



FÖRVALTNINGSRÄTTEN
I STOCKHOLM
 Allmänna avdelningen
 Enhet 12

DOM
 2013-06-14
 Meddelad i
 Stockholm

Mål nr
 7165-12

TIV

2013 -06- 17

KLAGANDE

Genzyme AB, 556570-4771

Dnr.....

Ombud: Advokaterna Sara Nordlund och Helén Waxberg
 Mannheimer Swartling Advokatbyrå AB
 Box 1711
 111 87 Stockholm

MOTPART

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket
 Box 22520
 104 22 Stockholm

ÖVERKLAGAT BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets beslut 2012-03-08, se bilaga 1

SAKEN

Läkemedelsförmån enligt lagen om läkemedelsförmåner m.m.

FÖRVALTNINGSRÄTTENS AVGÖRANDE

Förvaltningsrätten bifaller överklagandet och upphäver Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets beslut.

Dok.Id 314639

Postadress	Besöksadress	Telefon	Telefax	Expeditionstid
115 76 Stockholm	Tegeluddsvägen 1	08-561 680 00 E-post: forvaltningsrattenistockholm@dom.se	08-561 680 01	måndag – fredag 09:00-15:00

YRKANDEN M.M.

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) har beslutat att läkemedlet Cerezyme från och med den 1 juni 2012 inte längre ska ingå i läkemedelsförmånerna. Skälen för beslutet framgår av bilaga 1.

Genzyme AB yrkar att läkemedlet även fortsättningsvis ska ingå i läkemedelsförmånerna, till samma pris som gällde då TLV:s beslut meddelades. Till stöd för sin talan uppger bolaget sammanfattningsvis följande.

TLV:s beslut innebär att det inte längre kommer att finnas något läkemedel inom läkemedelsförmånerna för behandling av Gauchers sjukdom. Utebliven behandling betyder att patienter kommer att dö, vilket också framgår av korrespondensen mellan TLV och en av de medicinska specialister myndigheten själv har anlitat. Detta förhållande redovisas dock inte i TLV:s beslut.

Att en sjukdom är sällsynt definieras enligt Europaparlamentets och Rådets förordning (EG) nr 1411/2000 av den 16 december 1999 om säräkemedel (fortsättningsvis kallad förordningen om säräkemedel) som att högst fem av 10 000 personer i EU lider av sjukdomen. Förekomsten av Gauchers sjukdom är dock cirka ett fall per 50 000-100 000 invånare och år i världen. Gauchers sjukdom är således en "ultra-orphan"-sjukdom.

Läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar kallas för säräkemedel ("orphan drugs") mot bakgrund av att läkemedelsindustrin, givet den begränsade patientpopulationen, skulle ha mycket begränsade incitament att under normala marknadsvillkor utveckla och släppa ett läkemedel på marknaden avsett för dessa patienter. Detta förhållande gäller i än högre grad för "ultra-orphan"-läkemedel, som per definition har en ännu mer begränsad patientpopulation. För att skapa incitament för läkemedelsindustrin

att forska i, utveckla, tillverka och marknadsföra sär läkemedel, har initiativ på såväl nationell som gemenskapsnivå tagits, vilket bland annat resulterat i förordningen om sär läkemedel. I denna anges också att "[p]atienter som lider av sällsynta tillstånd bör ha rätt till samma kvalitet på behandling som andra patienter. Det är därför nödvändigt att främja läkemedelsindustrins forskning, utveckling och försäljning när det gäller lämpliga läkemedel".

Läkemedlet Cerezyme godkändes av Europeiska Kommissionen, genom den dåvarande europeiska läkemedelsmyndigheten EMEA (nu EMA) år 1997, dvs. innan förordningen om sär läkemedel trädde i kraft. Detta innebär att Genzyme inte har haft möjlighet att dra nytta av de fördelar förordningen för med sig och som har tillerkänts andra sär läkemedel som har utvecklats och godkänts sedan förordningen trätt i kraft. På grund av behovet av läkemedelsbehandling av Gauchers sjukdom och den förväntade nyttan med Cerezyme, har dock den Europeiska Kommissionen – genom EMEA – bekräftat att Cerezyme har status motsvarande sär läkemedel.

Gauchers sjukdom är också inkluderad i de sällsynta sjukdomar som omfattas av "[m]eddelande från Kommissionen till Europaparlamentet, rådet, Europeiska ekonomiska och sociala kommittén samt Regionkommittén om sällsynta sjukdomar – Utmaningar för Europa (KOM (2008) 679 slutlig) av den 11 november 2008. I dokumentet anges bl.a. att på grund av sällsyntheten "utgör beslutsfattandet i fråga om prissättning och ersättning flaskhalsar för tillgången till sär läkemedel" samt att "[l]äkemedelsföretagen gör under en lång tid stora investeringar i upptäckt, utveckling och marknadsföring av behandlingar av sällsynta sjukdomar och måste kunna få avkastning på investeringarna". Detta har lett till att rådet under år 2009 antog en rekommendation om "en satsning avseende sällsynta sjukdomar" som undertecknats av alla 27 medlemsstater, inklusive Sverige, med en överenskommelse om en rad politiska åtaganden för att förbättra

tillgången till behandling för de patienter som lider av en sällsynt sjukdom (fortsättningsvis kallad den europeiska rekommendationen).

Utvecklingskostnaderna för ett läkemedel beräknas i allmänhet till storleksordningen 5-10 miljarder kronor. Såvitt avser Gauchers sjukdom, en "ultra-orphan"-sjukdom, ska denna utvecklingskostnad bäras av mycket få patienter. Det vore orimligt att kräva av läkemedelsbolagen att de ska tillhandahålla läkemedel för sällsynta sjukdomar till ett pris som understiger och således inte täcker de utvecklingskostnader som bolagen har haft. Samhällskostnaden för behandling av patienter med sällsynta och mycket sällsynta sjukdomar blir således med nödvändighet mycket hög.

För patienter med mild till måttlig Gauchers sjukdom typ 1 där behandling med ERT (Cerezyme) inte är lämplig kan substratreduceringsterapi (SRT) vara ett behandlingsalternativ. Ett sådant preparat, Zavesca, har också funnits inom läkemedelsförmånerna sedan år 2003. Även det läkemedlet har dock nu – samma dag som Cerezyme – uteslutits från förmånerna. Beslutet varigenom Zavesca en gång tilläts ingå i läkemedelsförmånerna år 2003 är dock av intresse även i detta mål eftersom TLV då gjorde flera principiella uttalanden i fråga om behovet av att tillhandahålla behandling av Gauchers sjukdom. Myndigheten uttalade bl.a. följande.

