård**

TLV bedömer att behandling med risdiplam har bättre effekt än inget tillägg till bästa understödande vård avseende utveckling av motoriska förmåga och överlevnad hos patienter med SMA typ 1. Bedömningen baseras på uppgifter från den kliniska fas II/III-studien FIREFISH som inkluderade pediatrika patienter med symtomatisk SMA typ 1. Samtliga hade genetiskt bekräftad sjukdom med två kopior av SMN2-genen.

I studien uppnådde 44 procent av patienterna förmågan att sitta utan stöd i 30 sekunder efter 24 månaders behandling. Patienterna fortsatte att uppnå ytterligare motoriska milstolpar mätt med HINE-2 (Hammersmith Infant Neurological Examination Module 2), cirka 80 procent av patienterna kunde rulla runt och 27 procent kunde stå med eller utan stöd. Avseende överlevnad var 93 procent vid liv efter 24 månader och 83 procent vid liv utan permanent behov av andningshjälp. Långtidsuppföljning med behandling upp till 48 månader tyder på att effekten är ihållande över tid. Studien saknade jämförelsegrupp vilket bidrar till osäkerhet kring den faktiska effektstorleken. I stället har företaget använt resultat i naturalförloppsstudier för att kunna göra en skattning av den kliniska nyttan. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) sammanfattar i en europeisk offentlig utvärderingsrapport (EPAR) att obehandlade patienter med SMA med debut i spädbarnsåldern aldrig skulle kunna sitta utan stöd och att endast 25 procent förväntas överleva utan permanent andningshjälp längre än till 14 månaders ålder.

TLV bedömer vidare att behandling med risdiplam har bättre effekt än inget tillägg till bästa understödjande vård avseende utveckling av motoriska förmågor hos patienter med SMA typ 2 och typ 3. Bedömningen baseras på uppgifter från den kliniska fas II/III-studien SUNFISH som inkluderade patienter med SMA typ 2 och typ 3 med två till fyra kopior av SMN2 genen och som förlorat gångförmågan. SUNFISH del 1 inleddes med en placebokontrollerad utvärdering av två doser under 12 månader vilken följdes med en öppen behandlingsfas i ytterligare 12 månader där samtliga patienter erhöll en och samma utvalda dos av risdiplam. SUNFISH del 2 inkluderade fler patienter och inleddes med en 12 månader lång placebokontrollerad fas där den rekommenderade risdiplam-dosen utvärderades. Mellan månad 13 och 24 erhöll samtliga patienter öppen behandling med risdiplam med samma dos. Efter studiens slut har patienterna följts i en långtidsstudie med öppen behandling med risdiplam varifrån företaget har kommit in med data för 48 månaders behandling.

SUNFISH-studien visade en kliniskt betydelsefull och statistiskt signifikant skillnad i det primära effektmåttet förändring från studiestart i total MFM32-poäng vid månad 12 (32-item Motor Function Measure) mellan patienter behandlade med risdiplam jämfört med placebo. Den absoluta skillnaden var mindre än två poäng på en 93-gradig skala. Företaget anger att även små förändringar i MFM-32 visar en klinisk betydelsefull skillnad. EMA anger att de blygsamma effekter som observerats kan bero på den korta studietiden och på heterogeniteten hos patientpopulationen som inkluderats i studien. TLV:s kliniska expert uppger att för den enskilda patienten kan en liten förbättring i MFM-32 ha en avgörande betydelse, leda till förbättrad livskvalitet och få till följd att patienten kan leva ett mer självständigt liv. I placeboarmen sågs en försämring i genomsnitt med -0,19 poäng efter 12 månader. Patienter sågs bibehålla förbättringar i MFM-32 efter 24 månader och långtidsuppföljningen tyder på att risdiplam ger en inbromsad sjukdomsutveckling upp till månad 48.

