

**SÖKANDE**

Smerud Medical Research Norway AS  
Drammensvejen 41  
N-0271 Oslo

**SAKEN**

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

**BESLUT**

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV beslutar att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med 2010-03-26 till i tabellen angivna priser. TLV fastställer det alternativa försäljningspriset till samma belopp som AIP.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Firazyr	Injektionsvätska, lösning, förfylld spruta	30 mg	Förfylld spruta, 1 st (30 mg)	146529	18500,00	18667,00

***Begränsningar***

Firazyr ingår i läkemedelsförmånerna endast för akut behandling av svåra anfall av hereditärt angioödem.

***Villkor***

Det marknadsförande företaget ska i all marknadsföring och information om läkemedlet tydligt upplysa om de begränsningar som gäller för förskrivning med subvention.

Företaget ska senast den 31 augusti 2011 redovisa för TLV hur Firazyr används inom läkemedelsförmånerna. Underlaget ska särskilt belysa följande: 1) För vilka typer av anfall Firazyr använts, 2) Antalet patienter som får behandling med Firazyr och 3) Hur mycket läkemedel varje patient använt

## ANSÖKAN

Smerud Medical Research Norway AS (företaget) har ansökt om att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna och att pris fastställs

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)
Firazyr	Injektionsvätska, lösning, förfylld spruta	30 mg	Förfylld spruta, 1 st (30 mg)	146529	18500,00

## UTREDNING I ÄRENDET

Hereditärt angioödem (HAE) är en mycket ovanlig ärftlig sjukdom som innebär brist på ett enzym kallat C1-esterashämmare. Bristen leder att man med varierande frekvens får anfall av svullnader i olika delar av kroppen som obehandlade varar två till fem dagar. Svullnaderna uppstår ofta i huden och kan då vara relativt milda. De uppstår också ofta i mag-tarm-kanalen och kan då vara mycket smärtsamma, och leda till vård på sjukhus. I sällsynta fall uppstår svullnaden i strupen vilket kan vara livshotande.

Firazyr innehåller ikatibant, en selektiv kompetitiv antagonist mot bradykinin 2-receptorn. Kliniska studier visar att behandling med läkemedlet under inledningsperioden av ett anfall ofta leder till att symtomen avtar efter några timmar. Den godkända indikationen för Firazyr är ”Symptombehandling av akuta anfall av HAE hos vuxna”.

Förutom Firazyr finns ett annat läkemedel godkänt för behandling av anfall vid HAE, Berinert. Berinert är ett koncentrat av C1-esterashämmare som utvunnits ur blod. Beroende på dosering kostar en behandling med Berinert mellan ca 14 400 och 28 800 kronor. I TLVs subventionsbeslut för Berinert framgår det att läkemedlet enbart subventioneras för behandling av svåra anfall av svullnader i magen eller strupen, vilket också är läkemedlets sedan tidigare rekommenderade användning.

Baserat på en indirekt jämförelse av fyra randomiserade dubbelblinda studier (två för respektive läkemedel) går det inte att avgöra om Berinert eller Firazyr har en bättre klinisk effekt än alternativet.

Behandling av ett anfall med Firazyr skulle, baserat på det ansökta priset, kosta drygt 20 000 kronor. Som stöd för det priset har företaget genomfört en kostnadsminimeringsanalys där Firazyr jämförs med Berinert. Behandling med läkemedlen ger utöver läkemedelskostnaden upphov till likartade kringkostnader.

Firazyr administreras genom en subkutan injektion och för vissa patienter kommer det att vara enklare att ta läkemedlet. Det finns därför en möjlighet att även mindre svåra anfall kan komma att behandlas med Firazyr. Baserat på en av de fas III studier som låg som underlag för godkännandet av Firazyr har företaget försökt visa att användningen av läkemedlet är kostnadseffektiv även vid behandling av mindre svåra anfall. Utfallet i analysen – som baserar

2733/2009

sig på kostnader och förändringar på en visuell analog skala för smärta – visar inte att kostnaden för läkemedlet är rimlig för att behandla den typen av anfall.

