

Underlag för beslut i regionerna

En samlad bedömning av Onpattro och Tegsedi

Samlad bedömning av Onpattro och Tegsedi för vuxna patienter med ärftlig transtyretinamyloidos.

TLV har, efter önskemål från NT-rådet, tagit fram en samlad bedömning av Onpattro och Tegsedi för behandling vuxna patienter med ärftlig transtyretinamyloidos (Skelleftesjukan). I den samlade bedömningen vill TLV belysa de skillnader som finns mellan läkemedlen, som båda är klassificerade som sär-läkemedel.

Godkänd indikation för Onpattro är: Onpattro är avsett för behandling av ärftlig transtyretinamyloidos (hATTR amyloidos, Skelleftesjukan) hos vuxna patienter med polyneuropati i stadium 1 eller 2.

Godkänd indikation för Tegsedi är: Tegsedi är avsett för behandling av polyneuropati i stadium 1 eller 2 hos vuxna patienter med ärftlig transtyretinamyloidos (hATTR, Skelleftesjukan).

TLV har tagit fram hälsoekonomiska kunskapsunderlag till regionerna för Onpattro (patisiran) dnr:649/2018 och Tegsedi (inotersen) dnr:1392/2018. I kunskapsunderlagen jämförs båda läkemedlen mot bästa möjliga omvårdnad.

TLV kan konstatera att det idag saknas direkt jämförande studier mellan Onpattro och Tegsedi, men båda läkemedlen har jämförts i randomiserade kliniska studier mot placebo (bästa möjliga omvårdnad). Utifrån de data som idag finns tillgängliga, gör TLV bedömningen att det inte går att säga att det ena läkemedlet är bättre än det andra vad gäller behandlingseffekt. Biverkningsprofilen skiljer sig mellan Onpattro och Tegsedi.

Det som går att konstatera med det underlag som finns tillgängligt för TLV idag, är att kostnaden för både Onpattro och Tegsedi är mycket hög jämfört mot bästa möjliga omvårdnad. TLV har bedömt osäkerheterna i resultaten för Onpattro som höga och för Tegsedi som mycket höga.

Det finns dock skillnader mellan läkemedlen avseende exempelvis pris, doseringsintervall och administreringsformerna för de två läkemedlen. Onpattro administreras som en intravenös infusion och Tegsedi som subkutan injektion. Förutom läkemedelskostnader tillkommer för Onpattro även ett administreringstillfälle var tredje vecka. I samband med administreringstillfället får patienten premedicinering för att minska risken för infusionsrelaterade reaktioner. I samband med behandling med Tegsedi, som administreras en gång per vecka, krävs å andra sidan regelbundna provtagningar för att följa trombocytantal, njurfunktion och levervärden.

I TLV:s två kunskapsunderlag jämförs dels Onpattro mot bästa möjliga omvårdnad och dels Tegsedi mot bästa möjliga omvårdnad. Det är inte möjligt att utifrån beräkningarna i de två kunskapsunderlagen att dra slutsatser om vilket av de två läkemedlen som har lägst kostnad per kvalitetsjusterat levnadsår. Anledningen är att företagen gör olika val av metod i sina beräkningar. Exempelvis bygger modellerna på olika hälsotillstånd och olika antaganden kring behandlingseffekt och mortalitet.

TLV har tagit del av Läkemedelsverkets monografier för Onpattro och Tegsedi där de inkluderat en integrerad värdering av Tegsedi och Onpattro, som i sin helhet återfinns nedan.

Läkemedelsverkets integrerade värdering av Tegsedi och Onpattro¹

Tegsedi och Onpattro är de första läkemedlen med specifik effekt på mRNA-nivå avsedda för behandling av patienter med hATTR. Resultaten av de genomförda studierna visar att progressionen av polyneuropati i patienter med hATTR (med polyneuropati i stadierna 1-2)

bromsas betydligt jämfört med placebo vilket återspeglas i förbättringar av livskvaliteten. För Onpattro sågs även positiva effekter på autonoma funktioner och nutritionsstatus samt en positiv effekt jämfört med placebo avseende vissa markörer återspeglade hjärtfunktionen, men den kliniska relevansen av hjärtfynden är oklar.

Biverkningsprofilen skiljer sig mellan Tegsedi och Onpattro. Tegsedi-behandling medför en ökad risk för utveckling av trombocytopeni, en viss risk för försämrad njurfunktion och/eller glomerulonefrit och en viss risk för förhöjda levervärden. Regelbundna provtagningar krävs för att följa trombocytantal, njurfunktion och levervärden under behandlingen. De vanligaste biverkningarna associerade med Onpattro är infusionrelaterade biverkningar och behandlingen måste föregås av premedicinering för att minska denna risk. En annan skillnad mellan produkterna är att Tegsedi ges som subkutan injektion en gång per vecka medan Onpattro administreras som en intravenös infusion var 3:e vecka.

Båda läkemedlen anses ha fördelar jämfört med nuvarande behandlingsalternativ. Jämfört med Tafamidis är de nya produkterna godkända för en vidare målpopulation och uppvisar en bättre effekt. Jämfört med levertransplantation sänks nivåerna av både muterat och normalt transtyretin samtidigt som ett omfattande kirurgiskt ingrepp följt av en livslång immunosuppressiv behandling kan undvikas¹.

¹ <https://lakemedelsverket.se/malgrupp/Halso---sjukvard/Monografier-varderingar/Monografier-Humanlakemedel/Humanlakemedel-/Onpattro-patisiran/>