

SÖKANDE

Octapharma Nordic AB
112 75 Stockholm

SAKEN

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV beslutar att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med 2015-01-30 till i tabellen angivna priser. TLV fastställer det alternativa försäljningspriset till samma belopp som AIP.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Nuwiq	Pulver och vätska till injektionsvätska, lösning	250 IE	Injektionsflaska (1 st) + förfylld spruta (1x 2,5 ml)	392542	1422,50	1498,00
Nuwiq	Pulver och vätska till injektionsvätska, lösning	500 IE	Injektionsflaska (1 st) + förfylld spruta (1x 2,5 ml)	480017	2845,00	2949,00
Nuwiq	Pulver och vätska till injektionsvätska, lösning	1000 IE	Injektionsflaska (1 st) + förfylld spruta (1x 2,5 ml)	162381	5690,00	5851,00
Nuwiq	Pulver och vätska till injektionsvätska, lösning	2000 IE	Injektionsflaska (1 st) + förfylld spruta (1x 2,5 ml)	157938	11380,00	11547,00

ANSÖKAN

Octapharma Nordic AB (företaget) har ansökt om att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna och att pris fastställs

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Nuwiq	Pulver och vätska till injektionsvätska, lösning	250 IE	Injektionsflaska (1 st) + förfylld spruta (1x 2,5 ml)	392542	1422,50	1498,00
Nuwiq	Pulver och vätska till injektionsvätska, lösning	500 IE	Injektionsflaska (1 st) + förfylld spruta (1x 2,5 ml)	480017	2845,00	2949,00
Nuwiq	Pulver och vätska till injektionsvätska, lösning	1000 IE	Injektionsflaska (1 st) + förfylld spruta (1x 2,5 ml)	162381	5690,00	5851,00
Nuwiq	Pulver och vätska till injektionsvätska, lösning	2000 IE	Injektionsflaska (1 st) + förfylld spruta (1x 2,5 ml)	157938	11380,00	11547,00

UTREDNING I ÄRENDET

Hemofili A är en genetisk sjukdom som innebär att patienten har brist på koagulationsfaktor VIII. Koagulationsfaktor VIII behövs för att blodet ska koagulera (levra sig). Patienter med hemofili A drabbas därför oftare av spontana blödningar och blödningar vid trauma. Särskilt invärtes blödningar i leder, muskler, mage och hjärna är allvarliga och leder till långvarig sjukdom eller till död.

Halten av faktor VIII i blodet avgör hur svår form av hemofili A en patient har. Patienter med svårare form av sjukdomen får kontinuerlig förebyggande behandling (profylax). De med en mildare form behandlas vid behov då en blödning är svår att stilla, exempelvis vid en större olycka eller operation. Faktor VIII preparaten som finns att tillgå är antingen plasmaderiverade (utvunna ur plasma) eller rekombinanta (framställda genom modifiering av DNA).

Nuwiq är ett rekombinant faktor VIII preparat som ersätter det saknade proteinet vid hemofili A och därmed hjälper blodet att koagulera. Läkemedlets aktiva substans simoktokog alfa framställs i en human cellinje. Nuwiq är indikerat för behandling och profylax mot blödning hos patienter med hemofili A.

Nuwiq har undersökts i fem fas II och fas III studier i sammanlagt 135 tidigare behandlade hemofili A patienter. Nuwiq har i dessa studier visats ha effekt både vid profylaktisk och vid terapeutisk behandling av blödningar. Inga allvarliga biverkningar har uppvisats. Några direkt jämförande studier med andra faktor VIII preparat har inte gjorts. Indirekta jämförelser är svåra att göra på grund av skillnader i dosering och patientpopulationer i de kliniska studier som finns. Företaget har inte kunnat visa att några skillnader i effekt mellan Nuwiq och de andra rekombinanta faktor VIII preparaten föreligger. Den rekommenderade doseringen av antalet internationella enheter (IE) skiljer inte mellan preparaten, varken för användning vid behov eller vid profylaxbehandling.

Företaget har gjort en prisjämförelse och ansökt om priset 5,69 kr per IE. Det är samma pris per IE som de billigaste rekombinanta faktor VIII preparaten inom förmånen har (NovoEight, Kogenate, Helixate NexGen och Refacto AF).