Det pris som begärs är högt och innebär att kostnaden för den livslånga behandlingen av de få patienter som drabbas av Gauchers sjukdom och som inte kan behandlas med Cerezyme förblir högt. Det är sannolikt att kostnaden per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår vid en behandling med Zavesca blir högre än vad Läkemedelsförmånsnämnden normalt sätt skulle acceptera. De speciella omständigheter och de humanitära skäl i fråga om särlekemedel som kommer till uttryck i förordningen om särlekemedel bör dock vägas in i beslutet. Vid en sådan samlad bedömning kommer nämnden fram till att förutsättningarna enligt 15 § förmånslagen får anses uppfyllda för att Zavesca ska få ingå i läkemedelsförmånerna till det angivna priset.

I TLV:s beslut att utesluta Cerezyme ur läkemedelsförmånerna fokuserar myndigheten enbart på kostnadseffektivitetsprincipen. Att endast ha kostnad/QALY som bedömningsgrund står dock i direkt strid med regleringen i 15 § förmånslagen. Det finns nämligen inte något som helst krav i lagstiftningen att använda kostnad per QALY. Ett mått som enligt TLV:s eget ordval inte alltid är en lämplig bedömningsgrund. Dessutom är såväl människovärdesprincipen som behovs- och solidaritetsprincipen överordnad kostnadseffektivitetsprincipen. Detta innebär bl.a.

- att överväganden som inte kan anses moraliskt acceptabla inte får förekomma,
- att angelägenhetsgraden är av central betydelse,
- att gruppen långvarigt och svårt sjuka ska prioriteras lika högt som patienter med behov av akut livräddande åtgärder,
- att kostnadseffektivitetsprincipen inte får tillämpas på så sätt att vårdens grundläggande uppgifter, förbättrad hälsa och/eller höjd livskvalitet, åsidosätts och
- att kostnadseffektivitetsprincipen endast ska tillämpas när behandlingsmetoderna ger i princip samma resultat.

TLV jämför kostnaden för behandling med Cerezyme med kostnaden för läkemedel mot t.ex. svåra cancertillstånd. Det är dock i grunden felaktigt att göra kostnadseffektivitetsjämförelser mellan läkemedel för behandling av helt skilda sjukdomstillstånd. För det fall en sådan kostnadsjämförelse ska göras, är en mera relevant jämförelse att titta på den sammanlagda kostnaden för behandling av patienter med Gauchers sjukdom inom läkemedelsförmånerna jämfört med t.ex. behandling av svåra cancertillstånd. Det kan då konstateras att den totala offentligfinansierade svenska läkemedelskostnaden för år 2011 var ca 22,9 miljarder kr. Av detta belopp utgjorde kostnaden för läkemedel för behandling av svåra cancertillstånd ca 2,75 miljarder kr och för Gauchers sjukdom ca 76 miljoner kr. Den sistnämnda kostnaden måste anses vara rimlig med tanke på att tillgången till

läkemedelsbehandling för personer med Gauchers sjukdom utgör skillnaden mellan ett drägligt liv och döden.

Såväl den analys som TLV har gjort som det beslut som myndigheten har fattat saknar grundläggande patientperspektiv. Detta är i alla avseenden oetiskt, moraliskt oacceptabelt och i strid med gällande rätt. TLV har dessutom helt bortsett från Sveriges åtagande enligt den europeiska rekommendationen att säkerställa att patienter med sällsynta sjukdomar tillförsäkras högkvalitativ vård inklusive relevant läkemedelsbehandling. Cerezyme är också inkluderat i läkemedelsförmånerna eller respektive lands motsvarighet i nästan alla andra EU-länder, Schweiz och Norge.

Förutsättningarna för subvention för patienter med Gauchers sjukdom är uppfyllda. En korrekt tillämpning av gällande lagstiftning medför att Cerezyme även fortsättningsvis ska vara inkluderat i läkemedelsförmånerna. Någon rättslig grund för att vägra subvention med hänvisning till att landstingen kan tillgodose patienternas behov av behandling finns inte.

TLV bestrider bifall till överklagandet och uppger sammanfattningsvis följande.

Samhällets resurser är inte oändliga. TLV:s uppdrag är att göra öppna prioriteringar. Pengar som går till läkemedel kan alltid användas inom andra områden. Subvention kan inte beviljas för ett läkemedel vars kostnad inte står i rimlig relation till den marginalnytta det tillför. Ett sätt att kvantifiera detta är att beräkna kostnaden per kvalitetsjusterat levnadsår, QALY, för ett läkemedel jämfört med annan behandling.

Vid bedömningen av om ett läkemedel ska subventioneras och ingå i läkemedelsförmånerna utgår förmånslagen från tre nedan angivna etiska principer. Någon rangordning mellan principerna finns inte vad gäller lä-

kemedelsförmånssystemet. Förarbetena till lagstiftningen framhåller däremot att det är angeläget att TLV lägger ett brett helhetsperspektiv och gör en sammanvägning av de angivna kriterierna.

Människovärdesprincipen innebär att vården ska ges med respekt för alla människors lika värde och för den enskilda människans värdighet. TLV:s beslut strider inte mot människovärdesprincipen. Tvärtom skulle det innebära en diskriminering att särbehandla dem som lider av en ovanlig sjukdom i förhållande till dem som lider av en lika svår men mer vanlig sjukdom. Särsläkemedel och läkemedel mot sällsynta sjukdomar ska bedömas med hjälp av samma kriterier som övriga läkemedel. Förmånslagen utgår från att alla måste behandlas lika oavsett anledningen till lidandet genom utgångspunkt från människovärdesprincipen.

Behovs- och solidaritetsprincipen innebär att den som har de största behoven av hälso- och sjukvård ska ges företräde till vården, varvid angelägenhetsgraden att behandla är av central betydelse när det gäller prioriteringar i vården. Av förarbetena framgår att enligt behovs- och solidaritetsprincipen ska förhållandevis mer resurser ges till de mest behövande, till dem med de svåraste sjukdomarna och den sämsta livskvaliteten. Alla resurser kan emellertid inte gå till denna grupp och TLV:s beslut innebär inte att myndigheten har bortsett från behovet att behandla sjukdomar med hög angelägenhetsgrad.

Kostnadseffektivitetsprincipen innebär att en rimlig relation mellan kostnader och effekt, mätt i förbättrad hälsa och förhöjd livskvalitet, bör eftersträvas vid val mellan olika verksamheter och åtgärder. Detta innebär att TLV inte bara tittar på kostnader utan även på nyttan ur ett samhällsperspektiv. TLV har också att bedöma om kostnaden är rimlig utifrån ett medicinskt, humanitärt och samhällsekonomiskt helhetsperspektiv. Kravet på kostnadseffektivitet bör ställas högre vid mindre svåra tillstånd än vid till-

stånd med hög svårighetsgrad. TLV accepterar därför ett högre värde per QALY vid en svår sjukdom eller en livshotande sjukdom, än vid en lindrigare sjukdom. Myndigheten kan dock inte acceptera ett högre värde för en ovanlig sjukdom än en mer vanlig sjukdom om de innebär samma behov och svårighetsgrad. Det finns inte heller i förmånslagen något stöd för att särbehandla sär läkemedel eller läkemedel mot ovanliga sjukdomar. Om betalningsviljan skulle höjas till den nivå som läkemedlet Cerezyme har, medför detta att alla andra läkemedel mot sjukdomar av samma eller högre svårighetsgrad som Gauchers sjukdom också får kosta mer för den marginalnytta det tillför. Detta oavsett om det är ett sär läkemedel eller ej. Detta skulle kräva kraftigt ökade resurser som i så fall måste tas från andra områden.

