



## SÖKANDE

NOVARTIS SVERIGE AB  
Box 1150  
183 11 Täby

## SAKEN

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

## LÄKEMEDELSFÖRMÅNSNÄMNDENS BESLUT

Läkemedelsförmånsnämnden beslutar att läkemedlet Exjade ska ingå i läkemedelsförmånerna med nedanstående villkor från och med den 23 december 2006 till i tabellen angivna priser.

| Namn   | Form                    | Styrka | Förp                      | Varunr. | AIP<br>(SEK) | AUP<br>(SEK) |
|--------|-------------------------|--------|---------------------------|---------|--------------|--------------|
| Exjade | Dispergerbar<br>tablett | 125 mg | Blisters, 84<br>tabletter | 060578  | 4946,19      | 5092,00      |
| Exjade | Dispergerbar<br>tablett | 125 mg | Blisters, 28<br>tabletter | 041014  | 1648,73      | 1728,50      |
| Exjade | Dispergerbar<br>tablett | 250 mg | Blisters, 84<br>tabletter | 060569  | 9892,39      | 10059,50     |
| Exjade | Dispergerbar<br>tablett | 250 mg | Blisters, 28<br>tabletter | 041023  | 3297,46      | 3410,50      |
| Exjade | Dispergerbar<br>tablett | 500 mg | Blisters, 84<br>tabletter | 060560  | 19784,77     | 19952,00     |
| Exjade | Dispergerbar<br>tablett | 500 mg | Blisters, 28<br>tabletter | 041032  | 6594,92      | 6762,00      |

*Villkor*

Företaget åläggs att senast den 31 december 2009 inkomma med och redovisa data som beskriver nyttvinster och följsamhet till behandling med Exjade jämfört med Desferal.

**ANSÖKAN**

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

| Namn   | Form                 | Styrka | Förp                   | Varunr. | AIP (SEK) |
|--------|----------------------|--------|------------------------|---------|-----------|
| Exjade | Dispergerbar tablett | 125 mg | Blisters, 84 tabletter | 060578  | 4946,19   |
| Exjade | Dispergerbar tablett | 125 mg | Blisters, 28 tabletter | 041014  | 1648,73   |
| Exjade | Dispergerbar tablett | 250 mg | Blisters, 84 tabletter | 060569  | 9892,39   |
| Exjade | Dispergerbar tablett | 250 mg | Blisters, 28 tabletter | 041023  | 3297,46   |
| Exjade | Dispergerbar tablett | 500 mg | Blisters, 84 tabletter | 060560  | 19784,77  |
| Exjade | Dispergerbar tablett | 500 mg | Blisters, 28 tabletter | 041032  | 6594,92   |

**UTREDNING I ÄRENDET**

Exjade (deferasirox), dispergerbar tablett, är ett säräkemedel som används vid kronisk järnupplagring orsakad av frekventa blodtransfusioner hos patienter med beta-talassemi samt andra anemier (myelodysplastiskt syndrom och sickle cell anemi). Exjade har förstahandsindikation hos patienter med beta-talassemi och andrahandsindikation vid andra anemier. Exjade rörs ut i ett glas vatten och ges en gång dagligen.

Standardbehandling idag ges med läkemedlet Desferal (deferoxamin). Läkemedlet tillförs långsamt under huden (subkutant) t.ex. via bärbar infusionspump. Infusionen sker upp till tolv timmar, fem till sju gånger per vecka.

Dessutom finns läkemedlet Ferriprox (deferipron) som är avsett för behandling av järnöverskott hos patienter med beta-talassemi när deferoxaminbehandling är kontraindicerad eller otillräcklig. Ferriprox ges i tablettform tre gånger per dag.

Exjade har i en randomiserad fas III studie jämförts med Desferal (deferoxamin) hos patienter med beta-talassemi och transfusionsberoende järnupplagring. I studien visades att Exjade inte var sämre än deferoxamin med avseende på sänkning av järnhalten i kroppen (järnkonzentration i både blod och lever). Dock finns inga data på morbiditet och mortalitet. Desferal har visat effekt på morbiditet och mortalitet vid beta-talassemi.

Företaget har gjort en hälsoekonomisk analys där Exjade jämförs med Desferal (deferoxamin) för patienter med beta-talassemi. De båda läkemedlen antas ha likvärdig effekt, givet att följsamheten är god. Behandlingskostnaden är cirka 120 000 kronor högre per år för Exjade

än för Desferal. Administrering av Desferal antas dock orsaka livskvalitetsförluster. Nyttoförlusten av infusionsbehandling relativt peroral behandling antas i modellen vara 0,17 och 0,23 baserat på två s.k. time-trade off studier gjorda på den brittiska respektive australiska allmänheten. Infusionsbehandling antas också leda till sämre följsamhet än peroral behandling. I grundscenariot antas skillnaden till 16 procent.

I grundscenariot beräknas kostnaden per QALY till 473 000 kronor (baserat på en skillnad i nyttoförlust på 0,23) respektive 588 000 kronor (baserat på en skillnad i nyttoförlust på 0,17). Detta resultat är mycket känsligt för variationer i hur administreringsformen påverkar patienternas livskvalitet samt hur följsamma patienterna är till behandlingen.

Landstingens läkemedelsförmånsgrupp har i ett yttrande förordat att Exjade ska ingå i läkemedelsförmånerna. Gruppen har anfört att Exjade är ett värdefullt tillskott och sannolikt en väsentlig utveckling för behandlingen av kroniskt ökad järnupplagring.

Läkemedelsförmånsnämnden har haft överläggning med företaget.

## 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.

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

Även för särlekemedel gäller kriterierna i 15 § för att ett läkemedel ska kunna omfattas av läkemedelsförmånerna. Det sökande företaget ska visa att kriterierna är uppfyllda (8 § samma lag).

Läkemedelsförmånsnämnden gör följande bedömning.

Kroniskt ökad järnupplagring orsakad av frekventa blodtransfusioner är en sjukdom av hög svårighetsgrad. Effekten av Exjade på sänkning av järnhalten i kroppen (järnkonzentration i både blod och lever) bedöms som likvärdig som för läkemedlet Desferal (deferoxamin). Den kliniska dokumentationen är dock begränsad eftersom effekt på morbiditet och mortalitet saknas för Exjade.

Den beredningsform, dispergerbar tablett, som Exjade erbjuder kan uppfattas som mindre krävande än infusionsbehandling med Desferal. Merkostnaden för Exjade är ca 120 000 kronor per år jämfört med Desferal. Om företagets antagande om nyttovinster och följsamhet stämmer så framstår Exjade som kostnadseffektivt. Det finns dock betydande osäkerheter om hur tillgången till peroral behandling påverkar livskvalitetsvinster och följsamhet, och detta gör att också kostnaden per QALY får anses mycket osäker.

Läkemedelsförmånsnämnden finner vid en samlad bedömning att förutsättningarna i 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. är uppfyllda. Osäkerheten i bedömningen av Exjade motiverar emellertid att företaget åläggs att senast den 31 december 2009 inkomma med och redovisa data som beskriver nyttovinster och följsamhet till behandling med Exjade jämfört med Desferal.

## 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, ordförande, fil.dr Ulf Persson, professor Olof Edhag, ekonomie doktor Niklas Zethraeus, överläkare Rurik Löfmark, specialist i allmänmedicin Ingmarie Skoglund, överläkare Gunilla Melltorp, docent Sigurd Vitols, f.d. riksdagsledamot Ingrid Andersson och vice förbundsordförande David Magnusson. Föredragande har varit Magnus Köping-Höggård.

Axel Edling

Magnus Köping-Höggård