

Datum
2015-08-27Vår beteckning
2255/2015**SÖKANDE**Swedish Orphan Biovitrum AB
-
112 76 Stockholm**SAKEN**

Ansökan inom läkemedelsförmånerna.

BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV, beslutar att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med 28 augusti 2015 till i tabellen angivna priser. TLV fastställer det alternativa försäljningspriset till samma belopp som AIP.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Orfadin	Oral suspension	4 mg/ml	Flaska, 90 ml	151239	22 130	22 297

ANSÖKAN

Swedish Orphan Biovitrum AB (företaget) har ansökt om att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna och att pris fastställs.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)
Orfadin	Oral suspension	4 mg/ml	Flaska, 90 ml	151239	22 130,00

UTREDNING I ÄRENDET

Orfadin (nitisinon) oral suspension är ett läkemedel som är godkänt för behandling av tyrosinemi typ 1. Tyrosinemi typ 1 ingår i en grupp sällsynta, ärftliga ämnesomsättningssjukdomar som orsakas av en rubbning i nedbrytningen av aminosyran tyrosin. Behandling med nitisinon introducerades i början av 1990-talet. Sedan dess har överlevnaden för patienter med tyrosinemi typ 1 förbättrats dramatiskt.

Orfadin kapsel i styrkorna 2, 5, 10 och 20 mg ingår sedan tidigare i läkemedelsförmånerna. Läkemedlets dosering beror av kroppsviken. Då patientgruppen är mycket ung finns det flera patienter som inte kan svälja kapslar. Kapslarna får därför öppnas och innehållet blandas i vatten eller föda, vilket ökar risken för felaktiga doser. Behovet av en bättre anpassad beredningsform har därför framförts av den europeiska läkemedelsmyndighetens, EMA:s, vetenskapliga kommitté CHMP (Committee for Medicinal Products for Human Use). Företaget har därför utvecklat den nya beredningsformen i syfte att underlätta administreringen av läkemedlet för de patienter som inte kan svälja kapslar.

Den rekommenderade initialdosen i barn- och vuxenpopulationen är enligt produktresumén 1 mg/kg kroppsvikt/dag uppdelad i 2 doser som administreras oralt. Det medför att kapslarna i den lägsta styrkan, 2 mg, fyller en viktig funktion för att kunna ställa in dosen individuellt. Den orala suspensionen kan på liknande sätt användas för att ställa in en exakt dos. TLV bedömer därför att 2 mg kapslarna är det mest relevanta jämförelsealternativet.

Resultatet från en bioekvivalensstudie som redovisas i utredningsprotokollet, EPAR, visar på att Orfadin oral suspension är bioekvivalent med Orfadin kapslar.

Det ansökta priset för Orfadin oral suspension motsvarar priset per milligram för Orfadin kapsel 2 mg. Det är inte uppenbart att den orala lösningen enbart kommer att ersätta 2 mg kapslarna. Det är dock sannolikt att patienter som kan svälja hela kapslar fortsatt kommer att förskrivas kapslar, då dessa ofta upplevs som en mer praktisk beredningsform. Den orala suspensionen ska förvaras i kylskåp medan kapslarna kan förvaras vid temperatur upp till 25 °C under en enda period på 2 månader. De patienter som är i behov av behandling med den orala suspensionen vinner däremot fördelar med denna beredningsform genom möjlighet till mer exakt dosering och säker administrering.

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 på tre grundläggande kriterier: 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.

Relevant jämförelsealternativ till Orfadin oral suspension 4 mg/ml är Orfadin kapslar 2 mg.

Den alternativa behandling till Orfadin oral suspension som idag finns att tillgå är Orfadin kapslar. Då merparten av de patienter som behandlas med Orfadin är barn har behovet av en bättre anpassad beredningsform av Orfadin framförts av den europeiska läkemedelsmyndighetens, EMA:s, vetenskapliga kommitté CHMP (Committee for Medicinal Products for Human Use).

Per milligram aktiv substans är det ansökta priset för Orfadin oral suspension inte högre än priset för Orfadin kapsel 2 mg. Det är inte uppenbart att den orala lösningen enbart kommer att ersätta 2 mg kapslarna, utan kan även komma ersätta kapslar i styrkorna 5 respektive 10 mg. Det kan medföra en något högre kostnad per behandlad patient. Samtidigt är det troligt att de patienter som är i behov av behandling med den orala suspensionen vinner andra fördelar med denna beredningsform. Detta tillsammans med sjukdomens svårighetsgrad, gör att TLV bedömer att det ansökta priset är rimligt.

Mot bakgrund av detta och med hänsyn taget även till människovärdesprincipen och behovs och solidaritetsprincipen, finner TLV att kriterierna i 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. är uppfyllda för att Orfadin oral suspension ska ingå i läkemedelsförmånerna till ansökt pris. 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. Generaldirektör Stefan Lundgren (ordförande), förvaltningschef Margareta Berglund Rödén, medicinsk rådgivare Stefan Back, professor Per Carlsson, docent Susanna Wallerstedt och läkemedelschef Karin Landenius. Föredragande har varit utredare Camilla Ledin.

Stefan Lundgren

Camilla Ledin