



Läkemedelsförmånsnämnden

BESLUT

1 (5)

Datum
2005-02-25

Vår beteckning
1730/2004

SÖKANDE

Swedish Orphan AB
Drottninggatan 98
111 60 Stockholm

Företrädare: Pär Östansjö

SAKEN

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

LÄKEMEDELSFÖRMÅNSNÄMNDENS BESLUT

Läkemedelsförmånsnämnden beslutar att läkemedlet Xagrid ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med den 26 februari 2005 till i tabellen angivet pris.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Xagrid	Kap hård	0,5 mg	100 st	021999	4710,00	4849,00

Villkor

Xagrid ingår i läkemedelsförmånerna till och med den 31 juli 2007.

ANSÖKAN

Swedish Orphan AB (företaget) har ansökt om att läkemedlet Xagrid ska ingå i läkemedelsförmånerna och att pris fastställs.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)
Xagrid	Kap hård	0,5 mg	100 st	021999	4710,00

UTREDNING I ÄRENDET

Vid essentiell trombocytomi (ET) sker en specifik tillväxt i den cellgrupp som förser blodet med trombocyter (blodplättar), vilket orsakar en förhöjd mängd av dessa i blodet. Obehandlad ET, med höga trombocytter, leder till ökad risk för livshotande komplikationer som blodproppar eller blödningar. Patienter med väl kontrollerad sjukdom kan idag ha en i det närmaste normal livslängd.

De farmakologiska behandlingsalternativen vid ET är hydroxyurea eller alfa-interferon. Xagrid har funnits tillgängligt som licensläkemedel. Både hydroxyurea och alfa-interferon sänker effektivt mängden trombocyter i blodet. Den vanligaste anledningen till att en behandling avbryts är biverkningar. Både hydroxyurea och alfa-interferon kan ha allvarliga biverkningar.

Xagrid är sedan den 16 november 2004 klassificerat som säräkemedel inom EU. Indikationen är förhöjda trombocytter hos riskzonspatienter med ET vilka inte tål, eller inte svarar på, sin nuvarande behandling.

Xagrids aktiva substans anagrelid hämmar tillväxten av den cellgrupp i benmärgen som står för alstringen av trombocyter. Verkningsmekanismen för anagrelid skiljer sig från de båda andra använda preparaten.

Vid behandling av ET sänker anagrelid mängden trombocyter i blodet med liknande effektivitet som hydroxyurea och alfa-interferon. En randomiserad jämförande studie av anagrelid och hydroxyurea genomfördes nyligen av MRC i Storbritannien. Syftet med studien var att utvärdera anagrelids roll vid behandling av ET. I studiens sammanfattning konstateras att anagrelid passar som andrahandspreparat.

Ett hälsoekonomiskt underlag för Xagrid saknas i ansökan.

Landstingens läkemedelsförmånsgrupp har i ett yttrande till Läkemedelsförmånsnämnden anfört:

Särläkemedel är alltid svåra att bedöma då de alltid har bristfällig dokumentation. Samtidigt ger de viktiga tillskott till behandlingsarsenalen av ovanliga sjukdomar. Det vore rimligt att samhället tar ett större ansvar för uppföljningen av de patienter som använder särläkemedel. Troligen ställer detta krav på uppföljningssystem på EU-nivå för att ge tillräckligt patientunderlag. Xagrid har en nisch vid behandling av essentiell trombocytemi då nuvarande behandlingsalternativ inte ger önskat resultat. Dock finns inga hårda endpoints redovisade som visar på läkemedlets effekt i praktiken. Landstingens läkemedelsförmånsgrupp förordar att Xagrid ska omfattas av läkemedelsförmånerna som ett alternativ då nuvarande behandlingsalternativ inte ger önskat resultat. Vidare förordar landstingens läkemedelsförmånsgrupp att krav ställs på en uppföljande studie som visar på effektivitet i form av minskad sjukdom och död.

SKÄLEN FÖR BESLUTET

Xagrid är ett Orphan Drug eller särläkemedel. Innan ett läkemedel kan få status som särläkemedel skall 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 skall vara drabbade vid ansökningstillfället. Det får inte heller finnas någon annan tillgänglig terapi för den aktuella indikationen eller om det finns så ska det nya läkemedlet vara till stor nytta för dem som lider av detta tillstånd. Angelägenhetsgraden för dessa läkemedel anses vara hög.

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 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.

Läkemedelsförmånsnämnden gör följande bedömning.

Xagrid är godkänt för behandling av patienter som inte svarar på, eller får mycket kraftiga biverkningar av, andra tillgängliga preparat mot höga trombocytter vid essentiell trombocytemi. Alternativet till att använda Xagrid är att acceptera den ökade risken för blodproppar och blödningar som det höga trombocyttalet medför. Då Xagrid numera är godkänt som läkemedel finns inte längre möjligheten att tillhandahålla det genom licensförskrivning.

Läkemedelsförmånsnämnden konstaterar att hälsoekonomiskt underlag för Xagrid saknas i ansökan. Företaget har emellertid uppgett att ett hälsoekonomiskt underlag för Xagrid kommer att tas fram.

Även om ett fullständigt hälsoekonomiskt underlag normalt behövs, så är det inte något formellt krav för att Läkemedelsförmånsnämnden ska kunna bifalla en ansökan.

Xagrid är avsett för behandling av en sjukdom med hög angelägenhetsgrad när alternativa läkemedel ger svåra biverkningar. På de knapphändiga underlag som för närvarande föreligger kan kostnaden i varje fall inte bedömas som orimlig. Då även de speciella omständigheterna och de humanitära skälen i fråga om säräkemedel, som kommer till uttryck i nyssnämnda EG-förordning om säräkemedel, beaktas finner nämnden, vid den helhetsbedömning nämnden har att göra, att kriterierna i 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. får anses vara uppfyllda.

Mot bakgrund av avsaknaden av hälsoekonomisk underlag för Xagrid, anser Läkemedelsförmånsnämnden att beslutet om subvention ska tidsbegränsas till och med den 31 juli 2007. Därigenom får företaget tid att ta fram det hälsoekonomiska underlag som krävs inför en ansökan om fortsatt subvention. Den bestämda tiden för subvention ger också utrymme för handläggningstiden hos nämnden.

HUR MAN ÖVERKLAGAR

Beslutet kan överklagas hos Länsrätten i Stockholms län. Överklagandet, som skall vara skriftligt, skall ställas till länsrätten, men ges in till Läkemedelsförmånsnämnden. Nämnden måste ha fått överklagandet **inom tre veckor** från den dag klaganden fick del av beslutet, annars kan överklagandet inte prövas. Nämnden sänder överklagandet vidare till länsrätten för prövning om inte nämnden själv ändrar beslutet på det sätt som begärts.

2005-03-03

1730/2004

Detta beslut har fattats av f.d. generaldirektör Axel Edling, fil.dr Ulf Persson, överläkare Eva Andersén-Karlsson, docent Lars-Åke Levin, överläkare Rurik Löfmark, universitetslektor Anna-Karin Furhoff, överläkare Gunilla Melltorp, professor Rune Dahlqvist, docent Ellen Vinge, f.d. riksdagsledamot Ingrid Andersson och projektledare Christina Wahrolin. Föredragande har varit Love Linnér. I handläggningen har även Joakim Ramsberg och Leif Lundquist deltagit.

Axel Edling

Love Linnér