

**SÖKANDE**

Novo Nordisk Scandinavia AB  
Box 50587  
202 15 Malmö

**BESLUT**

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV, beslutar att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med den 1 juni 2020 till i tabellen angivna priser. TLV fastställer det alternativa försäljningspriset till samma belopp som AIP.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Esperoct	Pulver och lösning till injektionsvätska, lösning	3000 IE	Injektionsflaska och förfylld spruta, 3000 IE	122801	22 650,00	23 149,25
Esperoct	Pulver och lösning till injektionsvätska, lösning	500 IE	Injektionsflaska och förfylld spruta, 500 IE	520444	3 775,00	3 896,75
Esperoct	Pulver och lösning till injektionsvätska, lösning	1500 IE	Injektionsflaska och förfylld spruta, 1500 IE	588978	11 325,00	11 597,75
Esperoct	Pulver och lösning till injektionsvätska, lösning	1000 IE	Injektionsflaska och förfylld spruta, 1000 IE	488546	7 550,00	7 747,25
Esperoct	Pulver och lösning till injektionsvätska, lösning	2000 IE	Injektionsflaska och förfylld spruta, 2000 IE	424592	15 100,00	15 448,25

## ANSÖKAN

Novo Nordisk Scandinavia AB (företaget) har ansökt om att Esperoct, pulver och vätska till injektionsvätska, ska ingå i läkemedelsförmånerna i enlighet med tabell på sida 1.

## UTREDNING I ÄRENDET

Esperoct är avsett för profylaktisk (förebyggande) behandling och behandling av blödning hos patienter med hemofili A som är tolv år och äldre.

Esperoct innehåller den aktiva substansen turoktokog alfa pegol som är en pegylerad rekombinant humanfaktor VIII som ersätter den saknade faktor VIII i kroppen och därmed hjälper blodet att koagulera.

Esperoct är avsett för intravenös användning och administreras genom injektion under flera minuter efter upplösning av pulvret i medföljande spädningsvätska. För profylaktisk behandling för vuxna patienter och barn från tolv år är den rekommenderade startdosen 50 IE, internationella enheter, Esperoct per kilo kroppsvikt var fjärde dag. Maximal enkeldos är 75 IE per kilo kroppsvikt. Justeringar av doser och administreringsintervall kan övervägas utifrån uppnådda faktor VIII-nivåer och individuell blödningstendens. Långtidssäkerheten hos barn under 12 år har inte fastställts.

De studier som ligger till grund för godkännandet är ett kliniskt studieprogram bestående av bland annat tre avslutade fas III studier i vilket 270 patienter som tidigare behandlats med faktor VIII-koncentrat deltagit. Fem studier utvärderade effekten av att förebygga och behandla blödningssperioder, säkerheten, livskvaliteten och den farmakokinetiska profilen för Esperoct. Två pågående studier inkluderar tidigare obehandlade patienter.

Företaget har framfört att TLV tidigare har bedömt att alla faktor VIII koncentrat har jämförbar effekt att förebygga och behandla blödningar på gruppnivå. Företaget anser med anledning av detta att relevanta jämförelsealternativ till Esperoct är övriga faktor VIII-koncentrat.

Företaget hänvisar till TLV:s tidigare bedömning, att samtliga faktor VIII-koncentrat har jämförbar effekt och säkerhet, och har därför inkommit med en mycket förenklad hälsoekonomisk analys. Företagets hälsoekonomiska analys baseras på en prisjämförelse mellan Esperoct och produkter med förlängd halveringstid (Elocta) eftersom företaget hävdar att Esperoct medför en lägre dosering jämfört med produkter utan förlängd halveringstid.

TLV:s hälsoekonomiska bedömning baseras på en kostnadsjämförelse mellan Esperoct och övriga faktor VIII-koncentrat eftersom effekten bedöms vara jämförbar för Esperoct och alla faktor VIII-koncentrat. Den rekommenderade dosen för Esperoct är något lägre än för majoriteten av de andra koncentraterna.

Ansökt pris för Esperoct är 7,55 kronor per IE, AIP, vilket motsvarar 7,74 kronor per IE (AUP) baserat på ett genomsnittligt pris av samtliga förpackningsstorlekar. Detta motsvarar en total läkemedelskostnad för Esperoct på cirka 2 472 000 kronor per år för en vuxen patient som väger 70 kg och som doseras enligt godkänd dosering för profylaktisk behandling.

