

SÖKANDE

Ipsen AB

BESLUT

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

ANSÖKAN

Ipsen AB (företaget) har den 9 april 2024 ansökt om att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna och att pris fastställs enligt följande tabell.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)
Bylvay	Kapsel, hård	200 µg	30 kapslar	166548	24 548,26
Bylvay	Kapsel, hård	400 µg	30 kapslar	188644	49 096,53
Bylvay	Kapsel, hård	600 µg	30 kapslar	189974	73 644,79
Bylvay	Kapsel, hård	1200 µg	30 kapslar	558318	147 289,58

Till stöd för sin ansökan har företaget lämnat in två kliniska studier och en indirekt jämförelse som tillsammans beskriver Bylvays effekt och säkerhet hos individer med progressiv familjär intrahepatisk kolestas (PFIC). I företagets underlag ingår även en hälsoekonomisk analys i form av en kostnadsnyttoanalys. I analysen inkluderas klinisk effekt samt kostnader för Bylvay och relevanta jämförelsealternativ.

SKÄLEN FÖR BESLUTET

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

Företaget har visat att Bylvay har en bättre effekt än de relevanta jämförelsealternativen. De högre kostnaderna för användning av Bylvay bedöms dock inte vara rimliga i förhållande till den nytta som behandlingen ger, trots att det finns omständigheter som talar för att det föreligger skäl att acceptera en högre kostnad för behandling med Bylvay än vad TLV vanligtvis gör.

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 Bylvay

Bylvay används för att behandla PFIC hos patienter från 6 månaders ålder. PFIC är en grupp ovanliga, genetiska leversjukdomar som kännetecknas av ansamling av gallsyror (även kallad gallstas eller kolestas) inuti levern. PFIC kan delas in i tre huvudsakliga subtyper, PFIC typ 1, 2 eller 3, beroende på genmutation. Tillståndet förvärras över tid och är bland annat förknippat med svår klåda (pruritus). Bylvay innehåller den aktiva substansen odeixibat som minskar koncentrationen av gallsyror i serum genom att hämma ileums (tunntarmens slutparti) gallsyretransportör (IBAT). Genom hämningen av IBAT minskar återupptaget av gallsyror till levern via blodet och ökar utsöndringen av gallsyror via tjocktarmen. Bylvay klassas som ett säräkemedel. Företagets ansökan omfattar hela den godkända indikationen.

Progressiv familjär intrahepatisk kolestas är ett tillstånd med mycket hög svårighetsgrad

PFIC uppträder vanligen i spädbarnsåldern eller senare i barndomen. På sikt kan den gallstas som karaktäriserar tillståndet resultera i skrumplever (cirros), terminal leversjukdom och behov av levertransplantation. Obehandlad sjukdom kan leda till för tidig död. Det saknas botande behandling för PFIC. Mycket av dagens behandling fokuserar på att symtomlindra

Dnr: 1072/2024

och fördröja, eller i bästa fall undvika, att patienten behöver genomgå en levertransplantation. Dock är nuvarande behandling med bästa understödjande vård (klådstillande läkemedel som används off-label) och kirurgisk gallavledning ineffektiv för en betydande andel patienter. Kirurgisk gallavledning och levertransplantation innebär dessutom stora risker för komplikationer och ökad mortalitet.

Av 15 § förmånslagen framgår att TLV ska beakta de principer som ska ligga till grund för prioriteringarna i vården, bl.a. behovs- och solidaritetsprincipen, vid bedömningen av om ett läkemedel ska beviljas subvention. Behovs- och solidaritetsprincipen innebär att angelägenhetsgraden är av central betydelse vid prioriteringar i vården (prop. 2001/02:63 s. 44). De patienter som har de största behoven, de svåraste sjukdomarna och den sämsta livskvaliteten ska tilldelas mer av hälso- och sjukvårdens resurser. TLV bedömer därför vilken svårighetsgrad det aktuella tillståndet har för att avgöra vilken kostnad som kan accepteras per vunnen hälsoeffekt för en behandling.