TLV konstaterar att det kliniska underlaget talar för att vuxna patienter och patienter med sent debuterande sjukdom med SMA typ 2 och typ 3 får en sjukdomsstabiliserande effekt av behandling med risdiplam och därmed en bättre effekt än jämförelsealternativet inget tillägg till bästa understödjande vård. Underlaget avseende denna patientgrupp innehåller okontrollerade studier som är förknippade med större osäkerheter och har lägre bevisvärde än kontrollerade studier. Studiernas kliniska effektmått är relevanta. För denna patientgrupp kan man inte förvänta sig att det kommer några nya randomiserade studier. Överlag är patientpopulationerna och behandlingseffekten ojämnt beskrivna i de olika studierna, men resultaten pekar generellt i samma riktning. Naturalförloppet är en successiv försämring för varje år och sammantaget ses med behandling en stabilisering av sjukdomen och därmed en

relevant relativ effektskillnad för en stor andel patienter. I avsaknad av kliniska långtidsdata är effekten på lång sikt mycket osäker.

### **De högre kostnaderna för Evrysdi bedöms vara rimliga i förhållande till den nytta som behandlingen ger för patienter med SMA typ 2 och typ 3**

TLV:s analyser visar att kostnaden per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår inte överstiger den nivå TLV vanligtvis bedömer som rimlig vid tillstånd med hög till mycket hög svårighetsgrad.

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.

Mot bakgrund av att den kliniska effekten bedöms vara bättre för Evrysdi än för bästa understödande vård, 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. Företaget har kommit in med två separata analyser för patienter med SMA typ 1 respektive patienter med SMA typ 2 eller typ 3.

Det hälsoekonomiska underlaget för SMA typ 2 och typ 3 baseras på en kostnadsnyttoanalys i form av en markovmodell. TLV bedömer att den av företaget redovisade kostnadsnyttoanalysen kan användas för samtliga patienter med SMA typ 2 och typ 3. När det hälsoekonomiska underlaget gavs in menade företaget att det endast var relevant för patienter med SMA typ 2 och typ 3 till vilka NT-rådet inte rekommenderar behandling med Evrysdi.

Företagets analyser baseras på tidigare utredning av Evrysdi (dnr 682/2021), dock med justeringar av vissa parametrar. Företaget har uppdaterat kostnaderna för vårdresursutnyttjande samt kostnader för personlig assistans. TLV bedömer att det är relevant att utgå från företagets uppdaterade data för dessa parametrar, men konstaterar samtidigt att underlaget för utnyttjandet av personlig assistans är förenat med stora osäkerheter. Vidare har företaget uppdaterat den kliniska effekten som modelleras i den hälsoekonomiska analysen till följd av att det nu finns längre uppföljningsdata än vid tidigare utredning. TLV bedömer att det finns osäkerheter gällande den kliniska effekten på sikt, främst kopplat till förmågan att utveckla nya motoriska förmågor. Behandling med Evrysdi medför främst att man bibehåller sina motoriska förmågor, snarare än att de utvecklas på sikt. TLV tillämpar därför en behandlingsplatå i sitt grundscenario efter fem år i analysen, vilket medför att efter fem år bedöms ingen längre förbättra sin motoriska förmåga. Företaget inkluderar även anhörigas livskvalitet samt kostnader för produktivitetsförlust. TLV exkluderar dessa kostnader i sitt grundscenario.

Inom ramen för möjligheten till överläggning, som ges i förmånslagen, har TLV haft trepartsöverläggningar med företaget och regionerna. Trepartsöverläggningarna har resulterat i en sidoöverenskommelse mellan företaget och regionerna. Sidoöverenskommelsen omfattar all försäljning av Evrysdi inom läkemedelsförmånerna från

den 1 februari 2025. Genom sidoöverenskommelsen åtar sig företaget att betala en del av kostnaden för användningen av Evrysdi till regionerna. Underlag till sidoöverenskommelsen har tillförts detta ärende.

