

Datum
2019-03-21Vår beteckning
3422/2018**SÖKANDE**Vertex Pharmaceuticals (Sweden) AB
Torsgatan 37
111 23 Stockholm**SAKEN**

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

BESLUT

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV, beslutar att nedanstående läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med 2019-03-22 till i tabellen angivna priser. TLV fastställer det alternativa försäljningspriset till samma belopp som AIP.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)	AUP (SEK)
Orkambi	Granulat	100 mg/125 mg	56 dospåsar	026127	115 475,00	116 521,25
Orkambi	Granulat	150 mg/188 mg	56 dospåsar	173267	115 475,00	116 521,25

ANSÖKAN

Vertex Pharmaceuticals (Sweden) AB har ansökt om att Orkambi granulat ska ingå i läkemedelsförmånerna i enlighet med tabell på sida 1.

UTREDNING I ÄRENDET

Orkambi är ett kombinationsläkemedel och innehåller de aktiva substanserna lumakaftor och ivakaftor. Den kombinerade effekten av lumakaftor och ivakaftor blir ökad mängd samt förbättrad funktion av proteinet CFTR (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator) vid cellytan.

TLV beslutade den 14 juni 2018 att Orkambi tabletter (dnr. 45/2018) ska ingå i läkemedelsförmånerna. Indikationen för Orkambi tabletter är behandling av cystisk fibros (CF) hos barn från sex år och äldre som är homozygota för F508del-mutationen i CFTR-genen.

Tidigare trepartsöverläggningar har resulterat i en sidoöverenskommelse mellan företaget och regionerna. Sidoöverenskommelsen omfattar behandling med samtliga beredningsformer, styrkor och förpackningsstorlekar av Orkambi under avtalsperioden. I de fall en ny beredningsform, styrka eller förpackningsstorlek av Orkambi introduceras inom läkemedelsförmånerna under avtalstiden ska även dessa inkluderas. Sidoöverenskommelsen, tillsammans med underlaget från tidigare ansökan (dnr. 45/2018), har tillförts detta ärende och utgör därmed en del av beslutsunderlaget.

Orkambi i beredningsformen granulat är indicerat för behandling av CF hos barn från två år och äldre som är homozygota för F508del-mutationen i CFTR-genen.

Effekten och säkerheten av Orkambi granulat hos CF-patienter två till fem år gamla har studerats i en klinisk studie. Studien visade en statistisk signifikant minskning av mängden klorid i svett och en icke signifikant sänkning av LCI (lung clearance index). Barnens tillväxt (mätt i BMI, vikt och längd) förbättrades. Studien visar att Orkambi granulat är säker, tolerabel till studerad dosering och förbättrar CFTR-proteinets aktivitet.

CF är ett allvarligt och ärftligt tillstånd som innebär att de slemproducerande körtlarna i kroppen inte fungerar normalt. De utsöndrar ett alltför segt slem som framför allt påverkar lungorna och mag-tarmkanalen, med andningsbesvär, infektioner i lungorna och svårighet att tillgodogöra sig maten som följd. CF orsakas av en förändring i CFTR-genen och är ärftlig. Homozygot F508 delmutationen förekommer hos cirka hälften av CF-patienterna.

CF går i dagsläget inte att bota. Till stor del handlar behandlingen om symtomlindring och att fördröja sjukdomens följder. Behandlingen är individuell på grund av stor variation i sjukdomens svårighetsgrad och symtom. Påverkan av miljö, variationer i genetiska mutationer och förekomst av gynnsamma mutationer i andra gener (som kan modifiera konsekvensen av en ofördelaktig mutation i CFTR-genen) är några förklaringar till symtomvariationen.

Orkambi är en tilläggsbehandling till ordinarie behandling. Företaget har angivit bästa understödande behandling som jämförelsealternativ.

3422/2018

Det ansöka priset för Orkambi är 116 521,25 kronor per förpackning, vilken räcker till 28 dagars behandling. Doseringen är en dospåse granulat två gånger dagligen, vilket ger en kostnad per dag om 4 161,47 kronor baserat på läkemedlets AUP. Det är samma kostnad per dag som för behandling med Orkambi tabletter.

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 8 § (första stycket) förmånslagen stadgas följande. 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.

TLV gör följande bedömning

TLV bedömer att svårighetsgraden för CF är mycket hög eftersom sjukdomen är långvarig och innebär en försämrad livskvalitet och en kraftigt förkortad livslängd.

TLV anser att det mest relevanta jämförelsealternativet är bästa understödande behandling utöver standardbehandling vid CF.

En klinisk studie med Orkambi i beredningsformen granulat visar en måttlig effekt på patienternas lungkapacitet hos CF-patienter som är två till fem år gamla. Studien visar att Orkambi granulat är säker och tolerabel till studerad dosering. TLV bedömer att effekten av behandling med Orkambi granulat för barn två till fem år ger liknande förbättringar av lungkapaciteten som behandling av vuxna eller barn äldre än sex år som behandlas med Orkambi tabletter.

3422/2018

För patienter i åldern två till fem år med CF saknas det idag andra alternativa sjukdomsmodifierande behandlingar. Övrig behandling som finns idag behandlar endast symptomen av den underliggande sjukdomen. Behandling med Orkambi förbättrar initialt lungfunktionen och fördröjer sedan sjukdomsförloppet genom en långsammare försämringstakt. Det är av stort värde för patienterna vid fortskridande sjukdomar att fördröja sjukdomens förlopp.

Enligt den godkända indikationen ska behandling endast ges till patienter med en specifik mutation vilket medför att antalet patienter, för den godkända indikationen, inte kommer att förändras avsevärt över tid.

Sidoöverenskommelsen omfattar all försäljning av Orkambi i samtliga beredningsformer, styrkor och förpackningsstorlekar inom läkemedelsförmånerna under avtalsperioden. I de fall en ny beredningsform, styrka eller förpackningsstorlek av Orkambi introduceras inom läkemedelsförmånerna under avtalstiden ska även dessa inkluderas. Priset för Orkambi granulat är detsamma som för Orkambi tabletter och med hänsyn tagen till innehållet i sidoöverenskommelsen bedömer TLV att kostnaden för behandling med Orkambi granulat är rimlig.

Sammantaget och med hänsyn tagen till människovärdesprincipen och behovs- och solidaritetsprincipen bedömer TLV att kriterierna i 15 § förmånslagen är uppfyllda för att Orkambi 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, överläkaren Inge Eriksson, intressepolitiska chefen Eva-Maria Dufva, överläkaren Maria Strandberg och docenten Gerd Lärfars. Ärendet har föredragits av den medicinska utredaren Tobias Karlberg. I den slutliga handläggningen har även hälsoekonomen Olof Mogard deltagit. Skiljaktig mening av universitetslektorn Martin Henriksson, se nedan.

Staffan Bengtsson

Tobias Karlberg

SKILJAKTIG MENING

Jag anser att Orkambi inte ska ingå i läkemedelsförmånerna. Kostnaden för läkemedlet är för hög i förhållande till den hälsa som vinnns.

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.