

Datum  
2012-03-05Vår beteckning  
1619/2011**SÖKANDE**Gilead Sciences Sweden AB  
Hemvärnsgatan 9, 8 tr.  
171 54 Solna**SAKEN**

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

**BESLUT**

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV beslutar att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med 2012-03-06 till i tabellen angivna priser. TLV fastställer det alternativa försäljningspriset till samma belopp som AIP.

<b>Namn</b>	<b>Form</b>	<b>Styrka</b>	<b>Förp.</b>	<b>Varunr</b>	<b>AIP (SEK)</b>	<b>AUP (SEK)</b>
Cayston	Pulver till lösning för nebulisator	75 mg	Ospecificerad	091244	22 440,00	22 607,00

## ANSÖKAN

Gilead Sciences Sweden AB (företaget) har ansökt om att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna och att pris fastställs

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)
Cayston	Pulver till lösning för nebulisator	75 mg	Ospecificerad	091244	22440,00

## UTREDNING I ÄRENDET

Cystisk fibros (CF) är en ärftlig sjukdom som drabbar de flesta av kroppens organ. I luftvägarna bildas ett segt slem, vilket leder till att luftvägspatogener lättare koloniserar luftvägarna och ger upphov till svårbehandlade luftvägsinfektioner. Ett fåtal bakteriearter, såsom *Pseudomonas aeruginosa*, har förmågan att kolonisera de nedre luftvägarna hos patienter med CF och leda till en kronisk infektion.

Kronisk infektion med *Pseudomonas aeruginosa* leder till nedsatt lungfunktion, ökad sjuklighet och dödlighet hos patienter med cystisk fibros. Luftvägsinfektioner är den vanligaste dödsorsaken för patienter med cystisk fibros.

I Sverige beräknas det finnas 600 personer med cystisk fibros. Hälften av dessa är vuxna. Det föds runt 20-25 barn med sjukdomen varje år.

Cayston är ett inhalationsantibiotikum för patienter med cystisk fibros. Den verksamma substansen, aztreonam, är ett betalaktamantibiotikum som är verksamt mot gramnegativa bakterier, inklusive *Pseudomonas aeruginosa*.

Behandling av cystisk fibros i Sverige sker på fyra olika CF-centra. De olika CF-centra har utvecklat en behandlingspraxis som skiljer sig sinsemellan med avseende på när behandling ska sättas in, tid och längd på behandling, samt dosering. Användningen av antibiotika är riklig. För att undvika resistens hos patienten byter man antibiotika ofta och växlar mellan olika alternativ.

I kliniska studier visas det att behandling med Cayston har signifikant bättre effekt än placebo vid mätning av förändringen i FEV<sub>1</sub>.

Vid en öppen jämförande studie mellan Cayston och Tobi påvisades en signifikant förbättring av lungvärdena, mätt i FEV<sub>1</sub>, i gruppen som fick Cayston jämfört med gruppen som fick Tobi. Dessutom var antalet sjukhusinläggningar och andelen pulmonella exacerbationer som krävde annan antibiotikaanvändning signifikant lägre för gruppen som fick Cayston jämfört med gruppen som fick Tobi.

Caystons pris ligger i nivå med de tre inhalationsantibiotika som används för behandling av kronisk kolonisering hos patienter med cystisk fibros. Kostnaden för Cayston är lika med eller något lägre än för Tobi och Tobi Podhaler, men något högre än för Tadim.

Landstingens läkemedelsförmånsgrupp har inte inkommit med ett yttrande.

## SKÄLEN FÖR BESLUTET

Enligt 15 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. ska ett receptbelagt läkemedel omfattas av läkemedelsförmånerna och inköpspris och försäljningspris ska fastställas för läkemedlet under förutsättning

1. att kostnaderna för användning av läkemedlet, med beaktande av bestämmelserna i 2 § hälso- och sjukvårdslagen (1982:763), framstår som rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter, och
2. att det inte finns andra tillgängliga läkemedel eller behandlingsmetoder som enligt en sådan avvägning mellan avsedd effekt och skadeverkningar som avses i 4 § läkemedelslagen (1992:859) är att bedöma som väsentligt mer ändamålsenliga.

Cayston är ett Orphan Drug eller sär läkemedel. Innan ett läkemedel kan få status som sär läkemedel ska det enligt Europaparlamentets och Rådets förordning (EG) nr 141/2000 göras klart att det används mot ett mycket allvarligt medicinskt tillstånd, livshotande eller kroniskt funktionsnedsättande. Högst fem av 10 000 personer i EU ska vara drabbade vid ansökningstillfället. Det får inte heller finnas någon annan tillgänglig terapi för den aktuella indikationen eller om det finns ska läkemedlet vara till stor nytta för dem som lider av detta tillstånd. Angelägenhetsgraden för dessa läkemedel anses vara hög.