Bedömningen av svårighetsgraden ska göras för den fas av det medicinska tillståndet där behandlingen förväntas ske. Bedömningen görs vidare baserat på den genomsnittliga personen som är drabbad av tillståndet och med utgångspunkten att denne står på standardbehandling enligt svensk klinisk praxis. Hänsyn tas till hur stor hälsoförlusten är över tid för personer som drabbas av ett visst tillstånd. Tillståndets varaktighet och risken att drabbas eller försämras i framtiden vägs därför in. TLV bedömer svårighetsgraden för ett tillstånd på en fyrgradig skala från låg till mycket hög.

TLV har i tidigare utvärdering av Bylvay (dnr 4026/2022) bedömt svårighetsgraden för PFIC som mycket hög. TLV finner inte skäl att frångå den bedömningen. Bedömningen gjordes mot bakgrund av att PFIC är ett fortskridande (progredierande) tillstånd som uppträder i tidig ålder och medför svåra besvär, såsom svår klåda, och en kraftigt förkortad livslängd. En stor andel av patienterna svarar inte på nuvarande behandling. De aktuella kirurgiska ingreppen gallavledning och levertransplantation innebär i sig stora risker för komplikationer och ökad mortalitet för denna patientgrupp.

Inget tillägg till bästa understödjande vård och kirurgisk gallavledning som tillägg till bästa understödjande vård är relevanta jämförelsealternativ till Bylvay

TLV bedömer, i enlighet med tidigare utvärdering av Bylvay (dnr 4026/2022) och i likhet med företaget, att det finns två relevanta jämförelsealternativ till Bylvay. Jämförelsealternativen utgörs av inget tillägg till bästa understödjande vård och kirurgisk gallavledning som tillägg till bästa understödjande vård.

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.

Företaget anger i sin ansökan två jämförelsealternativ till behandling med Bylvay beroende på om patienten kan genomgå kirurgisk gallavledning eller inte: inget tillägg till bästa

Dnr: 1072/2024

understödjande vård om kirurgisk gallavledning inte är lämplig och kirurgisk gallavledning som tillägg till bästa understödjande vård om sådan är lämplig. Företaget motiverar valet av inget tillägg till bästa understödjande vård med att Bylvay i klinisk praxis förväntas användas som tillägg till bästa understödjande vård, det vill säga i vissa fall tillsammans med klådstillande läkemedel som används off-label. Vidare betraktar företaget kirurgisk gallavledning, i de fall sådan behandling är lämplig, som ett relevant jämförelsealternativ eftersom ett sådant ingrepp, i likhet med Bylvay, bryter återupptaget av gallsyror till levern. Företaget anger att behandling med Bylvay förväntas ersätta behandling med kirurgisk gallavledning vid PFIC.

TLV instämmer i stort med företaget kring användningen av Bylvay i svensk klinisk praxis. TLV utgår från att behandling med klådstillande läkemedel kommer att fortgå för en andel patienter som samtidigt behandlas med Bylvay. Detta antagande stöds av den placebokontrollerade kliniska fas III-studien där en stor andel studiedeltagare fortsatte med behandling med klådstillande läkemedel under studien. Vidare anser TLV att det är rimligt att anta att Bylvay kan komma att ersätta kirurgisk gallavledning eftersom båda behandlingarna verkar genom att bryta återupptaget av gallsyror till levern. Behandling med Bylvay har även fördelar jämfört med kirurgisk gallavledning, såsom färre komplikationer och mindre inverkan på livskvalitet. Det är ytterligare skäl till att anta att Bylvay kan komma att ersätta kirurgisk gallavledning eller åtminstone prövas före kirurgisk gallavledning i klinisk praxis.

