

Datum
2009-05-26Vår beteckning
2486/2008**SÖKANDE**DESITIN PHARMA AB
Box 2064
431 02 Mölndal**SAKEN**

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV beslutar att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med 2009-05-27 till i tabellen angivna priser.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Diacomit	Kapsel, hård	250 mg	Plastflaska, 60 kapslar	029596	2485,00	2581,50
Diacomit	Kapsel, hård	500 mg	Plastflaska, 60 kapslar	029608	4844,00	4988,00
Diacomit	PULVER	250 mg	Dospåse, 60 st	029619	2485,00	2581,50
Diacomit	PULVER	500 mg	Dospåse, 60 st	029630	4844,00	4988,00

Villkor

När data från den studie som ska utföras på begäran av den europeiska läkemedelsmyndigheten finns tillgängliga ska företaget redovisa dessa för TLV. Företaget ska då också beskriva hur de nya resultaten påverkar läkemedlets kostnadseffektivitet. Om detta inte skett innan utgången av år 2011 ska företaget i en skrivelse till TLV informera om orsaken till detta.

ANSÖKAN

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

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)
Diacomit	Kapsel, hård	250 mg	Plastflaska, 60 kapslar	029596	2485,00
Diacomit	Kapsel, hård	500 mg	Plastflaska, 60 kapslar	029608	4844,00
Diacomit	PULVER	250 mg	Dospåse, 60 st	029619	2485,00
Diacomit	PULVER	500 mg	Dospåse, 60 st	029630	4844,00

UTREDNING I ÄRENDET

Diacomit (stiripentol) är ett sär läkemedel som är godkänt som tilläggsbehandling till klobazam och valproat vid en mycket ovanlig epilepsisjukdom – allvarlig myoklon epilepsi i barndomen (SMEI, Dravets syndrom).

SMEI debuterar med allvarliga och svårbehandlade generaliserade epileptiska anfall när barnet är mycket ungt. I ett senare sjukdomsskede blir det vanligt med andra typer av epileptiska anfall och det finns risk för kognitiv nedsättning. Ofta är anfällen svåra att förebygga och i de kliniska studier som marknadsföringsgodkännandet av Diacomit är baserat på var anfallsfrekvensen i medeltal cirka 20 i månaden.

Två studier har jämfört tilläggsbehandling med Diacomit med placebo. Grundbehandlingen var valproat och klobazam. Tilläggsbehandling med Diacomit ledde till en halvering av risken för anfall under de två månader studien pågick medan placebo inte gav någon ytterligare effekt.

Behandling med Diacomit ledde till kraftigt förhöjda plasmakoncentrationer av klobazams aktiva metabolit norklobazam och en stor andel av patienterna blev dåsiga och fick sänka dosen klobazam. Samtidigt var den högsta dosen klobazam och valproat som fick ges i placebogruppen begränsad. Det är därför möjligt att effekten av Diacomit kan uppnås enbart genom förhöjd dosering av ordinarie behandling. Den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) har i sitt godkännande av produkten ställt krav på en studie som tydligare visar dess effekt jämfört med placebo vid tilläggsbehandling. Enligt företaget förväntas studien vara klar i slutet av år 2011.

Företaget har bifogat en hälsoekonomisk analys till sin ansökan. Analysen bygger främst på de kostnadsbesparingar som uppkommer inom vården om frekvensen epileptiska anfall vid SMEI minskar. I analysen görs även en ansats till att skatta förändringen i livskvalitet hos patienterna som behandlas med Diacomit.

Kostnaden för behandling med Diacomit är beroende av kroppsvikten och beräknas till mellan 30 000 och 90 000 kronor per år. Givet läkemedlets effekt samt den minskning av direkta

vårdkostnader det kan leda till framstår Diacomit som dominant jämfört med ingen tilläggsbehandling.

Landstingens läkemedelsförmånsgrupp har inte inkommit med något yttrande i ärendet.

SKÄLEN FÖR BESLUTET

Diacomit är ett sär läkemedel. Innan ett läkemedel kan få status som sär läkemedel 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 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. 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.

TLV gör följande bedömning.

Allvarlig myoklon epilepsi i barndomen (SMEI) är en svår sjukdom som också påverkar närstående i hög grad. Sjukdomens svårighetsgrad är hög.

Användningen av Diacomit vid sjukdomen framstår som kostnadseffektiv. Osäkerheten i bedömningen är dock stor. Det beror framförallt på svårigheter att bedöma det kliniska underlaget samt att det är okänt om effekten av Diacomit kvarstår över en längre tid. Den studie som företaget ålagts att genomföra av EMEA kan ge bättre information om läkemedlets kliniska effekt. Mot denna bakgrund ska därför företaget redovisa resultaten från studien när de finns tillgängliga, samt vilken effekt de har på läkemedlets förväntade kostnadseffektivitet.

Sammantaget finner TLV att kriterierna i 15 § är uppfyllda för att Diacomit ska ingå i läkemedelsförmånerna.

Detta beslut har fattats av Nämnden för läkemedelsförmåner hos TLV. Följande ledamöter har deltagit i beslutet. f.d. generaldirektör Axel Edling, professor Per Carlsson, överläkare Eva Andersén-Karlsson, docent Lars-Åke Levin, överläkare Rurik Löfmark, professor Rune

Dahlqvist, docent Ellen Vinge, överläkare Gunilla Melltorp, f.d. riksdagsledamot Ingrid Andersson, vice förbundsordförande David Magnusson. Föredragande har varit Love Linnér. I handläggningen har även deltagit Gustaf Befrits samt Heléne Lindblad Jonsson.

Axel Edling

Love Linnér

HUR MAN ÖVERKLAGAR

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