



Läkemedelsförmånsnämnden

BESLUT

1 (5)

Datum
2005-01-31

Vår beteckning
1680/2004

SÖKANDE

NEOPHARMA PRODUCTION
AB
Box 22
751 03 Uppsala

Företrädare: Ulf Rosén

SAKEN

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

LÄKEMEDELSFÖRMÅNSNÄMNDENS BESLUT

Läkemedelsförmånsnämnden beslutar att läkemedlet Duodopa, enteral gel, ska ingå i läkemedelsförmånerna med nedanstående villkor från och med den 1 februari 2005 till i tabellen angivet pris.

Namn	Form	Styrka	Förp	Varunr	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Duodopa	Enteral gel	20+5 mg/ml	7x100 ml	013321	6 910	7 075

Villkor

Duodopa ingår i läkemedelsförmånerna under tiden från och med den 1 februari 2005 - till och med den 31 augusti 2007.

ANSÖKAN

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

Namn	Form	Styrka	Förp	Varunr.	AIP (SEK)
Duodopa	Enteral gel	20+5 mg/ml	7x100 ml	013321	6 910

BAKGRUND

Duodopa är en gelsuspension av levodopa och karbidopa och har utvecklats för att ge en individualiserad och konstant plasmakoncentration av den aktiva substansen. Det administreras via en sond direkt in i tunntarmen. Duodopa används för behandling av Parkinsons sjukdom i komplikationsfas med svårkontrollerade motoriska fluktuationer och överrörlighet/onormala rörelser som ofta är svåra och invalidiserande, när tillgängliga kombinationer av peroral medicinering inte längre ger tillfredsställande resultat.

Duodopa har av EMEA fått status som säräkemedel. Innan ett läkemedel kan få status som säräkemedel ska det enligt Europaparlamentets och Rådets förordning (EG) nr 141/2000 göras klart att det används mot ett mycket allvarligt medicinskt tillstånd, livshotande eller kroniskt funktionsnedsättande. Högst fem av 10 000 personer i EU ska vara drabbade vid ansökningstillfället. Det får inte heller finnas någon annan tillgänglig terapi för den aktuella indikationen eller, om sådan terapi finns, ska läkemedlet vara till stor nytta för dem som lider av sjukdomen. Angelägenhetsgraden för dessa läkemedel anses vara hög.

Efter ansökan av företaget beslutade Läkemedelsförmånsnämnden den 23 januari 2004 att Duodopa skulle ingå i läkemedelsförmånerna under tiden den 23 januari 2004-31 januari 2005 (dnr 1443/2003).

Nämnden konstaterade i sitt beslut att företaget visat att det finns hälsovinster vid behandling med Duodopa, men att företaget inte presenterat någon uppskattning av kostnader och andra vinster. Det saknades därför en värdering av kostnaden per kvalitetsjusterat levnadsår (QALY). Eftersom företaget avsåg att göra en sådan utredning under det kommande halvåret tidsbegränsade nämnden sitt beslut om subvention. Tidsbegränsningen var avsedd att skapa utrymme för att skaffa bättre kunskap om hälsoekonomin som gjorde det möjligt att värdera läkemedlet. Nämnden ansåg att en tidsrymd av ett år borde räcka för att få tillgång till sådan kunskap som behövdes för att göra en säkrare bedömning.

UTREDNING I ÄRENDET

Företaget har nu kommit in med en ansökan om fortsatt subvention till samma pris även efter den 31 januari 2005. Den hälsoekonomiska analysen som företaget presenterat visar dock en hög kostnad per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår. Det finns en rad osäkerheter i analysen bland annat avseende livskvalitetsförbättringen och kostnaderna för vård i hemmet och på institution. Parkinson är en sjukdom som orsakar stora direkta och indirekta kostnader och det är möjligt att läkemedlet kan ge ytterligare vinster som inte ingår i analysen.

Enligt företaget är det möjligt, och i linje med den kliniska erfarenheten, att behandlingen med Duodopa håller patienterna i bättre funktion än konventionell behandling. Av de patienter som behandlats en längre tid (cirka 10 år) med Duodopa, har alla en bibehållen eller bättre funktion. Detta skulle kunna innebära att sjukdomens progression försenas. En sådan försening kan leda till mindre vårdkostnader. I sin nya ansökan har företaget räknat med att totalt 200–300 patienter kommer att behandlas.