Företaget har visat att Bylvay har en bättre effekt än inget tillägg till bästa understödjande vård medan effekten i jämförelse med kirurgisk gallavledning är mycket osäker

TLV bedömer att behandling med odeixibat har bättre effekt än inget tillägg till bästa understödjande vård avseende minskning av koncentrationen av gallsyror i serum (s-gallsyror) och förbättring av klåda (pruritus) hos patienter med PFIC. Bedömningen baseras på uppgifter från den kliniska fas III-studien PEDFIC₁ som inkluderade pediatrika patienter med PFIC typ 1 och 2. I studien uppnådde cirka en tredjedel av patienterna som behandlades med odeixibat det primära effektmåttet (minst 70 procents minskning av utgångsvärdet av s-gallsyror vid baslinjen eller ett s-gallsyrevärde under 70 mikromol per liter vid vecka 24). Inga patienter som behandlades med placebo uppnådde det primära effektmåttet. Skillnaden mellan behandlingsarmarna var statistiskt säkerställd. Det viktigaste sekundära effektmåttet var andel positiva skattningar av klåda (pruritus) på patientnivå över 24 veckors behandling, det vill säga en förbättring av klåda enligt skattning av barnets vårdnadshavare. Även här observerades statistiskt säkerställda skillnader mellan behandlingsarmarna som var till fördel för odeixibat.

TLV bedömer att det råder mycket hög osäkerhet för den kliniska effekten av odeixibat i jämförelse med kirurgisk gallavledning. Trots detta anser TLV att behandling med odeixibat har fördelar jämfört med kirurgisk gallavledning, som färre komplikationer och mindre inverkan på patientens livskvalitet. TLV:s bedömning följer av att det saknas direkt jämförande studier för att utvärdera effekten av odeixibat jämfört med kirurgisk gallavledning. Företaget har dock lämnat in en indirekt jämförande studie där patienter som behandlats med odeixibat i PEDFIC₁ och dess förlängningsstudie PEDFIC₂ jämförs med propensity score-matchade, externa kontrollpatienter med PFIC som behandlats med kirurgisk gallavledning. Företaget redovisar andelen patienter med kirurgisk gallavledning som minskade sina s-gallsyrevärden till den nivå som tillämpades för det primära effektmåttet i PEDFIC₁ (minst 70 procents minskning av utgångsvärdet vid baslinjen eller ett s-gallsyrevärde under 70 mikromol per liter). Denna andel skattades till 32 procent, vilket är

Dnr: 1072/2024

i nivå med den andel patienter som behandlades med odeixibat och hade ett s-gallsyresvar i PEDFIC1. Från den indirekta jämförelsen redovisar företaget inte några resultat avseende förändring av s-gallsyrevärden för de patienter som behandlats med odeixibat eller några resultat avseende förändring av klådsfattningar för någon av de två patientgrupperna.

Den långsiktiga behandlingseffekten av Bylvay är osäker

En viktig aspekt av läkemedlet Bylvays värde är att kunna visa på dess effekt på längre sikt. I den hälsoekonomiska analysen använder företaget data från PEDFIC1 indirekt genom att den medfödda leverns överlevnad modelleras utifrån i vilken grad Bylvay gör att kirurgisk gallavledning kan undvikas och levertransplantation skjutas upp. TLV bedömer att det råder hög osäkerhet för varaktigheten av odeixibats effekt och dess betydelse för sjukdomsprogression med avseende på om odeixibat påverkar behovet av kirurgisk gallavledning och fördröjer tid till levertransplantation.

När det gäller långtidseffekt och potentiell påverkan av odeixibat på den medfödda leverns överlevnad, har företaget lämnat in preliminära uppgifter där data från PEDFIC1 kombineras med data från den pågående förlängningsstudien PEDFIC2. Resultaten tyder på en ihållande behandlingseffekt avseende minskning av s-gallsyror och förbättring av klåda under cirka 1,8 års behandling med odeixibat. Vidare visar en andra analys ett samband mellan minskade s-gallsyrevärden och förlängd överlevnad av den medfödda levern, det vill säga en lägre förekomst av levertransplantation, under maximalt tre års uppföljning.

Företaget hänvisar också till en indirekt jämförelse av patienter som behandlats med odeixibat i PEDFIC-studierna med propensity score-matchade, externa kontrollpatienter med PFIC som inte behandlats med odeixibat. De externa kontrollerna har hämtats från en naturalförloppsstudie av PFIC. Resultaten visar en statistiskt säkerställd bättre händelsefri överlevnad (tid till första förekomst av kirurgisk gallavledning, levertransplantation eller död) för patienter som behandlats med odeixibat än för externa kontrollpatienter (propensity score-viktad hazardkvot 0,20; 95 % konfidensintervall: 0,09 – 0,45; p-värde: 0,0016). Patienterna följdes som längst under drygt tre års tid.

