



Datum
2007-12-21

Vår beteckning
1255/2007

SÖKANDE

Ipsen AB
Kista Science Tower, Färögatan 33
164 51 Kista

SAKEN

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

LÄKEMEDELSFÖRMÅNSNÄMNDENS BESLUT

Läkemedelsförmånsnämnden beslutar att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med 2007-12-22 till i tabellen angivet pris.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr	AIP (SEK)	AUP (SEK)
INCRELEX	Injektionsvätska, lösning	10 mg/ml	Injektion sflaska, 1x4 ml,	106397	5428,00	5583,50

Villkor

Ipsen AB ska senast den 1 mars 2010 till Läkemedelsförmånsnämnden redovisa en beskrivning av de patienter som får läkemedlet i Sverige.

Om företaget ansöker om ny eller ändrad indikation för läkemedlet ska LFN informeras om det.

ANSÖKAN

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

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)
INCRELEX	Injektionsvätska, lösning	10 mg/ml	Injektionsflaska, 1x4 ml,	106397	5428,00

UTREDNING I ÄRENDET

Increlex (mecasermin) innehåller rekombinant insulinliknande tillväxtfaktor-1 (IGF-1). Increlex är godkänt som säräkemedel med indikationen tillväxtstörningar hos barn och ungdomar med svår primär brist på IGF-1.

IGF-1 har en stimulerande effekt på tillväxten av kroppens vävnader, däribland på bentillväxten. Patienter med den svåraste formen av primär IGF-1 brist (Larons syndrom) har en medellängd vid vuxen ålder på cirka 120 centimeter¹. Svår primär brist på IGF-1 kan i vissa fall också leda till ökad risk för framtida sjukdomar som till exempel diabetes, benskörhet och blodfettsubbningar.

Avgränsningen för den godkända indikationen för läkemedlet, -3 standardavvikelse, innebär en slutlig vuxenlängd på cirka 155 centimeter för män och 144 centimeter för kvinnor.

I den studie som låg till grund för EMEAs godkännande ledde daglig behandling med Increlex initialt till en kraftig tillväxtökning hos barn och ungdomar med svår primär IGF-1 brist. Denna ökning avtog något efter de två första åren av behandling, men var ungefär 2 centimeter extra per år fram till puberteten. Den vuxenlängd som uppnåddes efter behandling med Increlex var trots den ökade tillväxten flera standardavvikelse under medellängden i populationen. Den vanligaste biverkningen var lågt blodsocker i samband med administrering av läkemedlet. Effekten av Increlex på risken för följsjukdomar på grund av svår IGF-1 brist har inte studerats. Behandling med Increlex ska avslutas då benens tillväxtzoner sluts, vilket sker i tonåren.

Increlex ges som subkutan injektion två gånger om dagen och dosen är baserad på kroppsvikt. Läkemedelskostnaden blir cirka 70 000 kronor om året för de yngsta, medan kostnaden för patienter i slutet av behandlingen överstiger 300 000 kronor om året.

Företaget har bifogat en hälsoekonomisk modell till ansökan. I modellen görs ett antagande om att en ökad längd som vuxen resulterar i en generellt ökad livskvalitet. Antagandet baserar sig på publicerade livskvalitetsstudier som genomförts på patienter med mindre uttalad kortväxthet. Modellens tidsperspektiv är livslångt och inkluderar enbart kostnader i vården samt livskvalitetseffekter av längd. Baserat på grundantagandet i modellen blir kostnaden per

¹ Laron Z (1999) .Natural history of the classical form of primary growth hormone (GH) resistance (Laron syndrome).J Pediatr Endocrinol Metab. 12 Suppl 1:231-49.

kvalitetsjusterat levnadsår (QALY) cirka 500 000 kronor. Baserat på de livskvalitetsvikter som är bäst underbyggda blir kostnaden närmare 800 000 kronor. Varken potentiella samhällsekonomiska vinster eller en del sjukvårdskostnader, som i vissa fall kan undvikas med behandlingen, är inkluderade i modellen.

Företaget har som mål att alla patienter som behandlas med Increlex i Sverige ska inkluderas i ett uppföljningsregister. Pågående studier kan enligt företaget komma att ligga till grund för en utökning av läkemedlets indikation till ”primär IGF-1-brist”.

Landstingens läkemedelsförmånsgrupp har i ett yttrande till Läkemedelsförmånsnämnden anfört att Increlex bör erhålla ett pris som ligger i nivå med somatropin och andra somatropinagonister.

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.

Det är väl motiverat att behandla svår IGF-1 brist, om bristen leder till kraftigt begränsande kortvuxenhet samt till negativa medicinska effekter. Av vikt vid den bedömningen är att tillståndet är livslångt.

Den hälsoekonomiska modell som bifogats ansökan bedöms som adekvat givet förutsättningarna. Den beräknade kostnaden per QALY får bedömas med hänsyn till att potentiella samhällsliga vinster med behandlingen inte inkluderats. Givet att det är väl motiverat att behandla många av patienterna med svår primär IGF-1 brist, bedöms den kostnad per QALY som läkemedlets användning ger upphov till som rimlig.

Läkemedlet uppfyller således förutsättningarna i 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. Ansökan ska därför bifallas.

Det ovan anförda är baserat på antagandet om att de patienter som kommer att få Increlex i Sverige har svår IGF-1 brist och utan behandling kommer att bli mycket kortväxta vid vuxen ålder. Hållbarheten i dessa antaganden bör visa sig efter att läkemedlet har förskrivits inom läkemedelsförmånerna under en tvåårsperiod. Senast den 1 mars 2010 ska därför företaget

inkomma till Läkemedelsförmånsnämnden med en uppföljning som beskriver den patientgrupp som får läkemedlet. Eftersom alla patienter som behandlas med läkemedlet ska ingå i ett register är förutsättningarna för en sådan uppföljning goda.

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, specialist i allmänmedicin Ingmarie Skoglund, professor Rune Dahlgvist, överläkare Gunilla Melltorp, f.d. riksdagsledamot Ingrid Andersson, förbundsordförande Christina Bergdahl. Föredragande har varit Love Linnér. I handläggningen har även deltagit Andreas Engström och Marianne Aufrecht-Gustafsson.

Axel Edling

Love Linnér