Av flera domstolsuttalanden framgår att frågan om kostnadseffektivitet och läkemedlets marginalnytta är tätt sammanknutna. Ju större marginalnyttan är, desto högre kan priset vara och ändå bedömas som rimligt. Det innebär att läkemedel vars marginalnytta är liten eller obefintlig, inte kan godkännas för subvention om dess pris anses vara för högt.

Läkemedelskostnaden för Cerezyme är cirka 4 700 000 kr (AUP) per år för en patient som väger 70 kilo och som doseras enligt produktresumén. Kostnaden per QALY är minst 10 000 000 kr. För Cerezyme gör det begärda, mycket höga, priset att kostnaden för behandling räknad som kostnad per QALY blir oacceptabelt hög. Det är svårt att tänka sig en marginalnytta som skulle kunna väga upp detta höga pris. Kostnaden är alltså – trots att Gauchers sjukdom kan leda till tillstånd med hög svårighetsgrad och att Cerezyme har visat god effekt – inte rimlig ur ett medicinskt, humanitärt och samhällsekonomiskt helhetsperspektiv. Av TLV:s praxis framgår dessutom att myndigheten tidigare har bedömt att en rimlig kostnad per QALY för läkemedel mot livshotande sjukdomar kan vara i storleksordningen 500 000 kr till 1 000 000 kr. TLV har också avslagit en an-

sökan om subvention för ett läkemedel mot en mycket svår bröstcancer eftersom företagets hälsoekonomiska analys visade en kostnad på 1 200 000 kr per QALY. Att Cerezyme ska få kosta nära tio gånger mer per QALY än ett läkemedel mot svår cancer framstår inte som rimligt ur medicinskt, humanitärt och samhällsekonomiskt helhetsperspektiv. Om en sådan prisbildning skulle bli praxisbildande innebär det att lagstiftningen om läkemedelsförmåner i princip skulle sättas ur spel och att det i praktiken skulle råda fri prissättning inom förmånerna. Det stämmer inte överens varken med lagstiftningen eller med dess syfte.

Genzyme AB har gjort gällande att subvention av receptbelagda läkemedel enbart ska bedömas enligt förmånslagen. NLT-gruppen (Nya Läkemedels Terapier; en grupp inom Sveriges kommuner och Landsting) har dock gett landstingen klartecken att tillgodose patienternas behov av behandling, trots TLV beslut om uteslutning ur läkemedelsförmånerna. Gruppen har också initierat en upphandling av läkemedel för behandling av Gauchers sjukdom. Enligt TLV:s inenig möjliggör avtalet om ersättning för läkemedelsförmåner som träffats mellan staten och landstingen för landstingen att tillgodose behandlingsbehovet på individnivå. Det är också uppenbart att lagstiftaren faktiskt anser att när ett läkemedel inte anses vara kostnadseffektivt för hela patientgruppen, är det inte ett hinder för att läkemedlet skulle kunna vara kostnadseffektivt för en enskild patient men att detta i så fall faller under landstingets ansvar.

Kammarrätten i Stockholm har inhiberat verkställigheten av beslutet och förordnat att TLV:s beslut inte ska gälla tills förvaltningsrätten ineddlat dom i målet gällande uteslutning av läkemedlet ur läkemedelsförmånerna eller till dess annat förordnats.

SKÄLEN FÖR AVGÖRANDET

Gauchers sjukdom är som TLV redovisat i sitt beslut en ärftlig sjukdom som orsakas av brist på enzymet glukosylceramidas. Brist på detta enzym medför att nedbrytningen av det fettliknande ämnet glukosylceramid inte fungerar och att detta istället ansamlas i vissa celler. Sjukdomen klassificeras normalt i tre huvudgrupper vilka i målet oemotsagt har beskrivits på följande vis.

1. Typ 1 – Icke-neuronopatisk (kallas också ”vuxentypen”)
 - Den vanligaste typen internationellt sett. Cirka 30-40 patienter i Sverige.
 - Yttrar sig i åldrarna 10-70 år.
 - Obehandlade patienter förväntas ha en reducerad livslängd på cirka 9 år.
 - Varierande sjukdomsförlopp, i de flesta fall långsamt progredierande.
 - Vanligtvis ingen påverkan på nervsystemet, i sällsynta fall kan äldre patienter utveckla Parkinsonlika symptom.
 - Mutationen N370S förekommer ofta hos patienterna.
 - Symptom: förstorad lever och mjälte som signifikant tänjer ut patientens buk och som leder till fibrotiska förändringar i både lever och mjälte. Påverkan av blod bilden vad gäller antalet röda blodkroppar (anemi) som leder till trötthet och svaghet, lågt antal blodplättar (trombocytopeni) som ökar patientens risk för svåra blödningar, brist på vita blodkroppar (leukopeni). Efter år av sjukdomsutveckling en ökad risk för blodmaligniteter, påverkan på skelettet i form av benskörhet (osteoporos), smärta, deformationer och benvävnadsdöd (aseptisk nekros) som leder till spontana frakturer, höftbytesoperationer och andra skelettmissbildningar som inte är

reversibla och orsakar betydande sjuklighet och begränsad rörlighet, försenad tillväxt och en sen pubertet hos barn.

- Kan behandlas med enzymsättningsterapi och substratreduceringsterapi.

2. Typ 2 – Akut neuronopatisk (kallas också ”småbarnstypen”)

- Mycket sällsynt. Eventuellt något enstaka fall i Sverige.
- Debuterar tidigt, redan inom ett par månader efter födseln. Barnen dör ofta inom 1-2 år.
- Det finns ingen effektiv behandling för patienterna.

3. Typ 3 – Kronisk neuronopatisk (kallas också ”ungdomstypen”)

- Ovanlig internationellt sett, men relativt hög frekvens i norra Sverige. Cirka 20 patienter i Sverige.
- Debuterar vanligen under barndomen.
- Obehandlade patienter riskerar att dö relativt unga. Uppskattad medianålder för patienter som inte får behandling är 12 år.
- Varierande sjukdomsförlopp med gradvis ökande neurologiska skador.
- Mutationen L444P förekommer hos en stor andel av patienterna.
- Symptom: förutom samma som vid typ 1, även neurologiska symptom såsom svårigheter att snabbt förflytta blicken i sidled, inåtskelling, epilepsi, successivt ökande demens, balanssvårigheter och spastisk spänning i benmusklerna.
- Kan behandlas med enzymsättningsterapi för de ickeneurologiska symptomen, i vissa fall ges substratreduceringsterapi som tilläggsbehandling och undantagsvis sker partiell kirurgisk borttagning av mjälten.

