Datum
2025-05-22

Vår beteckning
497/2025

SÖKANDE

Novartis Sverige AB

BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket avslår ansökan om att Fabhalta, kapsel, ska ingå i läkemedelsförmånerna.

ANSÖKAN

Novartis Sverige AB (företaget) har den 3 februari 2025 ansökt om att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna och att pris fastställs enligt följande tabell.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)
Fabhalta	Kapsel	200 mg	56 st	555351	274 200

Företaget har ansökt om en förmånsbegränsning i enlighet med följande. Subventioneras endast för vuxna patienter över 18 år med paroxysmal nattlig hemoglobinuri (PNH) och som har kvarvarande anemi trots tidigare behandling med anti-C5 behandlingar i åtminstone tre månader.

Till stöd för sin ansökan har företaget kommit in med två kliniska studier och en indirekt jämförelse som tillsammans beskriver Fabhaltas effekt och säkerhet hos individer med PNH. I företagets underlag ingår även en hälsoekonomisk analys i form av en kostnadsjämförelse som jämför Fabhalta mot Aspaveli (pegcetakoplan).

SKÄLEN FÖR BESLUTET

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) bedömer att ansökan ska avslås av följande skäl:

- Företaget har inte kommit in med en hälsoekonomisk analys som jämför Fabhalta med relevant jämförelsealternativ.

Sammantaget bedömer TLV att kriterierna i 15 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. (nedan förmånslagen) inte är uppfyllda till det ansökta priset.

Tillämpliga bestämmelser framgår av bilagan till detta beslut.

Läkemedlet Fabhalta

Läkemedlet Fabhalta innehåller den aktiva substansen iptakopan. Läkemedlet är avsett för att behandla en sjukdom som heter PNH hos vuxna patienter med hemolytisk anemi, vilket är ett tillstånd av otillräckligt antal röda blodkroppar. Iptakopan fungerar genom att blockera en del av kroppens immunsystem som kallas komplementkaskaden. Den riktar sig specifikt mot något som heter faktor B och stoppar en alternativ signalväg i denna kaskad. När faktor B blockeras, förhindras aktiveringen av enzymerna C3-konvertas och C5-konvertas. Det hjälper till att kontrollera nedbrytningen av röda blodkroppar både utanför och inuti blodkärlen. Genom att blockera dessa processer kan Fabhalta därför bidra till att minska de symtom som orsakas av PNH.

PNH är en ovanlig kronisk blodsjukdom som orsakas av en icke-ärftlig genförändring i blodbildande stamceller. Cirka 10 individer insjuknar i PNH varje år i Sverige, varav 3–4 personer med en svår form av sjukdomen. I Sverige finns omkring 80 personer som är diagnosticerade med PNH. Den kliniska bilden kännetecknas ofta av blodbrist som beror på hemolys och leder till lågt blodvärde. Hemolys kan göra att urinen blir mörkfärgad och kan också leda till gulsot. Det är vanligt att individer med PNH upplever en kronisk trötthet, huvudvärk, magsmärtor och muskelsammandragningar i matstrupen som kan göra det svårt

att svälja. Risken för trombos (blodpropp) är förhöjd som kan uppkomma i benen och lungorna men också mer ovanligt på ställen som i blodkärlen till och från levern, i bukväggen eller i hjärnan. Tromboembolism (blodproppssjukdomar) och svåra infektioner förekommer hos patienter med PNH vilket ökar mortalitetsrisken hos den här patientpopulationen.

Inget tillägg till bästa understödjande behandling är relevant jämförelsealternativ till Fabhalta

TLV bedömer att inget tillägg till bästa understödjande behandling är relevant jämförelsealternativ till Fabhalta, eftersom det saknas jämförelsealternativ som är både kliniskt relevanta och kostnadseffektiva.

Enligt 15 § förmånslagen kan ett läkemedel endast omfattas av läkemedelsförmånerna om 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. Det innebär att kostnaden för det utvärderade läkemedlet måste ställas i relation till ett jämförelsealternativ.

Enligt TLV:s allmänna råd (TLVAR 2003:2) om ekonomiska utvärderingar bör det mest kostnadseffektiva av de i Sverige tillgängliga och kliniskt relevanta behandlingsalternativen utgöra jämförelsealternativ. När det saknas behandlingsalternativ som är kliniskt relevanta och kostnadseffektiva kan jämförelsealternativet, enligt TLV:s allmänna råd (TLVAR 2003:2) om ekonomiska utvärderingar (p. 3), vara ”ingen behandling”.

Företaget anser att Aspaveli, som har liknande verkningsmekanism som Fabhalta, är relevant jämförelsealternativ. Företaget har framhållit att inget tillägg till bästa understödjande behandling är en teoretisk jämförelse som inte kan anses vara klinisk relevant för aktuell patientpopulation.

TLV har tidigare avslagit en ansökan om att Aspaveli ska ingå i läkemedelsförmånerna eftersom företaget inte kom in med en hälsoekonomisk analys som jämförde Aspaveli med relevant jämförelsealternativ och därmed inte hade visat att Aspaveli uppfyllde kriterierna i 15 § förmånslagen (beslut i ärende med dnr 3286/2021).

Behandlingsriktlinjer från Socialstyrelsen rekommenderar blodtransfusioner vid behandling av PNH. Eftersom det är vanligt med järnbrist ges tillskott av järn och folsyra för att underlätta bildandet av nya blodceller. Blodproppar behandlas med blodförtunnande läkemedel. Behandlingen är ofta livslång. Behandling med läkemedlen Bekemv, Epysqli, Soliris (ekulizumab), Ultomiris (ravulizumab) och Aspaveli (pegcetakoplan) minskar behovet av blodtransfusioner och motverkar symtom som kraftlöshet och den ökade risken för blodproppar.

