



TLV

TANDVÅRDS- OCH

LÄKEMEDELSFÖRMÅNSVERKET

Omprövning av läkemedel vid Gauchers sjukdom

Mars 2012

Gauchers sjukdom

- Gauchers sjukdom är en sällsynt sjukdom som cirka 60 personer i Sverige har.
- Den beror på en ärftlig brist av enzymet glukosylceramidas som har till uppgift att bryta ner en viss form av lipider (fettämnet glukosylceramid) i kroppen.
- Enzymbristen innebär svårigheter för kroppen att på egen hand göra sig av med lipiderna.
- Vid nedsatt enzymaktivitet inlagras glukosylceramid i kroppens organ, framför allt i lever, mjälte och benmärg. Detta leder till varierande symtom såsom förstörd lever och mjälte, skelettpåverkan med smärta och benskörhet samt blodpåverkan med bland annat blodbrist och ökad risk för blödningar.

Behandling

- Behandling av patienter med Gauchers sjukdomen sker i första hand med enzymersättningsterapi med läkemedlen Cerezyme eller Vpriv. I de fall enzymersättningsterapi inte är lämpligt behandlas patienterna med så kallad substratreduceringsterapi med läkemedlet Zavesca.
- Cerezyme ges som intravenös infusion, vanligtvis varannan vecka och under övervakning av sjukvårdspersonal.
- Zavesca är en kapsel som sväljs och tas dagligen.

Omprövning av subvention

- Cerezyme och Zavesca är de två produkter som har indikation för behandling av Gauchers sjukdom och som har ingått i högkostnadsskyddet.
- På grund av de ovanligt höga priserna som företagen begär är läkemedlen inte kostnadseffektiva. Detta trots att läkemedlen tillför stor nytta för patienterna.
- Från och med 1 juni 2012 gäller följande:
 - Cerezyme kommer inte längre att ingå i högkostnadsskyddet
 - Zavesca kommer att få begränsad subvention och kommer inte längre ingå i högkostnadsskyddet för indikationen Gauchers sjukdom

Varför har TLV omprövat subventionen av läkemedel vid Gauchers sjukdom?

- TLV avslog subventionsansökan för läkemedlet Vpriv i maj 2011¹ på grund av att priset var för högt
- Vpriv och Cerezyme har likvärdig effekt och samma pris
- Läkemedelskostnaden för enzymersättningsbehandling är, med nuvarande prissättning, närmare 5 miljoner kronor per vuxen patient och år
- Läkemedelskostnaden för behandling med Zavesca är cirka 900 000 kronor per patient och år
- TLV är självklart beredd att betala mycket mer för att behandla svårare sjukdomar än lindrigare tillstånd. Men i det här fallet tar företagen alldeles för höga priser för att läkemedlen ska kunna ingå i högkostnadsskyddet.

¹ TLV beslut 2 maj 2011, i ärende med dnr 3402/2010

Vilka konsekvenser får besluten?

- **Besluten träder i kraft 1 juni 2012** och från och med detta datum kommer patienterna inte längre kunna hämta ut läkemedlen Cerezyme och Zavesca inom högkostnadsskyddet
- Ansvaret för behandling av patienter med Gauchers sjukdom ligger hos landstingen
- Subventionen för Zavescas andra indikation (Nieman-pick typ C) kvarstår inom högkostnadsskyddet