Det finns alltså läkemedel som kan ges till patienter med Gauchers sjukdom typ 1 och 3. Av dessa är Cerezyme det enda som i nuläget ingår i lä-

kemedelsförmånerna. Behandling med läkemedlet Cerezyme medför att sjukdomens progression upphör, att mjält- och levervolymerna minskar, att de hematologiska parametrarna förbättras och att patienterna får påtagligt färre och mindre besvärande skelettkomplikationer. Biverkningar är generellt sett ovanliga och av lindrigare slag. Behandlade patienter har samma genomsnittliga livslängd som friska individer.

TLV har genom det överklagade beslutet uteslutit läkemedlet Cerezyme från läkemedelsförmånerna. Förvaltningsrätten har alltså att ta ställning till om myndigheten har haft fog för detta beslut.

Vilka kriterier som ska vara uppfyllda för att ett läkemedel ska få ingå i läkemedelsförmånerna anges i 15 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. Enligt bestämmelsen ska TLV i sin bedömning utgå från nedanstående tre principer.

1. Människovärdesprincipen Vården ska ges med respekt för alla människors lika värde och för den enskilda människans värdighet
2. Behovs- och solidaritetsprincipen Den som har det största behovet av hälso- och sjukvården ska ges företräde till vården
3. Kostnadseffektivitetsprincipen Kostnaderna för läkemedel ska framstå som rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter

Genzyme AB har i sina yttranden gjort gällande att Cerezyme uppfyller kriterierna för att benämnas som säräkemedel, något som enligt bolaget särskilt bör beaktas vid bedömningen av om läkemedlet ska ingå i läkemedelsförmånerna. Ett säräkemedel definieras i förordningen om säräkemedel som t.ex. ett läkemedel som är avsett för att behandla livshotande till-

stånd eller tillstånd med kronisk funktionsnedsättning och som högst fem av 10 000 personer inom EU lider av. Det EU-gemensamma regelverket kring sär läkemedel är avsett att stimulera forskning om och utveckling av produkter klassificerade som sär läkemedel. Detta mot bakgrund av att vissa tillstånd är så sällsynta, att kostnaderna för att utveckla och släppa ut ett sådant läkemedel på marknaden annars kanske inte täcks av intäkterna från försäljningen. Sär läkemedel ges därför bl.a. ensamrätt på marknaden under en period om tio år. Prövningen av om sär läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna eller inte sker enligt samma regler som för övriga läkemedel (jfr bl.a. SOU 2012:75 s. 300 ff). Däremot ska sjukdomens angelägenhetsgrad beaktas i enlighet med behovs- och solidaritetsprincipen, något som innebär att en högre kostnad kan accepteras för patienter med t.ex. svåra kroniska sjukdomar än för patienter med mindre svåra sådana. Detta även om konsekvenserna då kan bli att alla inte får sina behov tillgodosedda (se Högsta förvaltningsdomstolens avgörande den 14 mars 2008 i mål nr 2713-05).

Kostnadseffektivitetsprincipen anges i förmånslagen innebära att kostnaderna för läkemedel ska framstå som rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter. Principen har i jämförelse med vad som gäller för hälso- och sjukvården i stort, preciserats ytterligare för just läkemedelsområdet. Preciseringen innebär dock inte att lagstiftaren har gett principen en annan betydelse än den haft tidigare, utan tvärtom anges i förarbetena att den står i överensstämmelse med vad regering och riksdagen tidigare har enats om i fråga om prioriteringar inom hälso- och sjukvården (se prop. 2001/02:63 s. 45). Detta innebär att man vid bedömningen av om ett läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna eller inte, inte bara har att beakta förarbetena till förmånslagen, utan också vad riksdag och regering har uttalat i tidigare förarbeten gällande den etiska plattform som gäller vid bedömningar och beslut gällande prioriteringar. Av särskilt in-

tresse för bedömningen i detta mål är följande uttalande i dessa tidigare förarbeten (se prop. 1996/97:60 s. 22).

Ofta blottläggs svåra etiska frågeställningar som försvarar eller omintetgör konsensus om vad kostadseffektivitet är. De oundvikliga värderingsfrågor som uppstår vid avvägning mellan kostnader och effekt kommer till stor del att förbli just värderingar.

Trots dessa svårigheter är en kostnadseffektiv verksamhet något principiellt eftersträvansvärt eftersom det innebär att resurserna används på bästa sätt och att resurserna kan komma flera till del. *Att verksamheten bedrivs kostnadseffektivt får däremot aldrig innebära att man underlåter att ge vård till eller försämrar kvaliteten av vården av döende, svårt och långvarigt sjuka, gamla, dementa, utvecklingsstörda, gravt funktionshindrade eller andra som är i liknande situation* (förvaltningsrättens kursivering).

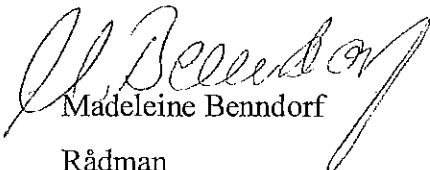
Med det ovan angivna begreppet verksamhet avses sjukvårdens verksamhet i stort, och i detta inbegrips även TLV:s beslut i fråga om läkemedelsförmåner (jfr prop. 2001/02:63 s. 26). TLV har alltså, som en del av hälso- och sjukvården, att beakta om konsekvenserna av myndighetens beslut kan bli sådana som anges i de nyss redovisade förarbetena. Myndigheten kan i denna egenskap enligt förvaltningsrättens mening generellt inte hänvisa till att andra – t.ex. landstingen – ytterst har möjlighet att själva bekosta läkemedlen för att undvika att t.ex. svårt och långvarigt sjuka får en försämrad vårdkvalitet. Detta särskilt inte om sjukdomen i sig har en sådan angelägenhetsgrad att en generell subvention kan vara skälig. Att det kan finnas möjlighet för landstingen att delvis få ersättning för sina kostnader genom avtal om solidarisk finansiering och att Sveriges Kommuner och Landsting i anledning av TLV:s beslut har påbörjat en upphandling av läkemedel mot Gauchers sjukdom, ska mot denna bakgrund inte tillmätas någon avgörande betydelse vid prövningen av om läkemedlet Cerezyme ska uteslutas från läkemedelsförmånerna eller inte. Med detta sagt konstaterar förvaltningsrätten att TLV:s beslut innebär en betydande risk för att adekvat och livsnödvändig behandling undanhålls svårt och långvarigt sjuka och att kvaliteten på vården för dessa människor riskerar att kraftigt försämrats.


Vid dessa förhållanden kan inte läkemedlet Cerezyme, med nu gällande lagstiftning och på de grunder som TLV angett, uteslutas från läkemedelsförmånerna. Läkemedlet ska därför tillåtas vara kvar inom läkemedelsförmånerna.

