

Datum
2016-09-23**Vår beteckning**
3836/2014**SÖKANDE**Amgen AB
Box 706
169 27 Solna**SAKEN**

Uppföljning av beslut inom läkemedelsförmånerna.

BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV, finner att Amgen AB har uppfyllt uppföljningsvillkoret för Nplate (dnr 833/2010).

TLV bedömer att det i dagsläget inte finns någon anledning att inleda en förnyad prövning av dess subventionsstatus.

UTREDNING I ÄRENDET

Bakgrund till uppföljningen

Nplate (romiplostim) beviljades subvention 2010 med villkor. Uppföljningsvillkoret innebar att företaget skulle inkomma med underlag för att visa att Nplate är ett kostnadseffektivt läkemedel i svensk klinisk praxis. Enligt TLV:s tidigare bedömning låg osäkerheten främst i att huruvida åtgången av räddningsmedicinering (i synnerhet intravenösa immunglobuliner) överensstämmer med den i ansökan antagna åtgången.

TLV fann därför att skäl förelåg för att uppställa ett villkor avseende uppföljning och att företaget senast den 31 oktober 2014 skulle redovisa huruvida användningen av Nplate är ett kostnadseffektivt läkemedel i svensk klinisk praxis.

Företagets rapport

Företaget inkom 2014 med sammanställd information för att belysa värdet av Nplate i klinisk praxis. En sammanställning av kliniska studier, såväl de pivotala fas-III studierna och långtidsstudier, samt en ny hälsoekonomisk analys baserad på en modellstudie lämnades in.

TLV:s utredning

Nplate är ett säriläkemedel och utgjorde vid subventionstillfället en helt ny typ av läkemedel för behandling av vuxna patienter som lider av kronisk primär immunologisk trombocytopeni (ITP). Nplate verkar genom att stimulera bildningen av nya trombocyter vilket skiljer sig från tidigare terapier som hämmar immunförsvarets aktivitet. Nplate ges intravenöst.

Det relevanta jämförelsealternativet för Nplate är, i enlighet med tidigare bedömning, den standardbehandling som erbjuds (ingen behandling). Kliniska studier har visat att Nplate är mer effektivt än ingen behandling genom att öka trombocytantalet (definierat som antalet patienter som uppnådde en trombocyt nivå $50 \times 10^9 / l$ under åtminstone sex av de sista åtta veckorna under studietidens 24 veckor) och minska förekomsten av blödningar hos patienter med ITP.

Det finns kliniska långtidsstudier (femårsdata) som bekräftar resultaten av de kliniska studierna som låg till grund för det initiala subventionsbeslutet. Långtidsdata visade att andelen patienter som uppnådde tillräckligt höga trombocyt nivåer ökade och låg på en stabil nivå. Långtidsdata har visat att behovet av räddningsmedicinering minskar över tid och att risken för allvarlig blödning minskade vilket resulterar i färre sjukhusinläggningar. Resultaten från de publicerade studierna visar att Nplate har en bättre klinisk behandlingseffekt i jämförelse med ingen behandling och att effekten var ihållande.

Företaget har inkommit med en hälsoekonomisk analys för att påvisa huruvida Nplate är kostnadseffektivt i jämförelse med alternativet ingen behandling. Läkemedelskostnaden är visserligen högre för Nplate jämfört med ingen behandling. Dock är den totala kostnaden för ingen behandling högre när data extrapoleras över tid på grund av att patienterna tillbringar längre tid i hälsotillstånd som i högre utstäckning kräver akut behandling med så kallad räddningsmedicinering och inläggning på sjukhus i jämförelse med Nplate. Placebogruppen drabbas även i högre utsträckning av blödning, vilket bidrar till att den totala kostnaden för ingen behandling blir högre jämfört med Nplate.

SKÄLEN FÖR BESLUTET

TLV gör följande bedömning

Den enskilt största parametern som har betydelse för resultatet i den hälsoekonomiska analysen är effekten på allvarlig blödning, som resulterar i sjukhusinläggning och behovet av akut räddningsmedicinering. Det finns långtidsdata som bekräftar resultaten av de kliniska studierna som låg till grund för det initiala subventionsbeslutet. Långtidsdata har visat att andelen patienter som uppnådde tillräckligt höga trombocytnivåer ökade, blödningssymptom minskade samt att användningen av räddningsmedicinering minskade. TLV:s bedömning är att Nplate är kostnadseffektiv i jämförelse mot ingen behandling, och är inom ramen för vad som är acceptabelt givet den höga svårighetsgraden, i enlighet med tidigare bedömning.

Med anledning av uppföljningsvillkoret från 2010 bedömer TLV att företaget har uppfyllt uppföljningsvillkoret för läkemedlet Nplate och att det i dagsläget inte finns någon anledning att inleda en förnyad prövning av dess subventionsstatus.

Detta beslut har fattats av Nämnden för läkemedelsförmåner hos TLV. Följande ledamöter har deltagit i beslutet: Generaldirektören Stefan Lundgren (ordförande), överläkaren Margareta Berglund Rödén, oppositionslandstingsrådet Dag Larsson, professorn Per Carlsson, förbundsordföranden Elisabeth Wallenius, professorn/överläkaren Susanna Wallerstedt och fd läkemedelschefen Karin Lendenius. Ärendet har föredragits av hälsoekonomisk utredare Nathalie Eckard. I den slutliga handläggningen har även hälsoekonomen Gustav Lanne och juristen Annica Willner deltagit.

Stefan Lundgren

Nathalie Eckard