

**Datum**  
2013-04-29**Vår beteckning**  
3684/2012**SÖKANDE**Novo Nordisk Scandinavia AB  
Box 50587  
202 15 Malmö**SAKEN**

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

**BESLUT**

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV avslår ansökan om att NovoThirteen, pulver och vätska till injektionsvätska, lösning ska få ingå i läkemedelsförmånerna.

## ANSÖKAN

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

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)
NovoThirteen®	Pulver och vätska till injektionsvätska, lösning	2500 IE	1 st	169925	172496,00

## UTREDNING I ÄRENDET

NovoThirteen innehåller den aktiva substansen catridecacog, som är identisk med human koagulationsfaktor XIII, ett enzym som är nödvändigt för att blodet ska levra sig (koagulera).

NovoThirteen, rekombinant koagulationsfaktor XIII (rFXIII), används för att förebygga blödningar hos patienter från 6 års ålder, som har medfödd brist på faktor XIII. NovoThirteen ersätter bristen på faktor XIII och bidrar till att stabilisera den initiala blodproppen genom att bygga upp ett nät runt den.

Faktor XIII består av två FXIII A-subenheter och två FXIII B-subenheter, där FXIII B-subenheten fungerar som bärarmolekyl till FXIII A-subenheten. När FXIII aktiveras av trombin i samband med skada åtskiljs FXIII A-subenheten och FXIII B-subenheten. Därefter stabiliserar FXIII A-subenheten fibrinnätverket, vilket ger en ökad mekanisk hållfasthet och motstånd mot nedbrytning av koaglet.

Rekommenderad dos är 35 internationella enheter (IE) per kilo kroppsvikt en gång i månaden. Läkemedlet ska administreras långsamt, högst 2 ml per minut i form av en intravenös bolusinjektion.

I registreringsstudien som pågick i 52 veckor undersöktes 41 patienter med faktor XIII-brist avseende den hemostatiska (blodstillande) effekten av rFXIII, uttryckt som antalet blödningsepisoder som måste behandlas med FXIII-preparat. Doseringen var 35 IE per kilo kroppsvikt en gång i månaden. Hos fyra patienter inträffade fem blödningsepisoder som krävde behandling med FXIII-preparat.

Företaget anger att plasmabehandling vid behov är relevant jämförelsealternativ till NovoThirteen.

Företaget har inkommit med en hälsoekonomisk modell. Det är en probabilistisk kohortbaserad beslutsmodell av Markovtyp med fyra separata hälsotillstånd som följer patienterna livet ut. Varje tillstånd är associerat med olika livskvalitet och kostnader. Sannolikheterna för övergång till ett annat tillstånd beror av den behandling patienterna får. Population och effekt har hämtats från den kliniska prövningen. Livskvalitetsvikter har hämtats från annan medicinsk litteratur.

3684/2012

Ett antal kostnader inkluderas i modellen, bland annat för behandling, hjärnblödning, akutvård, produktionsbortfall och indirekta konsumtionseffekter till följd av ökad överlevnad. Företaget har dock inte inkluderat kostnaden för den ytterligare ampull som tillkommer för behandling av patienter som väger över 70 kg.

Enligt företagets modellering uppgår kostnaden per kvalitetsjusterat levnadsår till 2,9 miljoner kronor.

Landstingens läkemedelsförmånsgrupp har inte kommit med något yttrande.

TLV har haft överläggningar med företaget.

### **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.

TLV gör följande bedömning.

NovoThirteen, rekombinant koagulationsfaktor XIII (rFXIII), används för att förebygga blödningar hos patienter från 6 års ålder, som har medfödd brist på faktor XIII.

TLV bedömer att relevant jämförelsealternativ är plasmabehandling vid behov.

Med hänsyn till att NovoThirteen är en förebyggande behandling för ett kroniskt tillstånd bedömer TLV att behandling med läkemedlet innebär en mycket hög kostnad per QALY. Enligt företagets modellering uppgår kostnaden per kvalitetsjusterat levnadsår till 2,9 miljoner kronor. Därtill har företaget underskattat kostnaden för behandling av läkemedlet genom att inte inkludera kostnaden för den ytterligare ampull som tillkommer för patienter som väger över 70 kg. Företaget har således inte gjort sannolikt att kostnaden för NovoThirteen är rimlig ur medicinskt, humanitärt och samhällsekonomiskt helhetsperspektiv.

TLV finner således vid en samlad bedömning att förutsättningarna i 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. inte är uppfyllda. Ansökan ska därför avslås.

## 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. Nämnden sänder överklagandet vidare till förvaltningsrätten för prövning om inte nämnden själv ändrar beslutet på det sätt som begärts.

Detta beslut har fattats av Nämnden för läkemedelsförmåner hos TLV. Följande ledamöter har deltagit i beslutet: generaldirektör Stefan Lundgren (ordförande), förbundsordföranden Elisabeth Wallenius, läkemedelschefen Maria Landgren, professorn Per Carlsson, docenten Susanna Wallerstedt och läkemedelschefen Karin Lendenius. Föredragande har varit Gunilla Eriksson. I handläggningen har även deltagit hälsoekonomen Martin Eriksson och juristen Marianne Aufrecht Gustafsson.

Stefan Lundgren

Gunilla Eriksson