TLV anser att resultaten avseende långtidseffekt av odeixibat är osäkra av flera skäl.

Analyserna inkluderar ett litet antal patienter och för överlevnadsanalyserna var bortfallet högt och antalet utfallshändelser lågt. Vidare är PEDFIC2 en enarmad studie, vilket gör det svårt att dra slutsatser om hur de observerade resultaten jämför sig mot placebo/bästa understödande vård över tid. För den indirekta jämförelsen anser TLV att det finns risk för att störfaktorer¹ har en kvarvarande påverkan som kan snedvrider resultaten. Detta eftersom det inte framgår av företagets underlag om skillnaderna mellan de odeixibatbehandlade patienterna och kontrollpatienterna avseende baslinjekaraktäristika utjämnades med hjälp av de propensity score-metoder som användes. Dock skulle störfaktorernas påverkan sannolikt behöva vara omfattande för att helt förklara den observerade relativa fördelen för odeixibat. Indirekta jämförelser medför alltid ett mått av osäkerhet kring de resultat som genereras och resultaten kan aldrig uppnå samma evidensgrad som en direkt jämförande studie.

¹ Störfaktorer kan ge upphov till skenbara samband mellan behandling och utfall, inklusive en felaktig skattning av effektstorleken. Det beror på att dessa faktorer orsakar både vilken studieintervention (behandling eller inte behandling med odeixibat) patienten får och utfallsmåttet (händelsefri överlevnad).

De högre kostnaderna för Bylvay bedöms inte vara rimliga i förhållande till den nytta som behandlingen ger

TLV:s analyser visar att läkemedlets kostnad per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår (QALY) överstiger den nivå som TLV vanligtvis bedömer som rimlig vid tillstånd med mycket hög svårighetsgrad.

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 (prop. 2001/02:63 s. 44).

TLV:s allmänna råd (TLVAR 2003:2) beskriver hur TLV anser att en hälsoekonomisk analys bör utformas. Av de allmänna råden framgår att kostnadseffektivitetsanalys är den rekommenderade analysmetoden, främst kostnadsnyttoanalyser med kvalitetsjusterade levnadsår (QALY) som effektmått. Vid behandlingar som påverkar överlevnaden bör både livskvalitetsvinst och vunna levnadsår redovisas.

Som grund för den hälsoekonomiska utvärderingen av Bylvay används en kostnadsnyttoanalys. I en kostnadsnyttoanalys ingår både kostnader och effekter där effekten ofta mäts i kvalitetsjusterade levnadsår, vilket i sig innefattar två dimensioner av hälsa: livskvalitet och livslängd.

Företaget har lämnat in en hälsoekonomisk analys där kostnader och effekter för behandling med Bylvay jämförs med inget tillägg till bästa understödjande vård för patienter där kirurgisk gallavledning inte är lämplig, alternativt kirurgisk gallavledning som tillägg till bästa understödjande vård för patienter där kirurgisk gallavledning är lämplig. Dessa två jämförelsealternativ modelleras och redovisas som ett kombinerat jämförelsealternativ i den hälsoekonomiska analysen. I företagets grundscenario skattas kostnaden per vunnet QALY för Bylvay till cirka (-----) kronor inklusive indirekta kostnader i form av produktionsbortfall och minskade kostnader som följd av 15-årsregeln och patentutgång efter 20 år.

TLV bedömer att företagets hälsoekonomiska modellstruktur innefattar samtliga relevanta hälsotillstånd förknippade med sjukdomsförloppet för patienter med PFIC och att strukturen lämpar sig för modellering av sjukdomen. TLV noterar att kirurgisk gallavledning endast modelleras i jämförelsearmen. TLV har utfört känslighetsanalyser där effekten av detta antagande utvärderas.

