

**SÖKANDE**

Genzyme AB  
 Kontaktperson: Hilde Furberg  
 Islands Brygge 57 ST.TV  
 DK 2300 Köpenhamn S  
 Danmark

**SAKEN**

Ansökan inom läkemedelsförhållningarna

**BESLUT**

Läkemedelsförhållningsmyndigheten beviljar ansökan om subvention och fastställer pris för Aldurazyme att gälla från och med 2003-06-28 enligt följande:

	<b>Varunr</b>	<b>AIP</b>	<b>AUP</b>
Aldurazyme, koncentrat till infusionsvätska, lösning, 100 U/ml, 5 ml	014439	6 390,00	6 610,00

**ANSÖKAN**

Genzyme AB (företaget) ansöker om subvention och fastställande av pris för Aldurazyme, koncentrat till infusionsvätska, lösning, 5 ml, vilket motsvarar 500 U.

**BAKGRUND**

Aldurazyme är ett läkemedel som används för att behandla patienter som lider av enzymbristsjukdomen MPS I, en sjukdom som leder till att delvis nedbrutna proteiner ansamlas i kroppen. Sjukdomen orsakar invalidiserande skador på en rad organ i kroppen och resulterar hos en stor andel av patienterna i en mental utvecklingsstörning. Patienternas förväntade genomsnittliga livslängd minskas dessutom betydligt. MPS I drabbar mycket få patienter, ca en per 400 000 invånare i EU, och Aldurazyme har beviljats status som särlekemedel.

## UTREDNING I ÄRENDET

Innan ett läkemedel kan få status som sär­läkemedel skall det göras klart att det används mot ett mycket allvarligt medicinskt tillstånd, livshotande eller kroniskt funktionsnedsättande. Det får inte heller finnas någon annan tillgänglig terapi för den aktuella indikationen.

Angelägenhetsgraden för dessa läkemedel anses vara hög.

För patienter som lider av MPS I finns, förutom benmärgstransplantation, ingen tillgänglig terapi som påverkar sjukdomens förlopp. Vid behandling med Aldurazyme har man dock visat positiva behandlingsresultat på flera centrala sjukdomssymptom men patientunderlaget är starkt begränsat och på grund av detta faktum har flera analyser ännu inte kunnat göras.

## SKÄL FÖR BESLUTET

Enligt 15 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. skall ett receptbelagt läkemedel omfattas av läkemedelsförmånerna och försäljningspris 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 medicinskall, humanitära och samhällsekonomiskall 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.

Läkemedelsförmånsnämnden konstaterar att hälsoekonomiskt underlag visserligen saknas i ansökan men att det begränsade patientantalet kan göra det svårt att ta fram denna typ av data redan vid registreringen av ett sär­läkemedel. Även om ett fullständigt hälsoekonomiskt underlag normalt behövs, så är det inte något formellt krav för att nämnden skall kunna bifalla en ansökan. I ett fall som detta kan det vara orealistiskt att kräva ett sådant underlag i detta skede varför bedömningen får göras med det underlag som rimligen kan begäras. I detta sammanhang kan även noteras att företaget av EMEA har blivit ålagt att göra uppföljande studier för att öka kunskapen om produkten. Även detta krav på uppföljning bör vägas in i bedömningen. Nämnden utgår från att företaget löpande kommer att hålla nämnden informerad om den nya dokumentation kring produkten som därvid kommer fram, särskilt sådant som har inverkan på produktens kostnadseffektivitet.

Utifrån det pris som begärts är det sannolikt att kostnaden för Aldurazymebehandling blir hög per vunnet levnadsår eller per kvalitetsjusterat levnadsår (QALY), sannolikt också högre än vad Läkemedelsförmånsnämnden normalt sett skulle acceptera. Då även de speciella omständigheterna och de humanitära skälen i fråga om sär­läkemedel, som kommer till uttryck i EU:s förordning om sär­läkemedel, (EG) Nr 141/2000, vägs in i bedömningen finner nämnden dock att ansökan kan bifallas.

Detta beslut har fattats av f.d. generaldirektör Axel Edling, professor Olof Edhag, docent Magnus Johannesson, överläkare Rurik Löfmark, specialist i allmänmedicin Ingmarie Skoglund, specialist i allmänmedicin Bengt Silfverhielm, professor Rune Dahlqvist, överläkare Mikael Hoffmann, f.d. statsråd Gertrud Sigurdsen och projektledare Christina Wahrolin. Föredragande har varit Niklas Hedberg vid Läkemedelsförmånsnämnden.

Axel Edling  
Ordförande

Niklas Hedberg  
Föredragande

Om beslutet helt eller delvis går sökanden emot kan det överklagas hos Länsrätten i Stockholms län. Överklagandet skall ske skriftligen och ges in till Läkemedelsförmånsnämnden. Det skall ha kommit in till myndigheten inom tre veckor från den dag sökanden fick del av beslutet.