

Datum  
2016-10-27Vår beteckning  
1831/2016**SÖKANDE**Amicus Therapeutics UK Ltd.  
August Södermans väg 3  
129 38 Hägersten**SAKEN**

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

**BESLUT**

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV, beslutar att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med 2016-10-28 till i tabellen angivna priser. TLV fastställer det alternativa försäljningspriset till samma belopp som AIP.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Galafold	Kapslar	123 mg	14 kapslar	434947	150 125,00	151 171,25

## ANSÖKAN

Amicus Therapeutics har ansökt om att läkemedlet Galafold ska ingå i läkemedelsförmånerna i enlighet med tabell på sida 1.

## UTREDNING I ÄRENDET

Fabrys sjukdom är en lysosomal sjukdom som orsakas av brist på fungerande enzym alfagalaktosidas A ( $\alpha$ -GAL A). Enzymbristen medför att vissa kemiska substanser (glykosfingolipider) i kroppens celler inte bryts ned utan istället lagras i cellerna, varvid blodkärl och andra organ kan skadas.

Det finns inga nationella riktlinjer för behandling av Fabrys sjukdom i Sverige. Enligt Socialstyrelsens databas över ovanliga diagnoser rekommenderas enzymsättning vilket minskar sjukdomens aktivitet och bromsar försämringen. Även symptomlindrande behandling vid till exempel smärta eller feber rekommenderas vid behov.

Galafold som innehåller substansen migalastat är avsett för långvarig behandling av vuxna och ungdomar från 16 års ålder som har en bekräftad diagnos av Fabrys sjukdom ( $\alpha$ -galaktosidas A-brist) och som har en behandlingsbar mutation. Galafold stabiliserar enzymet så att det kan transporteras till lysosomerna där det kan bryta ner glykosfingolipiderna som annars lagras och kan skada cellerna.

Enlig företaget är dagens enzymsättningsbehandlingar Fabrazyme och Replagal (båda ges som infusioner) de mest relevanta jämförelsealternativen till Galafold.

Effekt och säkerhet av Galafold har studerats i två fas III-studier (FACETS och ATTRACT). Studierna visar att för de patienter som har en med Galafold behandlingsbar mutation, har Galafold jämförbar effekt med idag tillgänglig enzymsättningsbehandling .

Ansökt pris för Galafold är 10 798 kronor per kapsel. Rekommenderad dos är en kapsel varannan dag, vilket motsvarar en årskostnad på 1 970 625 kronor per patient. Företagets kostnadsminimeringsanalys visar att behandling med Galafold innebär en lägre kostnad än för jämförelsealternativen.

Landstingen har inte överlagt med företaget.

## SKÄLEN FÖR BESLUTET

Lag (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. (förmånslagen).

15 § 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 2 § hälso- och sjukvårdslagen (1982:763), 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 anges att TLV:s beslutsfattande utgår från tre grundläggande principer: människovärdesprincipen - att värden 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 värden 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. 44 ff., jfr prop. 1996/97:60 s. 19 ff.).

9 § Innan Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket meddelar beslut i frågor som avses i 7 § ska sökanden och landstingen ges tillfälle till överläggningar med myndigheten.

### TLV gör följande bedömning

TLV bedömer svårighetsgraden för sjukdomstillståndet och behovet av sortimentsbredd sammantaget som hög. Symtom och svårighetsgrad kan dock variera mellan olika personer med sjukdomen.

TLV anser att dagens enzymsättningsbehandlingar Fabrazyme och Replagal är relevanta jämförelsealternativ till Galafold.

Det föreligger en viss osäkerhet kring den effekt som visats i de kliniska studierna. Till exempel inkluderade man från början i FACETS-studien alla patienter med Fabrys sjukdom och inte enbart patienter med behandlingsbara mutationer. Vidare var ATTRACT-studien inte utformad för att visa non-inferiority (icke underlägsenhet). TLV anser ändå att effekten av Galafold inte kan anses sämre än effekten av Fabrazyme och Replagal.

Till det ansökta priset är läkemedelskostnaden för Galafold lägre än för jämförelsealternativen Fabrazyme och Replagal.

TLV konstaterar att priserna för Fabrazyme och Replagal är mycket höga. Båda ingår i läkemedelsförmånerna genom övergångsbestämmelser till förmånslagen. TLV har därför inte utvärderat om priserna för dessa läkemedel är rimliga i förhållande till den effekt som behandlingarna ger (15 § förmånslagen). Det är således osäkert om jämförelsealternativen Fabrazyme och Replagal i sig är kostnadseffektiva, men eftersom de ingår i läkemedelsförmånerna utgör de relevanta jämförelsealternativ till Galafold.

1831/2016

Sammantaget och med hänsyn tagen till människovärdesprincipen och behovs- och solidaritetsprincipen bedömer TLV att kriterierna i 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. är uppfyllda för att Galafold ska ingå i läkemedelsförmånerna. Ansökan ska därför bifallas.

TLV erinrar dock om den möjlighet som myndigheten har att ompröva frågan om subvention.

Se nedan hur man överklagar.

Detta beslut har fattats av Nämnden för läkemedelsförmåner hos TLV. Följande ledamöter har deltagit i beslutet: Generaldirektören Stefan Lundgren, överläkaren Margareta Berglund Rödén, medicinske rådgivaren Stefan Back, professorn Per Carlsson, förbundsordföranden Elisabeth Wallenius, professorn/överläkaren Susanna Wallerstedt och fd läkemedelschefen Karin Lendenius. Föredragande har varit hälsoekonomen Ida Ahlberg. I den slutliga handläggningen har även medicinska utredaren Laila Straubergs och juristen Annica Willner deltagit.

Stefan Lundgren

Ida Ahlberg

## HUR MAN ÖVERKLAGAR

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