I den hälsoekonomiska analysen används data från den kliniska studien PEDFIC1 indirekt genom att den medfödda leverns överlevnad modelleras utifrån i vilken grad Bylvay gör att kirurgisk gallavledning kan undvikas och levertransplantation skjutas upp. Behandling med Bylvay har en påvisad effekt på s-gallsyrenivån. Det är dock osäkert i vilken grad denna effekt kan kopplas till långsiktig påverkan på levern och i vilken grad behandling med Bylvay undviker eller skjuter upp behov av kirurgisk gallavledning och levertransplantation.

I modellen görs antaganden om hur stor andel patienter som förlorar behandlingssvar och avslutar behandling i varje modelcykel (varje år). TLV bedömer att det är mycket osäkert hur stor frekvensen av behandlingsavslut med Bylvay kommer att vara i svensk klinisk praxis. Företaget antar en årlig frekvens av behandlingsavslut på (-----) baserat på behandlingsnaiva patienter som avslutade behandling med Bylvay på grund av biverkningar i de kliniska studierna PEDFIC1 och PEDFIC2. TLV baserar i stället antagandet endast på behandlingsnaiva patienter från PEDFIC1 (som också ligger till grund för effektantaganden i

Dnr: 1072/2024

modellen) och antar därmed en årlig frekvens av behandlingsavslut på 5,1 procent. TLV justerar den kliniska effekten avseende frekvensen av behandlingsavslut i känslighetsanalyser eftersom dessa har stor påverkan på resultatet.

Företaget använder livskvalitetsvikter från litteraturen hämtade från närliggande sjukdomstillstånd i avsaknad av PFIC-specifika vikter. TLV bedömer att livskvalitetsvikterna från den kliniska studien PEDFIC₁ CFB har högre evidens och använder därför dessa i TLV:s grundscenariot. TLV varierar vald källa för livskvalitetsvikterna i känslighetsanalyser för att visa hur resultatet påverkas.

TLV antar, i likhet med företaget, att Bylvay i låg dos, 40 mikrogram/kg kroppsvikt, är den dos som till övervägande del kommer att användas i svensk klinisk praxis. TLV gör heller inga avvikande bedömningar avseende enhetskostnader, användning av läkemedel eller avseende resursutnyttjande. Däremot antar företaget att patienter kommer att behandlas med låg dos, 40 mikrogram/kg kroppsvikt, oavsett om behandlingssvar uppnås eller inte. TLV bedömer att det är sannolikt att titrering till den högre dosen, 120 mikrogram/kg kroppsvikt, kommer att ske i klinisk praxis. TLV justerar därför sitt grundscenariot till en upptitrering av dosen från 40 till 120 mikrogram/kg för patienter som inte svarar på behandling med Bylvay. TLV väljer också att i den hälsoekonomiska analysen exkludera av företaget antagna besparingar från 15-årsregeln, besparingar när patentet antas gå ut efter 20 år och de kostnader som antas uppstå som en följd av produktionsförluster för anhöriga.

I TLV:s grundscenariot skattas kostnaden per vunnet QALY för Bylvay som behandling för PFIC, jämfört med inget tillägg till bästa understödjande vård alternativt kirurgisk gallavledning som tillägg till bästa understödjande vård, till cirka 3,5 miljoner kronor.

I TLV:s känslighetsanalyser varierar kostnaden per vunnet QALY mellan 1,3 miljoner och 7,9 miljoner kronor. I merparten av dessa analyser ligger resultaten i ett relativt snävt spann kring TLV:s grundscenariot, förutom i en känslighetsanalys där TLV varierar årlig frekvens av behandlingsavslut. I denna känslighetsanalys varierar kostnaden per vunnet QALY mellan 1,4 och 7,4 miljoner kronor.

Inom ramen för möjligheten till överläggning som ges i förmånslagen, har TLV haft trepartsöverläggningar med företaget och regionerna kring underlaget, inklusive de osäkerheter som TLV funnit. Trepartsöverläggningarna har inte resulterat i en sidoöverenskommelse mellan företaget och regionerna.

Företaget har anfört att det finns skäl att acceptera en högre kostnad än vad TLV vanligtvis gör.

