



Läkemedelsförmånsnämnden

## BESLUT

1 (4)

**Datum**  
2005-04-29

**Vår beteckning**  
2/2005

### SÖKANDE

SWEDISH ORPHAN AB  
Drottninggatan 98  
111 60 Stockholm

Företrädare: Janne Laine

### SAKEN

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

### LÄKEMEDELSFÖRMÅNSNÄMNDENS BESLUT

Läkemedelsförmånsnämnden beslutar att läkemedlet Wilzin ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med den 30 april 2005 till i tabellen angivet pris.

<b>Namn</b>	<b>Form</b>	<b>Styrka</b>	<b>Förp.</b>	<b>Varunr.</b>	<b>AIP (SEK)</b>	<b>AUP (SEK)</b>
Wilzin	Hård kapsel	50 mg	250 st	021589	3910,00	4033,00

2005-04-29

2/2005

## ANSÖKAN

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

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)
Wilzin	Hård kapsel	50 mg	250 st	021589	3910,00

## UTREDNING I ÄRENDET

Koppar tillförs normalt kroppen via vatten och föda. Vid Wilsons sjukdom kan överskott av koppar inte utsöndras på ett normalt sätt via levern till gallan och vidare ut med avföringen. Koppar som "läcker ut" ur levern ansamlas i hjärnan och ger neurologiska och psykiska symtom. Avvikelsen i kopparutsöndringen beror på en skada i ett arvsanlag.

Wilsons sjukdom debuterar vanligen i åldrarna 5-25 år. Symtomen från levern kan vara mycket varierande och innefatta allt ifrån lätt avvikande leverfunktion, till snabbt förlöpande och dödlig leverinflammation.

Förekomsten anges internationellt till cirka 30 personer per miljon invånare och antalet nyinsjuknade cirka 0,1-1 per miljon invånare och år. I Sverige rör det sig sannolikt om cirka 50 personer.

Medicinsk behandling ges till alla med Wilsons sjukdom oavsett ålder och symtom och måste fortgå under hela livet. Uppehåll med medicineringen leder till att symtomen från sjukdomen återkommer och oftast till döden om medicineringen inte återupptas i tid.

Wilzin har indikationen Wilsons sjukdom och innehåller zinkacetat som aktiv substans. Zinkacetat (zinkjonen) hämmar upptaget av koppar från tarmen, och minskar på så sätt kopparinlagringen hos patienter med Wilsons sjukdom.

Wilzin ger under långtidsbehandling upphov till ett normaliserat kopparinnehåll i kroppen hos det stora flertalet (>90%) patienter med Wilsons sjukdom, och leder till att sjukdomsprocessen hålls tillbaka. Enligt information från bland annat Socialstyrelsen<sup>1,2</sup> bör zinkbehandling föredras framför kopparkelerare vid underhållsbehandling av Wilsons sjukdom.

Landstingens läkemedelsförmånsgrupp har i ett yttrande till Läkeemedelsförmånsnämnden förordat att Wilzin ska ingå i läkemedelsförmånerna. Gruppen har anfört att Wilzin är ett

<sup>1</sup> Socialstyrelsens kunskapsdatabas om små och mindre kända handikappgrupper

<sup>2</sup> Roberts och Schilsky (2003): A practice guideline on Wilson disease (AASLD); Hepatology 37(6):1475-92

särläkemedel och som sådant omöjligt att bedöma ur kostnadseffektivitetssynpunkt. Läkemedlet är sannolikt av stor betydelse för det fåtal patienter som har behov av det.

## SKÄLEN FÖR BESLUTET

Wilzin är ett särläkemedel. Innan ett läkemedel kan få status som särläkemedel 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 det finns ska läkemedlet vara till betydande fördel för dem som lider av detta tillstånd. Angelägenhetsgraden för dessa läkemedel anses vara hög.

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.

Underhållsbehandling med särläkemedlet Wilzin håller tillbaka sjukdomsprocessen vid Wilsons sjukdom, som obehandlad oftast leder till döden. Det finns därför starka skäl för att läkemedlet ska subventioneras.

Wilzin innehåller visserligen enbart zinkacetat men är ett godkänt särläkemedel. Detta innebär att ingen tillåts saluföra en produkt med samma innehåll och indikation. Eftersom inga andra godkända zinkprodukter har indikationen Wilsons sjukdom görs inte någon jämförelse mot dessa.

Något hälsoekonomiskt underlag har inte bifogats ansökan. Även om ett hälsoekonomiskt underlag normalt behövs är det inte något formellt krav. Läkemedelsförmånsnämnden bedömer att kostnaden för behandling med Wilzin är rimlig mot bakgrund av patienternas behov och behandlingens effekter.

Förutsättningarna enligt 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. för att bevilja subvention är därför uppfyllda, och ansökan ska därför bifallas.

2005-04-29

2/2005

## 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.

Detta beslut har fattats av f.d. generaldirektör Axel Edling, fil dr. Ulf Persson, professor Olof Edhag, docent Lars-Åke Levin, professor Sten Landahl, specialist i allmänmedicin Ingmarie Skoglund, professor Rune Dahlqvist, docent Ellen Vinge, överläkare Gunilla Melltorp, f.d. riksdagsledamot Ingrid Andersson och f.d. förbundsordförande Christina Wahrolin. Föredragande har varit Love Linnér.

Axel Edling

Love Linnér