



Läkemedelsförmånsnämnden

BESLUT

1 (4)

Datum
2006-05-31

Vår beteckning
489/2006

SÖKANDE

SWEDISH ORPHAN AB
Drottninggatan 98
111 60 Stockholm

SAKEN

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

LÄKEMEDELSFÖRMÅNSNÄMNDENS BESLUT

Läkemedelsförmånsnämnden beslutar att läkemedlet Ammonaps ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med den 1 juni 2006 till i tabellen angivna priser.

| Namn | Form | Styrka | Förp. | Varunr. | AIP (SEK) | AUP (SEK) |
|----------|----------|----------|--------------------------|---------|--------------|--------------|
| Ammonaps | Tablett | 500 mg | Plastflaska, 250 tabl | 005868 | 7600,00 | 7767,00 |
| Ammonaps | Granulat | 940 mg/g | Plastflaska, 266 g | 006049 | 15200,00 | 15367,00 |

ANSÖKAN

SWEDISH ORPHAN AB (företaget) har ansökt om att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna och att pris fastställs

| Namn | Form | Styrka | Förp. | Varunr. | AIP (SEK) |
|----------|----------|----------|--------------------------|---------|-----------|
| Ammonaps | Tablett | 500 mg | Plastflaska, 250 tabl | 005868 | 7600,00 |
| Ammonaps | Granulat | 940 mg/g | Plastflaska, 266 g | 006049 | 15200,00 |

UTREDNING I ÄRENDET

Ammonaps skrivs ut till patienter med ureaomsättningssjukdomar. Patienter som lider av dessa ovanliga åkommor saknar vissa leverenzymmer och kan därför inte utsöndra de kväverester som samlas i kroppen när man ätit proteiner. Kväverester i form av ammoniak är giftigt för hjärnan och leder i svåra fall till sänkt medvetandegrad och koma.

Det aktiva ämnet i Ammonaps natriumfenylbutyrat är en prodrug, dvs. läkemedlet blir verksamt först sedan kroppen omvandlat läkemedlet till fenylacetat. Det främjar bildandet av fenylacetylglutamin som fungerar som en alternativ möjlighet för utsöndring av restkväve.

Den dagliga dosen beräknas utifrån patientens förmåga att tåla protein, kost och kroppsvikt eller kroppsyta. Regelbundna blodprovskontroller genomförs för att fastställa rätt daglig dos. För att främja tillväxt och utveckling bör den dagliga dosen justeras individuellt efter patientens proteintolerans och behov av dagligt proteinintag.

Kostnaden är cirka 450 000 SEK AUP per år vid exempeldos för en vuxen och ca. 170 000 SEK AUP per år för ett barn på 15 kg. För barn är Ammonaps en livräddande behandling. Kostnaden per effekt är troligen relativt låg. För vuxna patienter är det svårt att bedöma kostnadseffektiviteten, men användningen är troligtvis kostnadseffektiv även för vuxna patienter.

Generellt sett är förekomsten av defekter i ureaomsättningen mycket låg och beräknas ligga på mellan 1/25 000-1/50 000 födselar. Ammonaps är inte formellt godkänt som sär läkemedel men skulle sannolikt kunna klassas som ett sådant. Enligt uppgift rör det sig om högst tio patienter som är aktuella för behandlingen i Sverige.

Landstingens läkemedelsförmånsgrupp har i ett yttrande till Läkemedelsförmånsnämnden förordat att Ammonaps ska ingå i läkemedelsförmånerna.

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.

Läkemedelsförmånsnämnden gör följande bedömning.

Ammonaps är avsett för behandling av ett livshotande sjukdomstillstånd. Möjligheterna till behandling för de patienter som berörs är i dag begränsade. Behovet av behandling är livslångt och utan behandling är risken överhängande för att patienten dör eller får svåra funktionshinder. De patienter som blir föremål för behandling har således stora behov och det finns därför starka humanitära skäl för att läkemedlet ska vara subventionerat.

Något hälsoekonomiskt underlag har inte bifogats ansökan. Även om ett fullständigt hälsoekonomiskt underlag normalt behövs, så är det inte något formellt krav. Ammonaps är visserligen inte formellt ett säräkemedel men det uppfyller kraven för ett säräkemedel såtillvida att det används vid ett mycket allvarligt medicinskt tillstånd där högst fem av 10 000 personer inom den Europeiska Unionen är drabbade. I ett fall som detta gör det begränsade patientantalet och det långdragna sjukdomsförloppet det svårt att få fram erforderliga data för att kunna göra en tillförlitlig hälsoekonomisk utredning. Det framstår mot den bakgrunden som orimligt att kräva ett sådant underlag. Bedömningen får därför göras på det underlag som finns.

Uppgifterna om läkemedlets effekt och biverkningar är mycket begränsade, men de data som lagts fram tyder på att Ammonaps har avsedd effekt. Mot bakgrund av att det här rör sig om patienter med stora behov av att få en verksam behandling bedömer Läkemedelsförmånsnämnden att kostnaderna för behandling med Ammonaps är rimliga.

Läkemedelsförmånsnämnden finner vid en helhetsbedömning att förutsättningarna i 15 § lagen om läkemedelsförmåner är uppfyllda för att Ammonaps ska få ingå i läkemedelsförmånerna till det begärda priset. Ansökan ska därför bifallas.

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, 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, professor Per Carlsson, professor Olof Edhag, 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. Föredragande har varit Gunilla Eriksson.

Axel Edling

Gunilla Eriksson