

Frågor och svar Repatha

Vad har TLV beslutat?

Vi har beslutat att Repatha inte ska ingå i högkostnadsskyddet.

Varför säger ni nej till ansökan?

- Repatha sänker nivån av skadligt kolesterol, så kallat LDL-kolesterol, i blodet effektivt, men det finns ännu inga studier publicerade som visar hur mycket Repatha minskar förekomsten av hjärt-kärlsjukdomar.
- Kostnaden för Repatha är hög och det är inte visat vilken nytta behandlingen har.
- Hur stor nytta behandling med Repatha ger är osäkert och varierar för olika patientgrupper. Osäkerheten beror på främst på att risken av att drabbas av hjärt-kärlhändelser hos olika patientgrupper inte är känd. Dessutom finns ännu inte några studier publicerade som visar hur mycket Repatha sänker förekomsten av hjärt-kärlsjukdom och död.
- Det antal patienter som Repatha är godkänt för är cirka 340 000. För många patienter är befintlig behandling med statiner och andra blodfettssänkande läkemedel tillräckligt och de har därmed inte behov av Repatha. Idag behandlas cirka 26 000 patienter med läkemedlet Ezetrol, som liksom Repatha är en tilläggsbehandling till statiner. Om dessa 26 000 patienter skulle få Repatha istället skulle det kunna få mycket stor påverkan på landstingens läkemedelsbudget och därmed är risken stor för undanträngningseffekter.
- Det är svårt att säkerställa att endast patienter med störst behov av ett ytterligare behandlingsalternativ för höga blodfetter skulle få Repatha. Risken är stor att patienter som inte har lika stor nytta av behandling med Repatha kommer få läkemedlet. Eftersom kostnaden för Repatha är så hög skulle det kunna få stor budgetpåverkan och riskera att tränga undan annan angelägen hälso- och sjukvård.
- För de flesta patienter skulle Repatha vara en livslång behandling med hög kostnad. När kostnaderna är höga ställs större krav på att företaget ska visa på vilken nytta behandlingen har och att osäkerheterna inte är för stora. Läkemedelsföretaget har inte visat att nyttan motsvarar den höga kostnaden.

Varför begränsar vi inte subventionen till de patienter som verkligen behöver den här behandlingen?

- Utgångspunkten är att produkter får generell subvention. Om det finns särskilda skäl kan vi besluta att begränsa subventionen till exempel till vissa patientgrupper.
- En förutsättning för en sådan begränsning är att den går att förstå och efterleva ute i vården och att den kan följas upp via register för att säkerställa att rätt patienter får

behandlingen. Det är mycket få patienter för vilka Repatha eventuellt är en kostnadseffektiv behandling, men den potentiella patientgruppen (patienter med högt LDL-kolesterol) är mycket stor (över 300 000). Det talar starkt emot att begränsa subventionen till en så liten grupp patienter.

- En begränsning för Repatha skulle också bli komplicerad och svår att kommunicera till vården. I dagläget kan de register som finns inte heller användas för uppföljning.
- Vi bedömer därför att risken är stor att en begränsning till de fåtal patienter där priset eventuellt motsvarar nyttan, inte skulle följas i vården. Konsekvensen skulle då bli stor budgetpåverkan och behandling med Repatha skulle tränga undan annan angelägen hälso- och sjukvård till patienter som har större behov.

Hur ska de som verkligen behöver Repatha få läkemedlet?

Landstingens så kallade NT-råd kommer att ge ut en rekommendation där det framgår hur landstingen kan hantera de patienter där det är motiverat att behandla med Repatha även om det inte ingår i högkostnadsskyddet.

Vad har TLV kommit fram till när det gäller Repatha? Att kostnaden för behandling med Repatha inte står i rimlig relation till den nytta läkemedlet antas ge, givet den osäkerhet som finns om Repathas effekt på hjärt-kärlsjukdom.

Varför har TLV utrett Repatha?