I företagets grundscenario uppgår kostnaden per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår till cirka 3 miljoner kronor och livskvalitetsvinsten till 11,6 för behandling med Evrysdi jämfört med inget tillägg till bästa understödjande vård. I TLV:s grundscenario vinner patienterna som behandlas med Evrysdi 3,2 kvalitetsjusterade levnadsår jämfört med de som behandlas med bästa understödjande vård.

Med hänsyn tagen till innehållet i sidoöverenskommelsen för Evrysdi bedömer TLV att kostnaden per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår för Evrysdi jämfört med bästa understödjande vård är cirka 806 000 kronor. Denna kostnad bedöms vara rimlig med hänsyn till att ungefär hälften av patienterna har tillstånd med hög svårighetsgrad (SMA typ 3) och resterande tillstånd med mycket hög svårighetsgrad (SMA typ 2 och tidigt debuterande typ 3).

### **Kostnaderna för Evrysdi bedöms vara rimliga även för patienter med SMA typ 1**

Vid en sammantagen bedömning finner TLV att kostnaderna för användningen av läkemedlet även för patienter med SMA typ 1 är rimliga.

Patienter med SMA typ 1 är i sammanhanget de patienter som är svårast sjuka och som därmed har såväl störst behov som störst effekt av behandling med Evrysdi. Utifrån ett behovs- och solidaritetsperspektiv är det därför rimligt att patienter med SMA typ 1 inkluderas i ett beslut för patienter med SMA typ 2 och 3. Detta gäller trots att det av utredningen framgår att sjukvårdskostnaderna för patienter med SMA typ 1 är mycket höga och att utredningen inte visar att läkemedlet är kostnadseffektivt för patientgruppen. TLV vill här betona de särskilda avvägningar som myndigheten har haft att göra med hänsyn till den etiska plattformen inom svensk hälso- och sjukvård och då särskilt behovs- och solidaritetsprincipen. TLV har beaktat att de patienter med SMA typ 1 som kan vara aktuella för behandling med Evrysdi är en liten patientgrupp som inte väntas öka över tid, förutsatt att behandlingen med genterapin Zolgensma har effekt i enlighet med dagens behandlingsrekommendationer. TLV utgår därför från att den totala läkemedelskostnaden för att behandla alla patienter med SMA typ 1 inte blir så hög att den riskerar att tränga undan mer angelägen vård.

TLV har övervägt att begränsa subventionen på så sätt att läkemedlet subventioneras endast för de patienter som omfattas av beslutet och som inte tidigare har behandlats med Zolgensma. TLV har övervägt detta bland annat med anledning av att myndigheten inte har bedömt om en eventuell kombinationsbehandling skulle vara kostnadseffektiv. TLV bedömer dock att en sådan förmånsbegränsning inte behövs eftersom kunskapsläget om en sådan kombinationsbehandling är mycket osäkert och en sådan användning går emot gängse rekommendationer. Vidare bedöms förmånsbegränsningen vara svärmotiverad ur ett etiskt perspektiv eftersom den främsta anledningen till en sådan användning är om genterapin Zolgensma av någon anledning ger ett oväntat dåligt resultat hos en patient. Att TLV genom en förmånsbegränsning undanhåller andra befintliga behandlingsalternativ är svärförenligt med behovs- och solidaritetsprincipen. TLV bedömer därför i nuläget att en sådan förmånsbegränsning inte är ändamålsenlig. TLV har även möjlighet att följa upp förskrivningen och eventuellt ompröva förmånsbegränsningen för det fall kombinationsbehandling skulle bli aktuellt.

Sidoöverenskommelsen mellan regionerna och företaget börjar gälla den 1 februari 2025. TLV anser därför att beslutet ska börja gälla först 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, avdelningschefen Magnus Thyberg, läkemedelschefen Maria Landgren, biträdande professor Martin Henriksson, forskningsansvarige Monica Persson och professorn Sofia Kälvemark Sporrang. Ärendet har föredragits av hälsoekonomen Daniela Wikström. I den slutliga handläggningen har även juristen Per Claesson medverkat.

Staffan Bengtsson

Daniela Wikström



## 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 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.)