

Datum
2015-03-31Vår beteckning
4683/2014**SÖKANDE**Bluefish Pharmaceuticals AB
Torsgatan 11
111 23 Stockholm**SAKEN**

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV beslutar att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med 2015-04-01 till i tabellen angivna priser. När nedanstående läkemedel ingår i en utbytesgrupp med generisk konkurrens ska 11,50 kr läggas till dess angivna AUP, enligt 6 a § TLVFS 2009:3. TLV fastställer det alternativa försäljningspriset till samma belopp som AIP.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Miglustat Bluefish	Kapsel, hård	100 mg	Blister, 84 kapslar	449978	38821,50	38988,50

4683/2014

ANSÖKAN

Bluefish Pharmaceuticals AB (företaget) har ansökt om att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna och att pris fastställs.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)
Miglustat Bluefish	Kapsel, hård	100 mg	Blister, 84 kapslar	449978	38821,50

UTREDNING I ÄRENDET

Gauchers sjukdom är en ärftlig ämnesomsättningssjukdom som orsakas av brist på enzymet glukosylceramidasa. Enzymets uppgift är att bryta ner glukosylceramid (en fettmolekyl) i kroppen. I avsaknad av enzymet, eller vid låg enzymatisk aktivitet, ackumuleras glukosylceramid i kroppens olika organ och de organ som drabbas är främst mjälte, lever och benmärg, men även lungor, njurar och hjärta kan påverkas. Inte sällan ansamlas också glukosylceramid i skelettet vilket kan ge upphov till bland annat skelettdeformationer, bensmärter och vävnadsdöd. Vid vissa varianter av sjukdomen påverkas även nervsystemet i olika utsträckning.

Sjukdomen brukar klassificeras i tre huvudtyper (typ 1, typ 2 och typ 3) utifrån sjukdomens förlopp, symtomens svårighetsgrad och påverkan på centrala nervsystemet. I Sverige är typ 1 (Icke-neuronopatisk Gauchers sjukdom, även kallad "vuxentypen") vanligast med ca 30-40 patienter. Sjukdomen progredierar olika fort och svårighetsgraden varierar från patient till patient.

Gauchers sjukdom går inte att bota, men det finns olika behandlingar för att minska symtomen, bromsa sjukdomsförloppet och kompensera för funktionsnedsättningarna. Behandling av sjukdomen sker i första hand med enzymsättningsterapi (ERT, Enzyme Replacement Therapy). ERT syftar till att tillföra kroppen en modifierad form av det kroppsegna enzymet glukosylceramidasa som hjälper till att bryta ner glukosylceramid så att inlagring av fettmolekylerna i cellerna kan undvikas.

Avseende patienter med Gauchers sjukdom typ 1 för vilka enzymsättningsterapi inte är lämplig kan i andra hand substratreduceringsterapi (SRT) vara ett behandlingsalternativ. SRT avser att minska mängden substrat (glukosylceramid) så att det finns färre fettmolekyler att bryta ner.

Patienter kan även få symtomlindrande behandling i form av bisfosfonater (mot benskörhet för att förhindra bennedbrytning), ortopedkirurgi, samt blodtransfusion.

Miglustat Bluefish innehåller den aktiva substansen miglustat och utgör ett SRT-preparat som är indicerat för oral behandling av vuxna patienter med mild till måttlig Gauchers sjukdom typ 1. Enligt godkänd indikation ska Miglustat Bluefish endast användas för behandling av patienter för vilka enzymsättningsbehandling inte är lämplig.

4683/2014

Miglustat Bluefish 100 mg hård kapsel har av EMA bedömts vara bioekvivalent med läkemedlet Zavesca 100 mg hård kapsel. Zavesca är även indicerat för behandling av Niemann-Picks sjukdom typ C, medan Miglustat Bluefish bara är godkänt för behandling av Gauchers sjukdom typ 1. Zavesca ingår sedan år 2012 inte i läkemedelsförmånerna för användning vid Gauchers sjukdom, eftersom TLV då vid en omprövning av subventionen bedömde att läkemedlet inte var kostnadseffektivt för behandling av sjukdomen.