Rådet för nya terapier (NT-rådet, vilket är en expertgrupp med representanter för Sveriges regioner som ger rekommendationer till landets regioner om användning av vissa läkemedel) rekommenderade i december 2024 regionerna att avstå från generell användning av Bekemv, Epysqli, Soliris, Ultomiris och Aspaveli vid behandling av PNH (med stöd av TLV:s hälsoekonomiska analys, dnr 2082/2011) då dessa inte ansetts vara kostnadseffektiva på gruppnivå. NT-rådet rekommenderar även att vid behandling som bedöms oundgänglig, det vill säga att tillståndet med största säkerhet leder till en allvarlig och irreversibel försämring inom en kort tidsperiod, använda Bekemv. För varje patient som kan vara kandidat för

behandling med Bekemv, Epysqli, Soliris, Ultomiris och Aspaveli vid PNH är det ett krav från bland annat NT-rådet att patienten diskuteras i svenska PNH-gruppen, som sedan avger en rekommendation till patientansvarig hematolog.

TLV konstaterar att Aspaveli är upphandlat av regionerna. Det finns ett regiongemensamt avtal framtaget som gäller när läkemedlet hanteras via rekvisition. Enligt regionernas samverkansmodell för läkemedel omfattas den återbäring som erhålls enligt avtal i regel av sekretess på företagets begäran. TLV har inte tillgång till det avtalade priset för Aspaveli och kan därför heller inte bedöma om kostnaderna för Fabhalta är rimliga genom att göra en jämförelse med kostnaden för Aspaveli.

Det saknas därmed förutsättningar för TLV att anta att Aspaveli är kostnadseffektivt.

Eftersom det saknas jämförelsealternativ som är både kliniskt relevanta och kostnadseffektiva bedömer TLV att relevant jämförelsealternativ till Fabhalta är inget tillägg till bästa understödjande behandling.

Företaget har inte kommit in med en hälsoekonomisk analys som jämför Fabhalta med relevant jämförelsealternativ

Företaget har kommit in med en hälsoekonomisk analys i form av en kostnadsjämförelse mellan Fabhalta och Aspaveli.

TLV har gett företaget möjlighet att komma in med ett kliniskt och hälsoekonomiskt underlag, där Fabhalta jämförs mot inget tillägg till bästa understödjande behandling, men företaget har inte kommit in med någon sådan jämförelse.

I enlighet med 8 § förmånslagen är det sökanden som ska visa att förutsättningarna i 15 § förmånslagen är uppfyllda för att ett läkemedel ska kunna ingå i läkemedelsförmånerna. Eftersom företaget inte kommit in med någon hälsoekonomisk analys som jämför Fabhalta med relevant jämförelsealternativ bedömer TLV sammantaget att företaget inte har visat att kostnaderna för användning av Fabhalta är rimliga och inte heller att kriterierna i 15 § förmånslagen i övrigt är uppfyllda.

Detta beslut har fattats av Nämnden för läkemedelsförmåner hos TLV. Följande ledamöter har deltagit i beslutet: tidigare överintendenten Staffan Bengtsson (ordförande), docenten Emelie Heintz, överläkaren Inge Eriksson, överläkaren Maria Strandberg, läkemedelschefen Maria Landgren, biträdande professorn Martin Henriksson, forskningsansvarige Monica Persson och professorn Sofia Kälvemark Sporrong. Ärendet har föredragits av medicinska utredaren Shahrzad Kia Komujuni. I den slutliga handläggningen har även hälsoekonomen Petros Nousios och juristen Åsa Levin medverkat.

Staffan Bengtsson

Shahrzad Kia Komujuni

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

BILAGA

Tillämpliga bestämmelser
Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket beslutar om ett läkemedel eller en vara som avses i 18 § ska ingå i läkemedelsförmånerna och fastställer inköpspris och försäljningspris som, med de undantag som anges i 7 a och 7 b §§, ska tillämpas av öppenvårdsapoteken. (7 § första stycket lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. (förmånslagen)).

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

Målet med hälso- och sjukvården är en god hälsa och en vård på lika villkor för hela befolkningen. Vården ska ges med respekt för alla människors lika värde och för den enskilda människans värdighet. Den som har det största behovet av hälso- och sjukvård ska ges företräde till vården. (3 kap. 1 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30))

Ett läkemedel ska vara av god kvalitet och ändamålsenligt. Läkemedlet är ändamålsenligt om det är verksamt för sitt ändamål och vid normal användning inte har skadeverkningar som står i missförhållande till den avsedda effekten. (4 kap. 1 § första stycket läkemedelslagen (2015:315))

Om det finns särskilda skäl får TLV besluta att ett läkemedel eller annan vara ska ingå i läkemedelsförmånerna endast för ett visst användningsområde (förmånsbegränsning). Myndighetens beslut får förenas med andra särskilda villkor. (11 § förmånslagen)

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

TLV:s beslut gäller omedelbart om inte annat beslutas. (27 § förmånslagen)

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket fastställer ett alternativt försäljningspris, som ska vara lika med inköpspriset, för alla läkemedel i läkemedelsförmånerna. (4 § Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets föreskrifter och allmänna råd (TLVFS 2009:4) om prissättning av utbytbara läkemedel och utbyte av läkemedel m.m.)

Ett beslut om att ett läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna tillämpas på öppenvårdsapoteken tidigast från och med dagen efter den då beslutet meddelades. (19 § Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets föreskrifter och allmänna råd (TLVFS 2008:2)

om ansökan och beslut om läkemedel och varor som förskrivs i födelsekontrollerande syfte).