Överklagandet ska på grund av vad som angetts ovan bifallas på så sätt att TLV:s beslut upphävs.

HUR MAN ÖVERKLAGAR

Detta överklagande kan överklagas. Information om hur man överklagar finns i bilaga 2 (DV 3109/1A).


Madeleine Benndorf
Rådman


Ann-Jeanette Eriksson
Rådman

Nämndemännen Anita Cronstedt, Bo Kahn och Anders Ödmark har också deltagit i avgörandet.

Håkan Jöngren har föredragit målet.

BESLUT

1 (10)

Datum
2012-03-08Vår beteckning
1379/2011

FÖRETAG

Genzyme AB
Box 141 42
167 14 Bromma
Företrädare: Tomas Gloveus

SAKEN

Omprövning av beslut inom läkemedelsförmånerna

BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV, beslutar att läkemedlet Cerezyme från och med den 1 juni 2012 inte längre ska ingå i läkemedelsförmånerna.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Cerezyme®	Pulver till koncentrat till infusionsvätska, lösning	400 IE	1 st	465609	16 711,20 kr	16 878 kr
Cerezyme®	Pulver till koncentrat till infusionsvätska, lösning	200 IE	1 st	156687	8 355,60 kr	8 522,50 kr

SKÄLEN FÖR BESLUTET

TLV kan enligt 10 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. på eget initiativ besluta om att ett läkemedel som ingår i läkemedelsförmånerna inte längre ska ingå i förmånerna. Förutsättningen för detta är att kriterierna för subvention inte är uppfyllda. Om det finns särskilda skäl kan TLV enligt 11 § samma lag också besluta att ett läkemedel ska ingå endast för ett visst användningsområde. Beslutet får även förenas med andra särskilda villkor.

Enligt 15 § i denna lag 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.

De allmänna utgångspunkterna för en prövning av om ett läkemedel ska ingå i förmånerna är människovärdesprincipen samt behovs- och solidaritetsprincipen i hälso- och sjukvårdslagen. Dessa principer har fått närmare utformning i de av riksdagen antagna prioriteringsriktlinjerna för hälso- och sjukvården (prop. 1996/97:60). Till detta kommer principen om kostnads-effektivitet, som också ingår i kriterierna när det gäller att ta ställning till om ett läkemedel ska ingå i förmånerna.

I människovärdesprincipen ligger bland annat att man alltid under alla förhållanden ska betrakta och behandla människan som den hon är utan hänsyn till vad hon eller han gör. Med andra ord får sådant som personers sociala ställning, inkomst, ålder eller begåvning inte vara avgörande vid prioritering. I detta hänseende är ingen förmer än någon annan. Att alla har lika värde räcker dock inte som enda prioriteringsgrund. Det krävs något därutöver. Det är också viktigt att resurserna används där det finns störst behov.

Behovs- och solidaritetsprincipen syftar till att samhällets resurser skall fördelas efter behov. I detta ligger också en strävan att utfallet ska bli så lika som möjligt, dvs. att alla ska nå bästa möjliga hälsa och livskvalitet. Innebörden av behovs- och solidaritetsprincipen är att om prioriteringar måste ske bland effektiva åtgärder ska mer av vårdens resurser ges till de mest behövande med de svåraste sjukdomarna och de med den sämsta livskvaliteten. Solidaritet innebär också att särskilt beakta behoven hos de svagaste. Hit hör exempelvis barn, åldersdementa, medvetlösa och andra som har svårt att kommunicera med sin omgivning. Det sagda gäller även om konsekvenserna då kan bli att alla inte får sina behov tillgodosedda.

De riktlinjer som regeringen lagt fram i den ovan nämnda propositionen och som riksdagen ställt sig bakom utgörs av ett antal breda grupper kliniska exempel. De låter sig inte förenas med någon "lista" där vissa sjukdomar generellt prioriteras före andra. Vården av en och samma sjukdom kan därför under olika stadier ges olika prioritet. Vilken diagnos eller

1379/2011

sjukdom det är fråga om är inte det viktiga. Prioriteringsgrupperna får snarare ses som ett försök att illustrera grunderna för prioritering efter behov och angelägenhetsgrad.

Kostnadseffektivitetsprincipen innebär att man vid valet mellan olika verksamhetsområden eller åtgärder eftersträvar en rimlig relation mellan kostnaderna i form av insatta resurser av olika slag och effekt mätt i förbättrad hälsa och förhöjd livskvalitet.

Vid prövningen av om ett läkemedel ska ingå i förmånerna har TLV att avväga vilka kostnader för användningen av läkemedlet som ter sig rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter. Som framgår av förarbetena till lagen ska denna rimlighetsbedömning göras ur ett brett helhetsperspektiv. Skälet för denna prövning är att alla läkemedel inte per automatik kan ingå i läkemedelsförmånerna. Grundtankarna i förmånssystemet är att samhällets kostnader för läkemedel ska stå i rimlig proportion till den nytta de tillför och att läkemedelskostnaderna inte får medföra att utrymmet för annan angelägen sjukvård minskar. Det innebär att tillgängliga resurser skall användas där de gör bäst samlad nytta och att kostnaden för en viss insats får vägas mot nyttan av insatsen jämfört med kostnad och nytta om resurserna används på annat sätt. Det innebär att man vid begränsade resurser kan tvingas göra prioriteringar. Kravet på kostnadseffektivitet bör generellt ställas högre vid mindre angelägna sjukdomstillstånd än vid mer angelägna (se prop. 2001/02:63 s. 28 och 46).

Om en medicinsk behandling är prisvärd eller inte brukar avgöras genom en kostnadseffektanalys, där behandlingens kostnad vägs mot dess effekter och biverkningar. Den metod som TLV i regel använder för att mäta behandlingseffekter är så kallade kvalitetsjusterade levnadsår (QALY:s). Två olika behandlingar jämförs genom att skillnaden i kostnad ställs i relation till skillnaden i hälsoutfall. Metoden har fördelen att man kan mäta behandlingsvinster i form av både ökad livslängd och livskvalitet för patienten istället för till exempel enbart ökad livslängd.

Av TLV:s allmänna råd om ekonomiska utvärderingar (LFNAR 2003:2) framgår att kostnader och effekter av det aktuella läkemedlet bör jämföras med de i Sverige mest relevanta alternativa behandlingarna (t.ex. det mest använda). Det kan vara läkemedelsbehandling, annan behandling eller ingen behandling alls.

TLV gör i detta ärende följande bedömning.

Gauchers sjukdom är en ärftlig sjukdom som orsakas av brist på enzymet glukosylceramidase. Enzymets uppgift är att bryta ner det fettliknande ämnet glukosylceramid i kroppen. Brist på enzymet medför att nedbrytningen av fettämnet inte fungerar och istället ansamlas fettämnet i vissa celler. TLV bedömer att sjukdomen kan leda till tillstånd som har hög svårighetsgrad.