Företaget konstaterar att Miglustat Bluefish har samma effekt som originalprodukten Zavesca och har därför inkommit med en prisjämförelse. Jämförelsen visar att priset på Miglustat Bluefish är 42 % lägre än priset för Zavesca.

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.

TLV:s beslutsfattande vilar också på tre grundläggande kriterier som är gemensamma för hela sjukvården: människovärdesprincipen - att vården ska respektera alla människors lika värde, behovs- och solidaritetsprincipen – att de som har de största medicinska behoven ska ha mer av vårdens resurser än andra patientgrupper samt kostnadseffektivitetsprincipen.

TLV gör följande bedömning.

TLV bedömer, mot bakgrund av de symtom som Gauchers sjukdom typ 1 medför och med hänsyn till den godkända indikationen för Miglustat Bluefish, att de patienter som är aktuella för behandling med läkemedlet har ett sjukdomstillstånd med en svårighetsgrad som i genomsnitt är medelhög.

TLV bedömer att relevant jämförelsealternativ till Miglustat Bluefish är symtomlindrande behandling. Enligt TLV:s mening utgör Zavesca inte ett relevant jämförelsealternativ eftersom läkemedlet inte ingår i läkemedelsförmånerna för användning vid Gauchers sjukdom. TLV anser inte heller att enzymsättningsbehandling kan utgöra något relevant jämförelsealternativ, eftersom Miglustat Bluefish endast ska användas för behandling av patienter för vilka enzymsättningsbehandling inte är lämplig. Mot denna bakgrund finner TLV att vad som kvarstår som relevant jämförelsealternativ till Miglustat Bluefish är symtomlindrande behandling, vilket också utgjorde relevant jämförelsealternativ vid omprövningen av Zavesca.

4683/2014

TLV har gjort en förenklad hälsoekonomisk analys av behandling med Miglustat Bluefish jämfört med symtomlindrande behandling. Eftersom Miglustat Bluefish bedöms bioekvivalent med Zavesca har TLV baserat denna hälsoekonomiska analys på antaganden som framgår av den hälsoekonomiska utvärderingen i beslutet avseende omprövningen av Zavesca.

Den kliniska effektfördelen för Miglustat Bluefish jämfört med symtomlindrande behandling kan mätas i en högre livskvalitet och en ökad arbetsförmåga. Baserat på det nuvarande priset och inräknat indirekta sjukdomsrelaterade kostnader till följd av minskad arbetsförmåga är de sammanlagda kostnaderna för behandling med Miglustat Bluefish lägre än för symtomlindrande behandling samtidigt som effekten är bättre.

Osäkerheten i resultaten bedöms vara hög, framför allt med tanke på den osäkerhet som råder vad gäller behandlingseffekt och kostnaden för symtomlindrande behandling. Med hänsyn till känslighetsanalyser som har gjorts med avseende på antaganden i analysen framstår dock kostnaden för behandling med Miglustat Bluefish som rimlig.

Sammantaget, och med hänsyn taget även till människovärdesprincipen samt behovs- och solidaritetsprincipen, finner TLV att kriterierna i 15 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. är uppfyllda och att Miglustat Bluefish 100 mg hård kapsel ska ingå i läkemedelsförmånerna till det ansökta priset. Ansökan ska därför bifallas.

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), förvaltningschefen Margareta Berglund Rödén, professor Per Carlsson, oppositionslandstingsrådet Dag Larsson, förbundsordföranden Elisabeth Wallenius, docenten Susanna Wallerstedt och läkemedelschefen Karin Lendenius. Föredragande har varit medicinske utredaren Parshin Saadatirad. I handläggningen har även deltagit hälsoekonomen Daniel Högberg och juristen Sara Thelin.

Stefan Lundgren

Parshin Saadatirad