

BESLUT

Datum
2015-04-20

Vår beteckning
701/2015

SÖKANDE

Orphan Europe Nordic AB
Isafjordsgatan 30C plan 3
164 40 Kista

SAKEN

Ansökan inom läkemedelsförmånerna; fråga om prishöjning

BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV, bifaller ansökan om prishöjning inom läkemedelsförmånerna för Carbaglu och fastställer det nya priset enligt tabell nedan. Det nya priset gäller från och med 2015-05-01. TLV fastställer det alternativa försäljningspriset till samma belopp som AIP.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Carbaglu	Dispergerbar tablett	200 mg	Plastburk, 60 tabletter	014889	44 500,00	44 667,00

ANSÖKAN

Orphan Europe Nordic AB (företaget) har ansökt om prishöjning för Carbaglu i enlighet med tabell på s. 1.

UTREDNING I ÄRENDET

Carbaglu är ett säräkemedel. Innan ett läkemedel kan få status som säräkemedel 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.

Carbaglu används för att behandla den mycket ovanliga sjukdomen hyperammonemi hos patienter som saknar enzymet N-acetylglutamatsyntas (NAGS). Personer med NAGS-brist kan inte bryta ned och utsöndra ammoniak. Ammoniak ansamlas i blodet, vilket är giftigt för kroppen och särskilt för hjärnan. Patienter med allvarlig, fullständig NAGS-brist utvecklar snabbt höga nivåer av ammoniak i blodet tidigt efter födelsen. Patienter med partiell NAGS-brist (en lindrigare form av sjukdomen) kan få symtom nästan när som helst i livet efter en stressande händelse, såsom en infektion eller en virussjukdom.

Företaget motiverar sin prishöjningsansökan med att Carbaglu är ett säräkemedel som förskrivs kontinuerligt till väldigt få patienter i Sverige. NAGS-brist är sällsynt men potentiellt dödlig. Det finns inga andra godkända läkemedel för denna indikation. Företagets kostnader har ökat varje år, framför allt på grund av ökade produktionskostnader, och priset har höjts i övriga europeiska länder. Om priset inte skulle justeras föreligger det en risk att Sverige inte längre skulle få tillgång till Carbaglu. Carbaglu är till exempel sedan några år tillbaka godkänt i USA där priset är betydligt högre än i Europa.

SKÄLEN FÖR BESLUTET

En begäran om prishöjning enligt 13 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. (förmånslagen) för ett läkemedel som redan ingår i läkemedelsförmånerna måste bedömas mot bakgrunden av att det redan tillhandahålls till ett givet pris. Den kostnad läkemedlet medför svarar mot en viss medicinsk och samhällsekonomisk nytta. En prishöjning av en redan subventionerad produkt kommer då att leda till en högre kostnad för samma nytta. Utformningen av lagstiftningen och uttalanden i förarbetena tyder på att den möjlighet till prishöjning som regleras i förmånslagen bör tillämpas restriktivt. Av verkets *allmänna råd (LFNAR 2006:1) om grunder för prishöjningar på läkemedel* framgår att förutsättningen för att TLV ska bevilja prishöjning för läkemedel som inte ingår i utbytbarhetssystemet är att två kriterier är uppfyllda. Kriterierna som ska vara uppfyllda är att läkemedlet är ett angeläget behandlingsalternativ och att det finns patienter som riskerar att stå utan alternativa behandlingar om läkemedlet försinner från marknaden. Det ska dessutom föreligga stor risk

för att läkemedlet försvinner från den svenska marknaden eller att tillgången kraftigt minskar om prishöjningen inte beviljas.

TLV godtar i regel prishöjningar enbart i fall där det framstår som uppenbart att priset måste höjas, såsom när en angelägen produkt annars riskerar att försvinna som terapival.

TLV gör följande bedömning.

Carbaglu används för att behandla den mycket ovanliga sjukdomen hyperammonemi hos patienter som saknar enzymet N-acetylglutamatsyntas (NAGS). NAGS-brist är en ovanlig, allvarlig sjukdom som har potentiellt förödande konsekvenser.

Carbaglu är ett angeläget behandlingsalternativ för patienter som lider av NAGS-brist. Läkemedlet används för att behandla ett icke bagatellartat tillstånd som innebär risker för patientens liv och framtida hälsa.

Carbaglu är ett sär läkemedel. För sär läkemedel saknas annan tillgänglig terapi alternativt är det aktuella läkemedlet till stor nytta för dem som behandlas med det. Likvärdigt behandlingsalternativ saknas på den svenska marknaden.

TLV bedömer att det finns en risk att läkemedlet försvinner från den svenska marknaden om prishöjningen inte beviljas.

Vid en sammantagen bedömning finner TLV således att det föreligger särskilda skäl att bevilja företagens ansökan. Ansökan ska därför bifallas.

HUR MAN ÖVERKLAGAR

Beslutet kan överklagas hos Förvaltningsrätten i Stockholm. Överklagandet, som ska vara skriftligt, ska ställas till förvaltningsrätten, 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 förvaltningsrätten för prövning om inte TLV själv ändrar beslutet på det sätt som begärts.

Detta beslut har fattats av enhetschefen Karl Arnberg. Föredragande har varit medicinska utredaren Fredrika Rydén. I den slutliga handläggningen har även deltagit Sofia Eintrei.

Karl Arnberg

Fredrika Rydén