Cerezyme är ett läkemedel som ges till patienter med Gauchers sjukdom typ 1 och 3. Läkemedlet innehåller substansen imiglukeras och är ett enzymsättningspreparat som är godkänt för långtidsbehandling av patienter med Gauchers sjukdom vilka har icke-neurologiska symptom. Det innehåller rekombinant framställt glukosylceramidase som, då det tillförs kroppen, kompenserar för det kroppsegna enzymets bristande funktion. Utöver

TLV

1379/2011

Cerezyme finns ytterligare en enzymersättningsprodukt, läkemedlet Vpriv. TLV har i maj 2011 avslagit en ansökan om att Vpriv ska få ingå i läkemedelsförmånerna (dnr 3402/2010). Skälet för detta var att Vpriv inte bedömdes vara kostnadseffektivt till det begärda priset.

Vid bedömningen av om ett läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna gör TLV normalt en jämförelse med det mest kostnadseffektiva läkemedlet inom förmånerna. En jämförelse med en annan läkemedelsbehandling innebär att kostnaden för den jämförande behandlingen måste bedömas vara kostnadseffektiv. TLV anser att vid prövning av Cerezyme är inte en jämförelse med Vpriv möjlig eftersom TLV tidigare funnit att Vpriv inte är ett kostnadseffektivt behandlingsalternativ.

I det fall det saknas ett kostnadseffektivt behandlingsalternativ, bör kostnad för uppnådda hälsovinster stå i rimlig relation till att inte ge någon behandling alls (i detta fall avses ingen behandling i form av enzymersättnings- eller substratreduceringsterapi). Jämförelsealternativet till behandling med Cerezyme är därmed symptomlindrande behandling utan enzymersättnings- eller substratreduceringsterapi.

Genzyme AB (nedan kallat företaget) anför att en jämförelse mot ingen behandling eller endast symptomlindrande behandling är irrelevant och oetisk. Företaget har emellertid inte angett något jämförelsealternativ utan enbart redogjort för skillnader mellan Cerezyme och Vpriv.

Företaget har inte redovisat någon kostnad per QALY för behandling med Cerezyme för en vuxen patient som doseras enligt produktresumén i enlighet med nuvarande pris.

TLV bedömer att kostnaden per vunnen QALY för behandling med Cerezyme av en vuxen patient vid dosering enligt produktresumén, jämfört med symptomlindrande behandling utan enzymersättnings- eller substratreduceringsterapi, är minst 10 miljoner kronor. Beräkningar som TLV gjort med halv dosering (30 E/kg) ger en kostnad på minst 4 miljoner kronor per vunnen QALY. Företaget har inte haft några invändningar mot dessa beräkningar.

TLV kan konstatera att till det pris Cerezyme har idag inom läkemedelsförmånerna blir kostnaden per QALY flera gånger högre än den kostnad TLV tidigare accepterat.

Trots att Gauchers sjukdom kan leda till tillstånd med hög svårighetsgrad och att det bara finns ett fåtal patienter i Sverige finner TLV att behandling med Cerezyme inte är kostnadseffektiv till det pris Cerezyme har i dag. Kring denna bedömning råder ingen osäkerhet.

TLV finner vid en samlad bedömning att Cerezyme inte uppfyller förutsättningarna i 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. för att få ingå i läkemedelsförmånerna.

Ker

BAKGRUND

För att ett läkemedel ska få ingå i läkemedelsförmånerna krävs sedan den 1 oktober 2002 att det uppfyller de kriterier som ställs upp i lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m.

Ett av TLV:s uppdrag är att ompröva tidigare fattade beslut om subventionering.

I enlighet med uppdraget har TLV utifrån en uppdelning av läkemedelssortimentet i terapi-grupper genomfört omprövningar i form av flera omfattade genomgångar av läkemedelssortimentet. Från och med år 2010 gör TLV omprövningar av mer begränsade delar av läkemedelssortimentet för att prioritera områden där användningen inom förmånerna inte framstår som kostnadseffektiv.

Den främsta anledningen till att ompröva subventionen av Cerezyme är dock att TLV i maj 2011 fattade ett beslut om att avslå ansökan om subvention för ett nytt enzymsättningspreparat, Vpriv¹. Behandlingskostnaden för Vpriv var i nivå med behandlingskostnaden för Cerezyme. TLV bedömde att Vpriv inte var kostnadseffektivt till det pris företaget begärde och att det därmed inte uppfyllde kriterierna för subvention. Eftersom Cerezyme och Vpriv är mycket lika både avseende kostnader och effekt fann TLV det motiverat att inleda en omprövning av läkemedel som används vid Gauchers sjukdom.

Företaget har anfört att TLV borde invänta den av regeringen tillsatta utredning om en separat prissättningsmodell för sÄrläkemedel som ska presentera sitt förslag under hösten 2012 (Läkemedels- och apoteksutredningen S2011:07).

TLV saknar möjlighet att invänta ett förslag från den av regeringen tillsatta utredningen om hur en prismodell för sÄrläkemedel skulle kunna se ut eftersom TLV i sin verksamhet enbart kan förhålla sig till den lagstiftning som är beslutad av riksdagen.

UTREDNING I ÄRENDET

Sjukdomen och behandling

Gauchers sjukdom är en ärftlig sjukdom som orsakas av brist på enzymet glukosylceramidase. Enzymets uppgift är att bryta ner det fettliknande ämnet glukosylceramid i kroppen. Brist på enzymet medför att nedbrytningen av fettämnet inte fungerar och istället ansamlas fettämnet i vissa celler. Detta sker framförallt i mjälten, levern och benmärgen, men även andra organ kan drabbas. De skador som uppstår till följd av ackumuleringen av fettämnet kan leda till olika symptom och vara av varierande svårighetsgrad. Exempel på vanliga sjukdomsmanifestationer är organförstoring av mjälte och lever, hematologisk sjuklighet samt skelettsjuklighet. I vissa fall ger sjukdomen även upphov till neurologiska skador. Patienter med Gauchers sjukdom upplever ofta en försämrad livskvalitet, vilken till stor del är orsakad av

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

skelettmanifestationer som är förknippade med smärta och funktionsnedsättning. Sjukdomen brukar delas in i tre grupper, typ 1, typ 2 och typ 3, beroende på symptomens svårighetsgrad och förekomst av neurologiska skador.

Sjukdomen är ovanlig och i Sverige finns det cirka 60 patienter som har diagnosen, varav majoriteten står på behandling med Cerezyme idag.

Gauchers sjukdom går inte att bota, men det finns olika behandlingar för att minska symptomen, bromsa sjukdomsförloppet och kompensera för funktionsnedsättningarna.

