

Ärende	Beslut om införande av nya läkemedel efter rekommendation från Norrländska läkemedelsrådet. Avser läkemedlen Onpattro, Erleada, Quaziba, Spravato och Vyndaqel.		
Typ av beslut	<input checked="" type="checkbox"/> Delegationsbeslut <u>3.1.11 Beslut i frågor om införande av nytt läkemedel</u> <small>(ärendegrupp enligt delegationsordning)</small> <input type="checkbox"/> Verkställighetsbeslut		
Föredragande/ansvarig handläggare	Enligt bifogat underlag		
Beredning	Enligt bifogat underlag		
Vem/vilka omfattas av beslutet	Region Västerbotten		
Facklig samverkan	-		
Gäller fr.o.m. och t.o.m.	Se bifogade underlag		
Informerar till	HSLG, Hälso- och sjukvårdens ledningsgrupp Läkemedelscentrum, Jörn Schneede och Lena Holtlund Controller Ralph Kjellsson och Annika Zingmark		
Kommunikation av det fattade beslutet	Hur Info HSLG Mail till LMC och controllers Beslutet återrapporteras till HSN	När 220111 220112 220112	Ansvar Hälso- och sjukvårdsdirektör
Uppföljning	Hur	När	
Ansvar för återrapportering	Uppföljning sker enligt fastställd rutin, se underlag		

Beslut

Beslut har fattats om att Region Västerbotten ska följa rekommendationer från Norrländska läkemedelsrådet avseende läkemedlen Onpattro, Erleada, Quaziba, Spravato och Vyndaqel, enligt underlag.

2022-01-11



 Brita Winsa
 Hälso- och sjukvårdsdirektör



Regional introduktion av ny medicinsk metod

Rekommendation från Norrländska läkemedelsrådet

2021-04-26

Version 1

Onpattro®, patisiran

Avsett för behandling av ärftlig transtyretinamyloidos, ”Skelleftesjukan”.

Sammanfattande ställningstagande

Norrländska läkemedelsrådets arbetsgrupp för regional introduktion av nya läkemedel (ARIL) rekommenderar de norra regionerna att följa NT-rådets rekommendation

• att Onpattro kan användas vid ärftlig transtyretinamyloidos hos vuxna patienter med polyneuropati i stadium 1 eller 2 som försämrats trots behandling med ttr-stabiliserare Vyndaqel 20 mg (tafamidis). Försämring definieras som subjektivt upplevd försämring i kombination med något/några av följande mått i en sammanvägd helhetsbedömning:

- tydlig försämring vid neurofysiologisk undersökning
- >4 p försämring enligt Kumamoto-skalan
- ofrivillig viktneigång cirka 5 % av kroppsvikten / mBMI-minskning med cirka 10 % (modified BMI)
- debut av nya symtom eller tecken på ytterligare organpåverkan (undantag vid ögonamyloidos)

• att behandling med Onpattro initieras och utvärderas enligt NT-rådets riktlinjer framtagna i samråd med den nationella expertgruppen för ärftlig transtyretinamyloidos

• att använda kvalitetsregistret SveATTR-registret för uppföljning

• att teckna de nationellt framtagna avtalen för Onpattro och Vyndaqel 20 mg

NT-rådets rekommendation återfinns på janusinfo.se

Den samlade kostnadskonsekvensen för norra regionen för både Onpattro och Tegsedi beräknas till ca 100 Mkr under 2021 och ca 200 Mkr under 2022 (pris utan rabatter).

Uppföljning av ekonomiskt utfall mot uppskattad budgetkonsekvens genomförs av chefsamrådet och ARIL 8 ggr/år.

Generiskt namn och ATC-kod

Patisiran; N07XX12

Handelsnamn och tillverkare

Onpattro; Alnylam Sweden

Godkänd indikation

Familjär amyloid polyneuropati i stadium 1 eller 2 hos vuxna patienter med ärftlig transtyretinamyloidos (hATTR, Skelleftesjukan).

Nominering och anmälan

Jonas Wixner, Överläkare, Amyloidoscentrum, NUS, Umeå i samråd med Cecilia Fall, verksamhetschef, Medicincentrum, NUS, Umeå.

Kostnader för norra regionen

Det officiella listpriset är 3 Mkr/pat/år. Beräkningen nedan visar dosbehovet för patienter som väger 70 kg eller mindre. Dosbehovet kan öka ytterligare för patienter som väger mer än 70 kg, maximal årskostnad kan uppgå till 4,5 Mkr. Det finns dock ett sekretessbelagt nationellt framtaget avtal som innebär att Onpattro görs tillgängligt till listpris med rak återbäring. I tillägg tillkommer kostnader för behandling med Tegsedi, minst lika stort antal patienter. Det har även tecknats avtal för Tegsedi och Vyndaqel. Tegsedi används för samma indikation. Tegsedi är lättare att administrera men kräver tätare dosering och mer noggrann uppföljning av laboratorieparametrar. Onpattro kräver infusionsbehandling under anafylaxiberedskap, men glesare doseringsintervall och ingen uppföljning mellan behandlingarna. Den uppskattade kostnadskonsekvensen nedan är baserad på icke-rabatterat listpris.