Trepartsöverläggningar har ägt rum mellan TLV, regionerna och företaget. Inom ramen för dessa överläggningar har företaget och regionerna kommit överens om att teckna en sidoöverenskommelse. Sidoöverenskommelsen omfattar all försäljning av Esperoct inom läkemedelsförmånerna från och med den 1 juni 2020. Genom sidoöverenskommelsen åtar sig företaget att återbära en del av kostnaden för användningen av Esperoct till regionerna. Sidoöverenskommelsen innebär således att kostnaderna för användning minskar. Underlag till sidoöverenskommelsen har tillförts detta ärende och utgör därmed en del av beslutsunderlaget.

## SKÄLEN FÖR BESLUTET

### Den rättsliga regleringen m.m.

15 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. (förmånslagen). Ett receptbelagt läkemedel ska omfattas av läkemedelsförmånerna och inköpspris och försäljningspris ska fastställas för läkemedlet under förutsättning att

1. kostnaderna för användning av läkemedlet, med beaktande av bestämmelserna i 3 kap. 1 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30), framstår som rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter, och
2. det inte finns andra tillgängliga läkemedel eller behandlingsmetoder som enligt en sådan avvägning mellan avsedd effekt och skadeverkningar som avses i 4 kap. 1 § första stycket läkemedelslagen (2015:315) är att bedöma som väsentligt mer ändamålsenliga.

I förarbetena till förmånslagen anges att TLV:s beslutsfattande utgår från tre grundläggande principer: människovärdesprincipen - att vården ska ges med respekt för alla människors lika värde och för den enskilda människans värdighet, behovs- och solidaritetsprincipen – att den som har det största behovet av hälso- och sjukvården ska ges företräde till vården samt kostnadseffektivitetsprincipen – att det bör eftersträvas en rimlig relation mellan kostnader och effekt, mätt i förbättrad hälsa och förhöjd livskvalitet (se prop. 2001/02:63 s. 43 ff., jfr prop. 1996/97:60 s. 18 ff.).

### *I förmånslagen stadgas även följande*

8 § (första stycket) Den som marknadsför ett läkemedel eller en vara som avses i 18 § får ansöka om att läkemedlet eller varan ska ingå i läkemedelsförmånerna enligt denna lag. Sökanden ska visa att villkoren enligt 15 § är uppfyllda och lägga fram den utredning som behövs för att fastställa inköpspris och försäljningspris.

9 § Innan Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket meddelar beslut i frågor som avses i 7 § ska sökanden och landstingen ges tillfälle till överläggningar med myndigheten.

### **TLV gör följande bedömning**

Hemofili (blödarsjuka) är en sällsynt och allvarlig sjukdom. Hemofili A orsakas av brist på koagulationsfaktor VIII. Karakteristiskt för blödarsjuka är en benägenhet till långvariga blödningar, vilka kan uppträda till synes spontant eller efter minimal skada.

Obehandlad sjukdom leder till bestående ledsador, risk för allvarliga tillstånd som hjärnblödning och blödning i mag-tarmkanalen, försämrad livskvalitet och kraftigt förkortad livslängd. Obehandlad sjukdom bedöms därför ha en mycket hög svårighetsgrad. För

3550/2019

patienter med väl fungerande behandling och kontrollerad sjukdom bedöms svårighetsgraden vara medelhög. Hemofilpatienter i Sverige i dag har tillgång till behandling med faktor VIII-koncentrat och majoriteten av patienterna har en välkontrollerad sjukdom.

TLV bedömer att relevanta jämförelsealternativ till Esperoct är övriga faktor VIII-koncentrat.

TLV bedömer att effekten av att behandla och förebygga blödningar för Esperoct är jämförbar med övriga faktor VIII-koncentrat. Säkerheten avseende inhibitorutveckling vid behandling av patienter som tidigare behandlats med faktor VIII-koncentrat är jämförbar med övriga faktor VIII-koncentrat. Vidare bedömer TLV, med stöd av studieresultat samt godkänd doseringen enligt produktresumén, att Esperoct kan doseras med en lägre faktorförbrukning än faktor VIII-koncentrat utan förlängd halveringstid, utan att effekten blir sämre.

Eftersom Esperoct bedöms ha jämförbar effekt med övriga faktor VIII-koncentrat ska kostnaden för behandling med Esperoct jämföras med kostnaden för behandling med övriga faktor VIII-koncentrat. För att skatta den totala läkemedelskostnaden för Esperoct och övriga faktor VIII-koncentrat har TLV utgått från en genomsnittlig vikt på 70 kg för en vuxen patient i kostnadsjämförelsen.