Behandling av Gauchers sjukdom sker i första hand med enzymsättningsterapi (ERT). ERT syftar till att tillföra kroppen en modifierad form av det kroppsegna enzymet glukosylceramidas. Detta hjälper cellerna att bryta ner glukosylceramid så att inlagring av fettämnet i cellerna kan undvikas. ERT administreras via intravenös infusion (dropp), vanligtvis en gång varannan vecka, och i de flesta fall under övervakning av sjukvårdspersonal. För patienter med Gauchers sjukdom typ 1 där enzymsättningsterapi inte är lämplig kan i andra hand behandling ske med substratreduceringsterapi (SRT). SRT avser att minska mängden snbstrat (glukosylceramid) så att det finns mindre mängd fettämne att bryta ner.

Cerezyme innehåller substansen imiglukeras och är ett enzymsättningspreparat som används vid långtidsbehandling av patienter med Gauchers sjukdom typ 1 och typ 3 vilka har icke-neurologiska symptom. Det innehåller rekombinant framställt glukosylceramidas som, då det tillförs kroppen, kompenserar för det kroppsegna enzymets bristande funktion. Kliniska studier har visat att Cerezyme förbättrar både livskvaliteten och de icke-neurologiska sjukdomsmanifestationerna för patienter med Gauchers sjukdom typ 1 och typ 3. Behandling med Cerezyme medför att mjält- och levervolymerna minskar, att de hematologiska parametrarna förbättras och att patienterna får påtagligt färre och mindre besvärande skelett-komplikationer. Biverkningarna vid behandling är generellt sett ovanliga och av lindrigare slag. Behandlade patienter har samma livslängd som friska individer.

Den rekommenderade doseringen av Cerezyme är enligt produktresumén initialt 60 enheter (E)/kg kroppsvikt en gång varannan vecka. Beroende på hur den individuella patienten svarar avseende relevanta kliniska effektmått ska dosen justeras. Kliniska studier har visat stöd för behandling med 60 E/kg varannan vecka, men även doser ner till 15 E/kg varannan vecka har utvärderats. Studierna visar att enzymbehandling förbättrar effektmåtten hemoglobinkoncentration, trombocytantal, mjält- och levervolym i hög utsträckning. Effekten syns redan efter en kort tids behandling och långtidsstudier visar också att effekterna kvarstår och förbättras ofta kontinuerligt. Hur snabbt patienterna svarar på behandlingen beror dock på vilken dos de får. Det framgår även att enzymterapi minskar skelettsjukligheten så att patienterna vid behandling får ökad benthät, minskad bensmärta och färre benkriser, men att dessa förbättringar tar längre tid att uppnå och kräver högre doser för att ge märkbar effekt.

De experter som medverkat i utredningen har uppgivit att i klinisk praxis får nya patienter vanligtvis en ingångsdos på 60 E/kg kroppsvikt, i enlighet med produktresumén. Experterna har också framfört att dosen bör justeras individuellt och att man bör sträva efter att ha lägsta

effektiva dos. Deras erfarenhet från behandling i Sverige är dock att patienterna många gånger får kvarstå på en hög dos utan att man provar att sänka den.

Företaget anför att det framgår av ICGG² Gauchers registret att underhållsdoserna för patienter är lägre än initialdosen i produktresumén. Genomsnittsdosen i registret för en patient med Gauchers sjukdom typ 1 är 34 E/kg, medan den för en patient med Gauchers sjukdom typ 3 är 52 E/kg kroppsvikt. Värt att notera är dock att uppgifterna gäller genomsnittsdoser internationellt och att de inte representerar genomsnittsanvändningen i Sverige.

Hälsoekonomi

Cerezyme finns i två styrkor, 200 respektive 400 IE (Internationella Enheter). Läkemedelskostnaden för Cerezyme är cirka 4,7 miljoner kronor (AUP) per år för en 70 kilos patient som doseras enligt produktresumén.

Generellt kan sägas att patienter med Gauchers sjukdom har väsentligt lägre hälsorelaterad livskvalitet än friska. Mätt med det generiska livskvalitetsinstrumentet SF-36 uppvisar obehandlade patienter med Gauchers sjukdom lägre hälsorelaterad livskvalitet än en ålders- och könsmatchad frisk referenspopulation.

Kunskapen om kostnader för obehandlad Gauchers sjukdom är låg.

Företaget har gjort kostnadseffektivitetsanalyser i en modell som ursprungligen tagits fram av Connock *et al* men som vidareutvecklats av TLV.

I modellen antar företaget en årlig kostnad för alternativ behandling utan ERT eller SRT på knappt 200 000 kronor. Då antas att obehandlade patienter befinner sig i det svåraste sjukdomsstadiet.

När företaget gjort kostnadseffektivitetsanalyser har de vidare antagit att den förväntade livslängden för patienter med läkemedelsbehandling är 82 år, det vill säga att patienterna har samma livslängd som en frisk referenspopulation, medan obehandlade patienter antas ha nio års förkortad livslängd. Tidpunkt för påbörjad läkemedelsbehandling är på 18-årsdagen. Företaget har vidare antagit att behandling med Cerezyme ger full effekt vilket innebär att livskvaliteten är densamma som för en frisk referenspopulation. I modellen har företaget antagit att patienterna väger 71 kg och att de erhåller en dos på 60 E/kg varannan vecka.

Företaget har inte presenterat någon kostnad per QALY för behandling med Cerezyme med nuvarande pris enligt ovanstående grundantaganden. Däremot har de utfört känslighetsanalyser där de varierat parametrarna dos, diskonteringsränta för kostnader respektive för effekt, överlevnad, indelning i subgrupper och ålder för behandlingsstart. Trots detta hamnar kostnaden per QALY på högre belopp än TLV tidigare accepterat. Kring denna bedömning råder ingen osäkerhet.

² ICGG: International Collaborative Gaucher Group

1379/2011

TLV bedömer att den mest rättvisande siffran resulterar i en kostnad per QALY på 10,3 miljoner kronor. Med antagandet om att samtliga patienter som inte får behandling med Cerezyme genom hela modellen befinner sig i svåraste sjukdomsstadiet samt att inga av dem arbetar, samtidigt som alla patienter med Cerezymebehandling arbetar, leder detta till en påtaglig underskattning av kostnaden per QALY.

Det är viktigt att poängtera att modellen är mycket förenklad och endast ger en grov uppskattning. De känslighetsanalyser som TLV har gjort själva visar att modellen är känslig för pris och dosering.

Synpunkter från företaget

Företaget har anfört att TLV har använt sig av det hälsoekonomiska måttet kostnad per QALY trots att stark kritik kan riktas mot detta mått vid utvärdering av läkemedel av "Ultra-Orphan typ".

Bland annat har den brittiska utvärderingsenheten för läkemedel, NICE, efter sin evaluering av Cerezyme 2005 rekommenderat att läkemedel med en prevalens på mindre än 1 patient per 50 000 invånare skall betraktas som en "Ultra-Orphan" och utvärderas enligt andra principer än "vanliga" läkemedel eller normala "Orphan-Drugs". NICE konstaterar att Cerezyme kvalificerar sig för samtliga dessa krav.

Företaget anför vidare att TLV borde invänta den av regeringen tillsatta utredning om en separat prissättningsmodell för sällsynta läkemedel som ska presentera sitt förslag under hösten 2012 (Läkemedels- och apoteksutredningen S2011:07).