TLV gör följande bedömning.

TLV bedömer att cystisk fibros är en svår sjukdom. Det finns ett stort behov av nya antibiotika för att minska resistensutveckling mot de antibiotika som för närvarande finns mot *Pseudomonas aeruginosa*. I klinisk praxis byter man ofta mellan olika antibiotika och växlar mellan dessa i behandlingen för att undvika resistens eftersom antibiotikabehandling är central för patienter med cystisk fibros.

Cayston är ett antibiotikum som är indikerat mot kronisk kolonisering av *Pseudomonas aeruginosa* och är godkänt för användning endast för vuxna till skillnad från de andra antibiotika som inhaleras och används för samma indikation.

Cayston med den aktiva substansen aztreonam är ett antibiotikum av gruppen betalaktam. Denna typ av antibiotikum har inte använts förut som ett inhalationsantibiotikum mot cystisk fibros. I kliniska studier har Cayston visat bättre effekt än placebo vid förbättring av lungvärden mätt i FEV<sub>1</sub>. Dessutom används mindre mängder av andra intravenösa antibiotika i den grupp som fick Cayston jämfört med den grupp som fick placebo.

1619/2011

I en klinisk studie har Cayston bedömts vara signifikant bättre än Tobi för att förbättra lungvärdena mätt i FEV<sub>1</sub>. TLV har tidigare bedömt att effekten av Tadim är jämförbar med Tobi. Det förefaller därför rimligt att anta Caystons effekt är likvärdig med Tadims effekt.

Eftersom effekten är likvärdig mellan alla inhalationsantibiotika som för närvarande används mot kronisk kolonisering av *Pseudomonas aeruginosa* blir en prisjämförelse viktig för att bedöma kostnadens rimlighet. Caystons pris ligger i nivå med dessa. Det är lika med eller lägre än priset för Tobi och Tobi Podhaler, men något högre än för Tadim.

TLV har tidigare bedömt att cystisk fibros är en svår sjukdom. Det finns behov av fler behandlingsalternativ och en utökad sortimentsbredd för dessa patienter. Många patienter med cystisk fibros har utvecklat resistens i vuxen ålder för de antibiotika som för närvarande används för inhalation. Det finns ett stort medicinskt behov av flera olika antibiotika för den här gruppen av patienter för att minska risken för resistensutveckling. Eftersom Cayston är ett nytt inhalationsantibiotikum som endast ska användas från 18 års ålder tillför den en utökad sortimentsbredd till patienter med cystisk fibros som ofta drabbas av resistens. TLV bedömer därför att kostnaden för Cayston får anses vara rimlig. Kriterierna i 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. anses därför vara uppfyllda.

Sammanfattningsvis finner TLV att förutsättningarna i 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. är uppfyllda. Ansökan ska därför beviljas.

Företaget har angett en förväntad försäljningsvolym för Cayston som är i samma storlek som den totala försäljningsvolymen för alla inhalationsantibiotika som används mot kronisk kolonisering av *Pseudomonas aeruginosa*. Vid en vidare användning av Cayston utanför den tänkta indikationen är inte kriterierna i 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. uppfyllda. TLV kommer därför att följa användningen av Cayston med avseende på försäljningsvolym och erinrar om verkets möjlighet att ompröva frågan om subvention om TLV så anser lämpligt.

## HUR MAN ÖVERKLAGAR

Beslutet kan överklagas hos Förvaltningsrätten i Stockholm. Överklagandet, som ska vara skriftligt, ska ställas till förvaltningsrätten, men ges in till Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV. TLV måste ha fått överklagandet **inom tre veckor** från den dag klaganden fick del av beslutet, annars kan överklagandet inte prövas. TLV sänder överklagandet vidare till förvaltningsrätten för prövning om inte TLV själv ändrar beslutet på det sätt som begärts.

Detta beslut har fattats av Nämnden för läkemedelsförmåner hos TLV. Följande ledamöter har deltagit i beslutet: generaldirektören Stefan Lundgren (ordförande), hälso- och sjukvårdsdirektören Catarina Andersson-Forsman, f.d förbundsordföranden Christina Bergdahl, docenten Susanna Wallerstedt, professorn Per Carlsson, hälso- och sjukvårdsdirektören Mats Bojestig och läkemedelschefen Karin Lendenius.

Föredragande har varit medicinske utredaren Wing Cheng. I handläggningen har även deltagit hälsoekonomen Martin Eriksson och juristen Mikael Hedberg.

Stefan Lundgren

Wing Cheng