

Datum
2009-12-18Vår beteckning
2608/2009**SÖKANDE**Shire Human Genetic Therapies AB
Svärdvägen 11D
182 33 Danderyd**SAKEN**

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV beslutar att nedanstående licensläkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med 2009-12-19 till i tabellen angivna priser. TLV fastställer det alternativa försäljningspriset till samma belopp som AIP.

Namn	Form	Styrka	Förp.	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Velaglucerase alfa	Ampull	200 IE	1	8 355,00	8 522,00
Velaglucerase alfa	Ampull	400 IE	1	16 711,00	16 878,00

2608/2009

ANSÖKAN

Shire Human Genetic Therapies AB (företaget) har ansökt om att nedanstående licensläkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna och att pris fastställs.

Namn	Form	Styrka	Förp.	AIP (SEK)
Velaglucerase alfa	ampull	200 IE	1 st	8 355,00
Velaglucerase alfa	ampull	400 IE	1 st	16 711,00

UTREDNING I ÄRENDET

Gauchers sjukdom är den vanligaste inlagringssjukdomen och utvecklas på grund av en ärftlig brist på ett enzym. Det finns tre typer av Gauchers sjukdom. Typ I drabbar främst mjälte, lever, benmärg och skelett och kan vara en mycket allvarlig sjukdom. Idag finns ungefär 60 diagnosticerade patienter och av dessa har ca 15-20 personer Gaucher typ 1. Två medicinska behandlingsmetoder är tillgängliga: enzymsättningsterapi samt substratreducerande behandling.

I juni 2009 meddelade företaget Genzyme, som tillhandahåller läkemedlet Cerezyme (imiglukeras), en enzymsättningsterapi för behandling av patienter med Gauchers sjukdom, typ 1, att produktionen av imiglukeras tillfälligt avbrutits. Företaget hade tillsammans med EMEA kommit överens om förändrade behandlingsrekommendationer för patienter med Gauchers sjukdom, som bland annat innebar att vuxna patienter utan kliniska tecken på sjukdomsprogression skulle få minskad dos. I augusti 2009 meddelade Genzyme att företaget endast kunde täcka 20 procent av den globala efterfrågan på imiglukeras till och med årsskiftet.

Velaglucerase alfa är en enzymsättningsterapi under utveckling för behandling av Gauchers sjukdom och har genomgått prövningar på människa i Fas I-III. Önskemål har inkommit från läkare i olika länder om att få tillgång till denna behandling. Shire Human Genetic Therapies AB (Shire HGT) har därför ökat produktionen av velaglucerase alfa. Företaget siktar på ett marknadsgodkännande av preparatet. Stockholm Gaucher Center har kontaktat Shire HGT och diskuterat möjligheten för svenska patienter att ta del av behandling med velaglucerase alfa under den tid det råder brist på imiglukeras och fram till att velaglucerase alfa har fått sitt marknadsgodkännande.

Sverige har fått en allokering av velaglucerase alfa för att tillgodose behovet för fem patienter med Gauchers sjukdom, typ 1, under fjärde kvartalet 2009 och fram till marknadsgodkännande av EMEA, beräknat till september/oktober 2010. Förskrivning av velaglucerase alfa till fem patienter innebär frigörande av imiglukeras för en del av de patienter som står på reducerad dos.

Imiglukeras ingår i förmånen och omfattas av systemet för solidarisk finansiering. Imiglukeras har ingått i förmånen sedan år 1999 dvs. innan LFN bildades, och därmed inte genomgått kostnadseffektivitetsprövning. Imiglukeras förskrivs oftast på recept.

2608/2009

Velaglucerase alfa har utvärderats i några prekliniska och Fas I-III studier. Kliniskt signifikanta förbättringar har enligt företaget visats på hemoglobin, trombocyter samt storlek på lever och mjälte. Andra parametrar förbättrades också vid behandling. Velaglucerase alfa tolererades väl både av behandlingsnaiva patienter och av patienter som flyttats över från annan enzymsättningsterapi.

Doserna av imiglukeras som ges till patienter i Sverige kan variera men bedömningen från Shire HGT är att velaglucerase alfa kommer att ges i samma doser som patienterna skulle ha erhållit med imiglukeras. Företaget har antagit att de fem aktuella patienterna behandlas med 60IE/kg varannan vecka men inte uppgivit om patienterna är barn eller vuxna.

Läkemedlet ges som intravenös infusion vilket innebär sjukvårdskostnader utöver kostnaden för själva läkemedlet. Dessa kostnader skiljer sig inte från motsvarande kostnader vid behandling med imiglukeras.

Velaglucerase alfa finns som ampuller om 200 IE samt 400 IE. Nedanstående tabell visar en prisjämförelse med imiglukeras:

AUP (SEK)	200 IE	400 IE
Imiglukeras	8 522,50	16 878,00
Velaglucerase alfa	8 522,00	16 878,00

Årskostnaden för behandling av en patient som väger 70 kg med 60IE/kg kroppsvikt varannan vecka är 4,6 miljoner kronor. Om patienten väger 30 kg blir årskostnaden 2 miljoner kronor och om patienten väger 10 kg blir årskostnaden 660 000 kronor. Årskostnaden blir densamma för behandling med imiglukeras om samma doser och doseringsintervall används.

SKÄLEN FÖR BESLUTET

För att en patient ska få velaglucerase alfa måste Läkemedelsverket först bevilja licens. Även för licensläkemedel gäller att de förutsättningar som anges i 15 § lagen (2002:160) om läkemedels- förmåner m.m. ska vara uppfyllda.

Enligt 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. ska ett receptbelagt läkemedel omfattas av läkemedelsförmånerna och inköpspris 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.

2608/2009

Generellt beviljas licens endast om en patient inte uppnått tillfredsställande behandlingsresultat med godkända läkemedel. I detta fall gäller licensen under en begränsad tid och till ett begränsat antal patienter, för att tillfälligt ersätta annan behandling.

Med anledning av detta kan det inte anses vara rimligt att nu göra mer än en översiktlig bedömning av kostnadseffektiviteten. Behandlingskostnaden är hög men priset på velaglucerase alfa är detsamma som för den behandling som velaglucerase alfa ska ersätta.

Vid en sammanvägning av kriterierna i 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. finner TLV att förutsättningarna i detta fall är uppfyllda för att velaglucerase alfa ska få ingå i läkemedelsförmånerna i egenskap av licensmedel. Ansökan ska därför bifallas.

Shire HGT anger att företaget i samband med maknadsgodkännande kommer att ansöka till TLV om att velaglucerase alfa ska ingå i förmånssystemet. TLV kommer då att göra en förutsättningslös utredning och i den hälsoekonomiska utvärderingen kommer behandling med velaglucerase alfa att jämföras med såväl alternativa terapier som med situationen då ingen behandling ges.

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.

Detta beslut har fattats av Läkemedelsförmånsnämnden 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, specialist i allmänmedicin Ingmarie Skoglund, professor Rune Dahlqvist, överläkare Mikael Hoffmann, överläkare Gunilla Melltorp, f.d. riksdagsledamot Ingrid Andersson, förbundsordförande Christina Bergdahl, professor Mats Bergman. Föredragande har varit Maria Storey. I handläggningen har även Catharina Strömbäck deltagit.

Axel Edling

Maria Storey