Landstingens läkemedelsförmånsgrupp har i ett yttrande till Läkemedelsförmånsnämnden förordat att Duodopa inte ska ingå i läkemedelsförmånerna. Gruppen har anfört:

Efter att ha tagit del av företagens hälsoekonomiska värdering kvarstår gruppens uppfattning att läkemedlet skall hållas utanför förmånssystemet. QALY för Duodopa uppgår till ett mycket stort belopp, 6,1 Mkr, och läkemedlet kan därmed knappast kallas kostnadseffektivt i traditionell hälsoekonomisk bemärkelse. För en orphan drug måste man dock godta lägre standard på dokumentationen och gruppen har förståelse för svårigheterna att göra hälsoekonomiska studier med relevanta resultat på en sådan begränsad patientgrupp. Endast ordinerande läkare kan i sådana här fall prioritera och bedöma kostnadseffektiviteten i det enskilda behandlingstillfället. Det krävs också specialitetssjukhusets kompetens för insättning och uppföljning varför rekvisitionshantering är lämplig för de patienter som har behov av läkemedlet.

Läkemedelsförmånsnämnden har haft överläggning med företaget.

Landstingens läkemedelsförmånsgrupp har avstått från att ha överläggning med nämnden.

SKÄLEN FÖR BESLUTET

Enligt 15 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. ska 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 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.

Duodopa är ett säräkemedel. Innan ett läkemedel kan få status som säräkemedel ska det stå klart att det används mot en livshotande eller kroniskt funktionsnedsättande sjukdom. Angelägenhetsgraden för dessa läkemedel anses alltså vara hög.

Även för säräkemedel gäller de förutsättningar för subvention som anges i lagens 15 §. Det är det sökande företags sak att visa att läkemedlet är rimligt kostnadseffektivt.

Läkemedelsförmånsnämnden konstaterar att kostnaden för behandling med Duodopa är hög. Mot detta ska ställas att Parkinsons sjukdom är kostsam både för individen och samhället, med höga direkta sjukvårdskostnader, kostnader för hjälp i hemmet eller mer kontinuerlig vård, samt kostnader för sjukskrivning och sjukpension.

Den hälsoekonomiska analys som företaget lämnar in visar att det finns hälsoekonomiska vinster med Duodopabehandling. Behandlingen leder till en förbättrad livskvalitet för patienterna och kan leda till minskade kostnader för vård av dessa patienter. Med behandlingen kan vissa patienter återgå till arbete. Osäkerheten i analysen är dock stor framförallt vad gäller storleken på kostnadsbesparingar inom hemvård och vårdhem samt på indirekta kostnaderna. Osäkerhet råder även om livskvalitetsvinsternas storlek.

De uppgifter företaget redovisat tyder på att Duodopa kan vara kostnadseffektivt för en patientgrupp i komplikationsfas, där det finns mycket få alternativa behandlingar. För att kunna bedöma detta behövs dock ytterligare hälsoekonomiska data. Företaget har redan en gång tidigare fått möjlighet att ta fram den information som krävs för att kunna göra en uppskattning av läkemedlets hälsoekonomiska värde, genom ett tidsbegränsat beslut om subvention. Men den analys som företaget nu lämnat in har sådana brister att den inte ger ett tillräckligt underlag för att bedöma om läkemedlet är kostnadseffektivt vid den avsedda användningen. Det har t.ex. visat sig svårt att få fram nödvändiga uppgifter, bland annat på grund av att patienterna är så få. Delvis får dessa brister antas bero på att den tid som företaget haft på sig för att komplettera beslutsunderlaget varit för kort.

Med hänsyn till detta anser Läkemedelsförmånsnämnden att företaget ska ges ytterligare möjlighet att göra en hälsoekonomisk utredning och analys som bättre belyser de livskvalitetsförbättringar och de vinster samhället uppnår med behandlingen. Duodopa bör därför fortsatt få ingå i läkemedelsförmånerna under tiden från och med den 1 februari 2005 – till och med den 31 augusti 2007. Den hälsoekonomiska utredning och analys som företaget under den tiden bör ha möjlighet att ta fram, kan då läggas till grund för en ny ansökan.

HUR MAN ÖVERKLAGAR

Beslutet kan överklagas hos Länsrätten i Stockholms län. Överklagandet, som ska vara skriftligt, ska ställas till länsrätten, men ges in till Läkemedelsförmånsnämnden. Nämnden måste ha fått överklagandet **inom tre veckor** från den dag klaganden fick del av beslutet,

2005-01-31

1680/2004

annars kan överklagandet inte prövas. Nämnden sänder överklagandet vidare till länsrätten för prövning om inte nämnden själv ändrar beslutet på det sätt som begärts.

Detta beslut har fattats av f.d. generaldirektör Axel Edling, ordförande, fil. dr. Ulf Persson, professor Olof Edhag, docent Lars-Åke Levin, överläkare Rurik Löfmark, specialist i allmänmedicin Ingmarie Skoglund, professor Rune Dahlqvist, docent Ellen Vinge och f.d. riksdagsledamoten Ingrid Andersson Föredragande har varit Kerstin Ranning Westin. I handläggningen har även deltagit Andreas Engström och Anna Märta Stenberg.

Axel Edling

Kerstin Ranning Westin