Företaget har även inkommit med en budgetpåverkansanalys. I analysen framgår det att företaget inte förväntar sig att den totala läkemedelskostnaden för behandling av HAE kommer att öka under de kommande åren.

Landstingens läkemedelsförmånsgrupp har i ett yttrande till TLV förordat att Firazyr inte ska ingå i läkemedelsförmånerna. Gruppen har anfört:

I dokumentation för Firazyr anges att preparatet ska administreras av vårdpersonal och inte är avsett för självadministrering. Landstingens läkemedelsförmånsgrupp bedömer därför att Firazyr bör hanteras via rekvisition och tillhandahållas av den vårdpersonal som sedan administrerar preparatet. Detta hindrar inte att preparatet undantagsvis kan förvaras hos patienten om det skulle innebära klara logistiska fördelar. Enligt inlämnad dokumentation förefaller Firazyr kostnadseffektivt jämfört med alternativ terapi.

Landstingens läkemedelsförmånsgrupp har avstått från överläggning med TLV.

## SKÄLEN FÖR BESLUTET

Firazyr är ett Orphan Drug eller sär läkemedel. Innan ett läkemedel kan få status som sär läkemedel 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. Angelägenhetsgraden för dessa läkemedel anses vara hög.

Enligt 15 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. ska ett receptbelagt läkemedel omfattas av läkemedelsförmånerna och inköpspris och försäljningspris ska 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.

Anfallen vid hereditärt angioödem (HAE) varierar i svårighetsgrad från relativt milda till livshotande. Vissa av anfallen kan vara mycket allvarliga. Det är därför viktigt att effektiv behandling finns lätt tillgänglig för de patienter som behöver den.

Behandling av svåra anfall vid HAE med Firazyr förefaller ge liknande klinisk nytta till ett liknande pris i jämförelse med det relevanta jämförelsealternativet Berinert, som ingår i läkemedelsförmånerna.

Enligt TLV finns det en risk att läkemedlet i vissa fall kommer att användas vid behandling av mindre svåra anfall av svullnader. Företaget har inte visat att Firazyr är kostnadseffektivt för denna typ av användning. Då Firazyr, till skillnad från Berinert, är ett nyintroducerat läkemedel där ingen tidigare behandlingspraxis finns etablerad bör användningen av Firazyr inom läkemedelsförmånen begränsas till akut behandling av svåra anfall.

TLV anser att det är angeläget att följa upp hur Firazyr kommer att förskrivas inom läkemedelsförmånerna. Mot den bakgrunden ska företaget senast den 31 augusti 2011 redovisa för TLV hur Firazyr används inom läkemedelsförmånerna och om denna användning överensstämmer med den analys av budgetpåverkan de bifogat ansökan. Om en tydlig andel av användningen då är för områden som inte visats vara kostnadseffektiva kan beslutet komma att omprövas. Denna uppföljning kan använda information från Läkemedelsregistret och eventuellt från det svenska HAE registret.

Sammantaget finner TLV att kriterierna i 15§ i lagen om läkemedelsförmåner är uppfyllda för att Firazyr ska ingå i läkemedelsförmånerna för akut behandling av svåra anfall av hereditärt angioödem.

## HUR MAN ÖVERKLAGAR

Beslutet kan överklagas hos Förvaltningsrätten i Stockholm. Överklagandet, som ska vara skriftligt, ska ställas till Förvaltningsrätten i Stockholm, 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 i Stockholm 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, ekonomie doktor Niklas Zethraeus, professor Rune Dahlqvist, docent Ellen Vinge, f.d. riksdagsledamot Ingrid Andersson, vice förbundsordförande David Magnusson. Föredragande har varit Love Linnér. I handläggningen har även deltagit hälsoekonomen Fredrik Nilsson och juristen Catharina Strömbäck.

Axel Edling

Love Linnér