I omprövningen av faktor VIII-koncentrat (dnr 918/2017) som avslutades år 2018 beslutade TLV att förutsättningarna i 15 § förmånslagen var uppfyllda för de koncentrat vars kostnad per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår, i jämförelse med ingen behandling, med eller utan sidoöverenskommelse, understeg 1 miljon kronor. Dessa koncentrat kunde därför kvarstå i läkemedelsförmånerna med generell subvention. Ett faktor VIII-koncentrat, Immunate, bedömdes uppfylla kriterierna 15 § förmånslagen till fastställt pris (AUP) utan sidoöverenskommelse. För resterande faktor VIII-koncentrat konstaterar nu TLV att sidoöverenskommelserna, som träffades mellan regionerna och företagen avseende dessa, innebär att kostnaden för användning av koncentraterna inom läkemedelsförmånerna var lägre eller i nivå med fastställt pris (AUP) för Immunate.

Kostnaderna efter återbäring för övriga faktor VIII-koncentrat (utom Immunate) skyddas av sekretess. I nuvarande omprövning använder TLV därför det faktor VIII-koncentrat, Immunate, med lägst pris (AUP) per genomsnittligt IE som grund för beräkning av den maximala läkemedelskostnaden för behandling med faktor VIII-koncentrat, det vill säga jämförelsealternativen. Denna kostnad motsvarar ett pris per IE på 3,82 kronor (AUP) baserat på ett genomsnitt av samtliga förpackningsstorlekar som ingår i läkemedelsförmånerna.

Den maximala läkemedelskostnaden per år för en patient (70 kg) uppgår till cirka 1 301 000 kronor baserat på ett genomsnitt av godkänd dosering för majoriteten av faktor VIII-koncentraterna enligt produktresuméerna.

TLV:s kostnadsjämförelse visar att läkemedelskostnaden för behandling med Esperoct, med hänsyn tagen till sidoöverenskommelsen, är lägre i jämförelse med den maximala läkemedelskostnaden för faktor VIII-koncentrat som TLV har bedömt vara rimlig.

TLV anser dock att det råder en viss osäkerhet i antagandet att den dos av Esperoct som kommer att förskrivas i klinisk praxis, kommer att vara lägre än den genomsnittliga dosen för övriga faktor VIII-koncentrat. Om Esperoct doseras på liknande sätt som faktor VIII-koncentraterna är kostnaden för användning av läkemedlet, vid beaktande av innehållet i

3550/2019

sidoöverenskommelsen, fortfarande lägre än den maximala läkemedelskostnaden för övriga faktor VIII-koncentrat (baserat på Immunates AUP).

Sammantaget bedömer TLV att kostnaden för användning av Esperoct är rimlig och att kriterierna i 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. är uppfyllda för att Esperoct ska ingå i läkemedelsförmånerna. Ansökan ska därför bifallas.

Se nedan hur man överklagar.

Detta beslut har fattats av Nämnden för läkemedelsförmåner hos TLV. Följande ledamöter har deltagit i beslutet: tidigare överintendenten Staffan Bengtsson (ordförande), överläkaren Margareta Berglund Rödén, förbundsordföranden Elisabeth Wallenius, överläkaren Inge Eriksson, universitetslektorn Martin Henriksson, docenten Gerd Lärfars samt överläkaren Maria Strandberg. Ärendet har föredragits av den medicinska utredaren Cecilia Brolin. I den slutliga handläggningen har även hälsoekonomerna Nathalie Eckard och Linnea Oldsberg, analytikerna Anders Viberg och Oskar Johansson samt juristen Elin Borg deltagit.

Staffan Bengtsson

Cecilia Brolin

## HUR MAN ÖVERKLAGAR

Beslutet kan överklagas hos Förvaltningsrätten i Stockholm. Överklagandet ska vara skriftligt och ställas till förvaltningsrätten, men skickas till TLV som skickar vidare överklagandet till förvaltningsrätten. TLV ska ha fått överklagandet inom tre veckor från den dag klaganden fick del av beslutet, annars kan överklagandet inte prövas. I överklagandet ska det anges vilket beslut som överklagas och på vilket sätt beslutet ska ändras. Om TLV ändrar det beslut som överklagats, överlämnas även det nya beslutet till förvaltningsrätten. Överklagandet omfattar även det nya beslutet.