TLV har i några tidigare ärenden accepterat en högre kostnad per vunnet QALY än vad myndigheten vanligtvis gör i förhållande till det aktuella tillståndets svårighetsgrad (exempelvis dnr 1967/2015 och 1082/2024). TLV har i dessa ärenden konstaterat att det under särskilda förutsättningar kan vara rimligt att ett medicinskt tillstånd sällsynthet motiverar en högre kostnad i förhållande till nyttan av läkemedlet, samt att förutsättningarna är att det ska vara ett mycket svårt sjukdomstillstånd, mycket god behandlingseffekt och att det saknas andra kliniskt relevanta behandlingsalternativ.

Enbart det förhållande att ett läkemedel har status som sär-läkemedel enligt Europaparlamentets och rådets förordning (EG) nr 1441/2000 av den 16 december 1999 om

Dnr: 1072/2024

särläkemedel medför dock inte att det finns skäl för TLV att acceptera en högre kostnad än vanligt.

PFIC är ett sällsynt, progredierande tillstånd med mycket hög svårighetsgrad. Företaget uppger i sin ansökan att patientgruppen för närvarande omfattar 25–40 patienter, med en skattad årlig incidens på 1–2 patienter. Företaget bedömer att upp till (--) patienter årligen kan vara aktuella för behandling med Bylvay. TLV finner inte skäl att ifrågasätta företagets uppgifter. För närvarande finns inga tillgängliga farmakologiska behandlingsalternativ till Bylvay. Läkemedlet Livmarli godkändes i juli 2024 för behandling av PFIC i EU, men marknadsförs ännu inte i Sverige. De farmakologiska behandlingsalternativen för patienter med PFIC är således mycket begränsade och behovet av nya behandlingar stort.

Vad gäller den kliniska effekten konstaterar TLV att det i den placebokontrollerade kliniska fas III-studien observerades både minskade s-gallsyrevärden och förbättrad klåda över 24 veckors behandling. Det är osäkert hur länge Bylvays effekt avseende dessa utfallsmått varar, mot bakgrund av att endast preliminära resultat från en enkelarmad förlängningsstudie, i kombination med uppgifter från den placebokontrollerade studien, finns tillgängliga. Dock indikerar tillgängliga resultat en ihållande, fördelaktig effekt avseende s-gallsyrevärden och klåda under cirka 1,8 års behandling med Bylvay. Även de uppgifter som företaget lämnat in avseende leveröverlevnad och andra kliniskt relevanta, långsiktiga utfallsmått är preliminära samt omfattar få patienter. Uppgifterna kommer dels från de två nämnda kliniska studierna, dels från en indirekt jämförelse där externa kontroller matchas till patienter som behandlats med Bylvay. Resultaten ska betraktas som osäkra, men tyder på att behandling med Bylvay är förknippad med förlängd överlevnad av den medfödda levern, det vill säga förlängd tid till levertransplantation. Resultaten baseras på drygt tre års uppföljning.

Sammantaget konstaterar TLV att det finns omständigheter som talar för att det föreligger skäl att acceptera en något högre kostnad för behandling med Bylvay än vad TLV vanligtvis gör. Kostnaden per vunnet QALY för behandling med Bylvay är cirka 3,5 miljoner kronor i TLV:s grundscenario. Denna kostnad är väsentligt högre än vad TLV vanligtvis accepterar för tillstånd med mycket hög svårighetsgrad. Under alla förhållanden är en så hög kostnad för användning av Bylvay inte rimlig. Ansökan ska därför avslås.

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, överläkaren Inge Eriksson, biträdande professorn Martin Henriksson, läkemedelschefen Maria Landgren, docenten Gerd Lärfars, professorn Sofia Kälvemark Sporrang och forskningsansvarige Monica Persson. Ärendet har föredragits av medicinska utredaren Anna Westerlund. I den slutliga handläggningen har även hälsoekonomen Örjan Åkerborg och juristen Patricia Isakson Rivas medverkat.

Staffan Bengtsson

Anna Westerlund

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.

Dnr: 1072/2024

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 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))

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)