Vi har utrett Repatha eftersom företaget som marknadsför läkemedlet lämnat in en ansökan om att Repatha ska ingå i högkostnadsskyddet. Det är företagen som själva bestämmer vilket pris de ansöker om. Utifrån det priset tar TLV ställning till om läkemedlet tillför en nytta som motsvarar det pris som begärts för läkemedlet.

TLV:s beslut vilar på hälso- och sjukvårdens tre grundläggande etiska principer, det vill säga:

- Människovärdesprincipen, att vården ska respektera alla människors lika värde,
- behovs- och solidaritetsprincipen, att de som har de största medicinska behoven ska ha mer av vårdens resurser än andra patientgrupper samt
- kostnadseffektivitetsprincipen, att kostnaderna för att använda ett läkemedel ska vara rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter.

Hur många patienter berörs?

Repatha är godkänt för behandling av höga blodfetter. Idag behandlas över 800 000 för höga blodfetter i Sverige. Cirka 340 000 av dessa patienter når inte sina målvärden och skulle kunna bli aktuella för behandling med Repatha. Antalet personer med heterozygot familjär hyperkolesterolemi uppskattas vara cirka 30 000 till 50 000 i Sverige. Det finns också runt 10 patienter med den ovanliga diagnosen homozygot familjär hyperkolesterolemi.

Vad behandlar Repatha?

Repatha är godkänt för behandling av högt LDL-kolesterol och blandade blodfettsrubbningsar, som tillägg till kostomläggning. Förstahandsvalet vid behandling av högt LDL-kolesterol är statiner. Repatha ska användas i kombination med andra blodfettssänkande läkemedel eller ensamt (monoterapi) för de patienter som inte tål statiner.

Vilka alternativa läkemedel finns det istället för Repatha?

Grundbehandlingen vid högt LDL-kolesterol är statiner. Förutom statiner kan man lägga till behandling med Ezetrol. Övriga behandlingsalternativ är kolesterolabsorptionshämmare eller resiner. För mycket kraftigt förhöjda LDL-nivåer är LDL-aferes ett behandlingsalternativ. LDL-aferes innebär att blodet renas från kolesterol utanför kroppen (ungefär som dialys).

Vilken samverkan har TLV haft med andra myndigheter i ärendet?

TLV har tagit del av både Socialstyrelsens riktlinjer för hjärtsjukvård från 2015 och Läkemedelsverkets behandlingsrekommendationer från 2014.

Hur har TLV kvalitetssäkrat de bedömningar som ligger till grund för verkets beslut?

Två kliniska experter har deltagit i utredningen. Vi har haft en dialog med landstingen som kontinuerligt har fått information om utredningen. Vi har även en intern kvalitetsgranskning av underlag och beslut.

Har ni haft kontakt med patienter under utredningen?

Vi har träffat berörda patientorganisationer under utredningen och informerat dem generellt om TLV:s uppdrag och om hur vårt arbete går till. De har också fått information om att TLV fått en subventionsansökan för Repatha. I Nämnden för läkemedelsförmåner, som är de som fattar beslutet, finns även patientföreträdare representerade.

Det kommer ju fler liknande läkemedel inom kort, kommer ni att säga nej till dem också?

Varje ansökan bedöms utifrån det underlag som företaget skickar in till TLV. Viktiga parametrar i underlaget är priset och den visade nyttan. När företagen genom kliniska studier kan visa vilken effekt dessa läkemedel har på förekomsten av hjärt-kärlsjukdomar och död kommer osäkerheten i de hälsoekonomiska bedömningarna att minska. Det går i nuläget inte att svara på hur framtida beslut blir.

Kan man överklaga ett beslut?

Subventionsbeslut kan överklagas till förvaltningsrätten. Det är företaget som marknadsför en produkt som kan överklaga. I detta fall Amgen.

TLV brukar räkna på QALY-kostnad. Vad betyder det när det gäller Repatha?

För att kunna ta hänsyn till både läkemedlets effekter på livslängd och livskvalitet används begreppet QALY (kvalitetsjusterade levnadsår). Hälsoekonomiska utvärderingar är en bedömning av den nytta en behandling har för patienten och samhället i förhållande till kostnader för behandlingen.