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 bedömningar utgår från en etisk plattform med tre grundläggande principer: *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* – att kostnaderna för att använda ett läkemedel ska vara rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter.

TLV gör följande bedömning

Hemofili A är en sjukdom med hög svårighetsgrad eftersom obehandlad sjukdom kraftigt förkortar livslängden och leder till allvarliga sjukdomstillstånd.

Nuwiq bedöms ha klinisk effekt vid profylaktisk och terapeutisk behandling av blödningar hos tidigare behandlade patienter med hemofili A. De kliniska studierna visar inte på några allvarliga biverkningar, men fortsatta studier på ett större antal patienter och andra patientgrupper behövs för att säkerställa biverkningsprofilen. Baserat på de data som finns att tillgå bedömer TLV att Nuwiq har likvärdig effekt som de övriga faktor VIII preparat som finns inom förmånen.

Under 2009 inledde TLV en omprövning av samtliga läkemedel som används vid blödningsrubbnings. Faktor VIII preparaten, för behandling av hemofili typ A, bröts då ut och prövades separat.¹ De produkter som omfattades av omprövningen var Octanate och Immunate (utvunna ur plasma) och Helixate NexGen, Kogenate Bayer, ReFacto AF, Recombinate och Advate (rekombinant framställda). De plasmaderiverade preparaten kostade mindre än samtliga rekombinant framställda preparat, samtidigt som underlaget inte visade på någon kliniskt relevant effektskillnad dem emellan. De prisskillnader som vid tidpunkten för omprövningen förelåg ansågs mot denna bakgrund omotiverade.

För att säkerställa tillgången på faktor VIII preparat och för att kunna anpassa dosregimen i förhållande till vikt och blödningsbenägenhet accepterades dock en prisskillnad mellan plasmaderiverade och rekombinanta faktor VIII preparat. Detta ledde till att företagen bakom de rekombinanta läkemedlen sänkte sitt pris till det billigaste rekombinanta faktor VIII preparaten. Efter prissänkningar förelåg visserligen fortfarande prisskillnader mellan preparaten men eftersom TLV bedömde att den prisnivå nåtts som var möjlig att uppnå, avskrevs omprövningen⁴ under 2012 från vidare handläggning.

Läkemedlet NovoEight² beviljades subvention i juni 2014. NovoEight är ett rekombinant faktor VIII preparat som används för att behandla och förebygga blödningar hos patienter med hemofili A. Av beslutet framgår att TLV i sin bedömning inte frångick den principiella bedömningen som gjordes vid omprövningen av faktor VIII preparat avseende prisskillnaden mellan plasma och rekombinant framställda preparat. Relevant jämförelsealternativ bedömdes därför i förevarande ärende vara de rekombinanta alternativ som har lägst pris på marknaden (Kogenate och Helixate NexGen). TLV bedömde att effekten av NovoEight ansågs likvärdig med effekten av dessa läkemedel.

Mot denna bakgrund anser TLV att de rekombinanta faktor VIII preparat som har lägst pris inom förmånen, NovoEight, Helixate NexGen, Kogenate och ReFacto AF är de mest relevanta jämförelsealternativen för Nuwiq.

Då företaget ansöker om samma pris per IE som de billigaste rekombinanta faktor VIII preparaten inom förmånen, bedömer TLV att Nuwiq är ett kostnadseffektivt alternativ för patienter med hemofili A.

Vid en samlad bedömning samt med hänsyn taget även till människovärdesprincipen och behovs- och solidaritetsprincipen, finner TLV att kriterierna i 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. är uppfyllda. 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

¹ Dnr 1188/2012

² Dnr 169/2014

3783/2014

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 Läkemedelsförmånsnämnden hos TLV. Följande ledamöter har deltagit i beslutet: generaldirektören Stefan Lundgren (ordförande), förvaltningschefen Margareta Berglund Rödén, oppositionslandstingsrådet Dag Larsson, förbundsordföranden Elisabeth Wallenius, professorn Per Carlsson, docenten Susanna Wallerstedt, läkemedelschefen Karin Lendenius. Föredragande har varit medicinska utredaren Susanne Johansson. I handläggningen har även hälsoekonomen Sara Dalin och juristen Katarina Zackrisson Persson deltagit.

Stefan Lundgren

Susanne Johansson