

# Läkemedel mot Gauchers sjukdom utesluts ur högkostnadsskyddet

**TLV**

TANDVÅRDS- OCH

LÄKEMEDELSFÖRMÅNSVERKET

TLV utesluter läkemedlen Cerezyme och Zavesca ur högkostnadsskyddet vid behandling av Gauchers sjukdom. På grund av de ovanligt höga priserna som företagen begär är läkemedlen inte kostnadseffektiva. Detta trots att läkemedlen tillför stor nytta för patienterna. Besluten träder i kraft 1 juni 2012.

På den svenska marknaden finns idag tre godkända läkemedel för behandling av Gauchers sjukdom; två enzymsättningspreparat (Cerezyme och Vpriv) och ett substratreduceringspreparat (Zavesca). De produkter som ingår i omprövningen är Cerezyme och Zavesca. Vpriv är ett nytt läkemedel som har likvärdig klinisk effekt som Cerezyme. TLV avtog ansökan om subvention för Vpriv i maj 2011 för att Vpriv inte var kostnadseffektivt till det pris företaget begärde. I samband med utredningen av Vpriv-ärendet framkom att även befintliga läkemedel inom högkostnadsskyddet som används vid Gauchers sjukdom har mycket höga behandlingarkostnader. TLV påbörjade därför omprövningen av subvention för Cerezyme och Zavesca.

## Uteslutning ur förmånerna på grund av för höga priser

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. Läkemedelskostnaden per år och vuxen patient för Cerezyme respektive Zavesca är cirka 4,7 miljoner kronor respektive 900 000 kronor. Behandling med Cerezyme och Zavesca är inte kostnadseffektiv och därför kommer produkterna att uteslutas ur högkostnadsskyddet vid indikationen Gauchers sjukdom. Zavesca är dock fortfarande subventionerat vid indikationen Niemann-Pick typ C (ett annat sjukdomstillstånd än Gauchers sjukdom).

## Vad händer efter 1 juni 2012?

Behandlingsansvaret för patienter med Gauchers sjukdom ligger på landstingen även fortsättningsvis.

## Behandlingsalternativ

Gauchers sjukdom går inte att bota, men det finns läkemedel som är till stor hjälp för patienterna och som kompenserar för kroppens brist på enzymet glukosylceramidas. I Sverige sker behandling av Gauchers sjukdom i första hand med enzymsättningssterapi. Enzymsättningssterapi innebär att man tillför kroppen en modifierad form av det kroppsegna enzymet. Det administreras via intravenös infusion. För patienter där enzymsättningssterapi inte är lämplig kan behandling i andra hand ske med substratreduceringssterapi. Substratreducering innebär att mängden substrat (glukosylceramid) minskar i kroppen så att det finns mindre mängd fettämne att bryta ner. Detta administreras via en kapsel som sväljs.

## Sjukdomen

Gauchers sjukdom är en sällsynt sjukdom. I Sverige har cirka 60 personer sjukdomen. 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 en rad symptom såsom förstörd lever och mjälte, skelettpåverkan med smärta och benskörhet samt blodpåverkan med bland annat blodbrist och ökad risk för blödningar. I vissa fall ger sjukdomen även upphov till neurologiska skador. Sjukdomen kan leda till tillstånd med hög svårighetsgrad.

## Besluten träder i kraft 1 juni 2012

### Information på [www.tlv.se](http://www.tlv.se)

Granskningen av läkemedel vid Gauchers sjukdom - [www.tlv.se/gaucher](http://www.tlv.se/gaucher)

Beslutskriterier - [www.tlv.se/principer](http://www.tlv.se/principer)

Omprövningar av läkemedelssortimentet - [www.tlv.se/omprovning](http://www.tlv.se/omprovning)

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

## Därför omprövar TLV redan fattade beslut om subvention

Vårt uppdrag är att besluta om pris och subvention för läkemedel och förbrukningsartiklar för att få ut mesta möjliga hälsa för de skattepengar som går till subvention inom dessa områden. Förutom att fatta beslut om nya produkter går vi igenom det redan subventionerade sortimentet av läkemedel och förbrukningsartiklar och prövar om de som ingår i högkostnadsskyddet ska få behålla subventionen. Vi sorterar ut de produkter som inte ger tillräcklig nytta ställd i relation till vad de kostar. Men det innebär inte att vi enbart ska ha billiga produkter i högkostnadsskyddet. Har läkemedlen större positiva effekter på människors hälsa och livskvalitet och på samhällsekonomin i stort, då kan vi acceptera en högre kostnad.

### Tre principer för beslut

Vid varje beslut om subvention ska vi bland annat bedöma om produkten är kostnadseffektiv. Det innebär att vi väger nyttan av läkemedlet eller förbrukningsartikeln mot kostnaden. I bedömningen ska kostnadseffektivitetsprincipen vägas samman med två andra principer. Det är dels behovs- och solidaritetsprincipen som innebär att de som har de största medicinska behoven ska ha mer av vårdens resurser än andra patientgrupper, dels människovärdesprincipen som innebär att vården ska respektera alla människors lika värde.

### Utredning och analys inför beslut

Innan vi fattar ett beslut genomför vi en utredning och analys av produkternas medicinska effekt och kostnadseffektivitet. Under utredningens gång har vi också kontakt med övriga myndigheter inom hälso- och sjukvårdsområdet, aktuella brukarorganisationer samt de företag som säljer produkterna.

### Det här är TLV

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV, är en statlig myndighet som har till uppgift att pröva om ett läkemedel, en förbrukningsartikel eller en tandvårdsbehandling ska subventioneras av samhället. Vi har också ett uppdrag på den omreglerade apoteksmarknaden. Uppgiften är att bidra till god service och tillgång på apotek utan att kostnaderna stiger för patient och landsting.

Vi arbetar för att få ut mesta möjliga hälsa för skattepengar som går till läkemedel och tandvård.

TLV tar fram informationsmaterial om de beslut vi fattar. Det publicerar vi på [www.tlv.se](http://www.tlv.se). Man kan också få besluten via TLV:s nyhetsbrev. **Registrera dig på [tlv.se/nyhetsmejl](mailto:registrator@tlv.se).**



TANDVÅRDS- OCH LÄKEMEDELSFÖRMÅNSVERKET

Box 22520 [Fleminggatan 7], 104 22 Stockholm

Tel: 08 568 420 50, Fax: 08 568 420 99

[registrator@tlv.se](mailto:registrator@tlv.se), [www.tlv.se](http://www.tlv.se)