Företaget uppger att de inte förstår varför TLV ska fatta beslut utifrån, enligt företagets mening ett starkt ifrågasatt mått, kostnad per QALY, för en produkt som innebär och har inneburit ett bättre och längre liv för 40-talet patienter i Sverige. Ett förhastat beslut av TLV riskerar att dessa 40 patienter inte kommer att få tillgång till adekvat behandling, eller att regionala skillnader kan komma att uppstå, endast några månader innan en ny och sannolikt mera ändamålsenlig modell kan komma att presenteras. Genom att behålla Cerezyme inom förmånen fram till dess att ett annat system implementeras anser företaget att det säkerställs att det inte uppstår regionala skillnader på tillgång till behandling.

Yttranden

Följande myndigheter och organisationer har fått möjlighet att yttra sig angående innehållet i promemorian: Landstingens läkemedelsförmånsgrupp, Läkemedelsverket, Statens beredning för medicinsk utvärdering, Socialstyrelsen, Morbus Gaucher-föreningen och Riksförbundet sällsynta diagnoser. Följande yttranden har kommit in:

Cel

1379/2011

Landstingens läkemedelsförmånsgrupp, LFG

LFG förordar att Cerezyme inte ska ingå i läkemedelsförmånerna. De anser att Cerezyme har en etablerad plats i behandlingsarsenalen vid behandling av Gauchers sjukdom. När det rör sig om sällsynta läkemedel är det ofta svårt att göra exakta hälsoekonomiska bedömningar men allt talar för att kostnaden per QALY är betydande och vida överstiger de nivåer som anses vara acceptabla. De aktuella patienterna behandlas vid ett fåtal centra i Sverige där behandlande läkare har god kontroll på patienter och behandling. Om preparaten hamnar utanför förmånen kan det i vissa fall vara motiverat med behandling enligt landstingens undantagsrutin.

Läkemedelsverket

Läkemedelsverket anser i likhet med TLV att effekten av Cerezyme har visats vara mycket god och av betydande klinisk relevans. De menar dock att det inte är Läkemedelsverkets roll att bedöma den hälsoekonomiska analysen. De anser vidare att omprövningsförslaget att utesluta farmakologisk behandling av Gauchers sjukdom kommer att få påtagligt negativa kliniska konsekvenserna och poängterar behovet av en förändring av ersättningsmodellen för sällsynta sjukdomar så att medborgarnas rätt till lika vård säkerställs.

Statens beredning för medicinsk utvärdering, SBU

SBU har inga invändningar mot TLV:s förslag att inte subventionera Cerezyme.

Socialstyrelsen

Socialstyrelsen har inte inkommit med några synpunkter.

Morbus Gaucher-föreningen

Morbus Gaucher-föreningen anger att de inte accepterar att Gaucher-patienter som är i vårdkrävande tillstånd blir utan relevant ERT- eller SRT-behandling.

De anser att TLV:s utredning för omprövning i stort sett bara fokuserar på det hälsoekonomiska måttet kostnad per QALY, ett mått vars användning föreningen menar både är vetenskapligt och etiskt ifrågasatt.

Föreningen anser att en tydlig konsekvensanalys av ett eventuellt beslut att utesluta de aktuella läkemedlen från läkemedelsförmånerna definitivt bör ingå och redovisas i utredningarna. Morbus Gaucher-föreningen är oroliga över de praktiska konsekvenser beslutet innebär för de patienter som nu behandlas med Cerezyme.

Föreningen anser också att det vore klokt av TLV att avvakta resultatet av regeringsutredningen om en separat prissättningsmodell för sällsynta läkemedel innan TLV fattar sitt beslut.

Riksförbundet sällsynta diagnoser

Riksförbundet sällsynta diagnoser har inte inkommit med några synpunkter.

TLV har haft överläggning med företaget.

HUR MAN ÖVERKLAGAR

Beslutet kan överklagas hos Förvaltningsrätten i Stockholm. Överklagandet, som ska vara skriftligt, ska ställas till förvaltningsrätten, men ges in till 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. Generaldirektören Stefan Lundgren (ordförande), hälso- och sjukvårdsdirektören Catarina Andersson Forsman, f.d. förbundsordföranden Christina Bergdahl, hälso- och sjukvårdsdirektören Mats Bojestig, professorn Per Carlsson, docenten Susanna Wallerstedt och läkemedelschefen Karin Lendenius. Föredragande har varit den medicinska utredaren Karin Melén. I handläggningen har även deltagit hälsoekonomen Gustaf Befrits och juristen Johanna Mörnefält.



Stefan Lundgren



Karin Melén



HUR MAN ÖVERKLAGAR - PRÖVNINGSTILLSTÅND

Den som vill överklaga förvaltningsrättens beslut ska skriva till Kammarrätten i Stockholm. Skrivelsen ska dock skickas eller lämnas till förvaltningsrätten.

Överklagandet ska ha kommit in till förvaltningsrätten inom tre veckor från den dag då klaganden fick del av beslutet. Tiden för överklagandet för offentligpart räknas emellertid från den dag beslutet meddelades.

Om sista dagen för överklagandet infaller på lördag, söndag eller helgdag, midsommarafton, julafton eller nyårsafton räcker det att skrivelsen kommer in nästa vardag.

För att ett överklagande ska kunna tas upp i kammarrätten fordras att prövningstillstånd meddelas. Kammarrätten lämnar prövningstillstånd om det är av vikt för ledning av rättstillämpningen att överklagandet prövas, anledning förekommer till ändring i det slut var till förvaltningsrätten kommit eller det annars finns synnerliga skäl att pröva överklagandet.

Om prövningstillstånd inte meddelas står förvaltningsrättens beslut fast. Det är därför viktigt att det klart och tydligt framgår av överklagandet till kammarrätten varför man anser att prövningstillstånd bör meddelas.

Skrivelsen med överklagande ska innehålla

1. den klagandes namn, personnummer, yrke, postadress och telefonnummer. Dessutom ska adress och telefonnummer till arbetsplatsen och eventuell annan plats där klaganden kan nås för delgivning lämnas om dessa uppgifter inte tidigare uppgetts i målet. Om någon person- eller adressuppgift ändras är det viktigt att anmälan snarast görs till kammarrätten,
2. det beslut som överklagas med uppgift om förvaltningsrättens namn, målnummer samt dagen för beslutet,
3. de skäl som klaganden anger till stöd för begäran om prövningstillstånd,
4. den ändring av förvaltningsrättens beslut som klaganden vill få till stånd,
5. de bevis som klaganden vill åberopa och vad han/hon vill styrka med varje särskilt bevis.

Skrivelsen ska vara undertecknad av klaganden eller hans ombud. Adressen till förvaltningsrätten framgår av beslutet. Om klaganden anlitar ombud ska denne sända in fullmakt i original samt uppge sitt namn, adress och telefonnummer.