Uppskattad kostnadskonsekvens för norra regionen

(2021)

	<u>Antal pat</u>	<u>Mkr / 12 mån</u>
RJH	1	3 Mkr
RVN	1	3 Mkr
RVB	7	21 Mkr
RNB	7	21 Mkr
Total	16	48 Mkr

(2022)

	<u>Antal pat</u>	<u>Mkr / 12 mån</u>
RJH	2	6
RVN	2	6
RVB	14	42
RNB	14	42
Total	32	96 Mkr

Ersätter annan läkemedelsbehandling

Behandlingen med Onpattro kommer att bli sekventiell och startar först när patienten har försämrats markant efter behandlingsförsök med Vyndaquel och/eller Diflunisal. Onpattro kommer därför bara i begränsad omfattning att kunna ersätta behandling med Vyndaquel eller Diflunisal. Troligen kommer antalet levertransplantationer kunna reduceras och även risken för långtidskomplikationer är troligen lägre med den nya genterapin jämfört med tidigare behandlingsoptioner. Patienter som behandlas med Onpattro kommer inte samtidigt att behandlas med tafamidis eller diflunisal (eller Tegsedi). Den slutliga fördelningen av patienter mellan Onpattro och Tegsedi är osäker. Det är även osäkert i vilken grad licenser för Diflunisal kommer att beviljas i framtiden.

Uppföljning

NT-rådet rekommenderar kontroll av TTR-nivåer i blodet inför behandling och 10 dagar efter behandlingsstart för att utvärdera behandlingseffekten. Återbesök 2 ggr/år enl. klinisk rutin.

Det planeras att använda kvalitetsregistret SveATTR för uppföljning när det blir tillgängligt.

Kontaktpersoner ARIL

Jörn Schneede, ordförande ARIL

Bilaga

Anmälan från Jonas Wixner



Regional introduktion av ny medicinsk metod

Rekommendation från Norrländska läkemedelsrådet

Version 2 - 2021-11-19

Erleada®, apalutamid

Avsett för behandling av vuxna män med icke-metastaserad kastrationsresistent prostatacancer (nmCRPC) som löper hög risk att utveckla metastaserad sjukdom och för behandling av vuxna män med metastaserad hormonkänslig prostatacancer (mHSPC) i kombination med androgen deprivationsterapi (ADT)

Sammanfattande ställningstagande

Norrländska läkemedelsrådets arbetsgrupp för regional introduktion av nya läkemedel (ARIL) rekommenderar de norra regionerna

- att Erleada kan användas för behandling av vuxna män med

1) icke metastaserad, kastrationsresistent prostatacancer (nmCRPC) som löper hög risk att utveckla metastaserad sjukdom,

2) metastaserad hormonkänslig prostatacancer (mHSPC) i kombination med androgen deprivationsterapi (ADT)

Kostnadskonsekvensen beräknas till 18,9 Mkr för norra regionen under första året efter introduktion. Beräkningen har inte tagit hänsyn till nationellt avtal för Erleada som har tecknats. Ytterligare kostnadsreduktion kan uppstå ifall att Erleada kan ersätta annan behandling, så som behandling med abirateron eller enzalutamid. För biverkningskänsliga äldre patienter kan behandling med Nubeqa bli aktuell. Regionerna har även tecknat nationellt avtal för Nubeqa.

Generiskt namn och ATC-kod

Apalutamid, L02BB05

Handelsnamn och tillverkare

Erleada, Janssen

Godkänd indikation

Avsett för behandling av vuxna män med icke-metastaserad kastrationsresistent prostatacancer (nmCRPC) som löper hög risk att utveckla metastaserad sjukdom och för behandling av vuxna män med metastaserad hormonkänslig prostatacancer (mHSPC) i kombination med androgen deprivationsterapi (ADT).

Nominering och anmälan

Camilla Thellenberg Karlsson, Överläkare, Onkologkliniken 20210608.

Aktuell nationell konsensus

Socialstyrelsen: -

TLV: Hälsoekonomiska utvärdering av Erleada har gjorts. Med hänsyn tagen till innehållet i sidoöverenskommelsen för Erleada, bedömer TLV att för indikation nmCRPC kostnaden per vunnet QALY för Erleada+ADT jämfört med ADT är cirka 360 000 kronor. För indikation mHSPC är QALY-kostnad cirka 640.000 till 850.000 kr, beroende på jämförelsalternativ.

Kloka listan: -

NT-rådet: Det finns en NT-rådsrekommendation för Xtandi från 2020-06-26. En egen rekommendation för Erleada finns inte.

Internationell konsensus

IQWiG: 2019-04-29: Tilläggsnyttan är betydligt.

ICER: (2018-09-13) Allt i allt kostnadseffektiv

NICE: NICE anbefalar Erleada på basis av ingått avtal

SMC: Not recommended

NCPE: The NCPE recommends that Erleada is not considered for reimbursement unless cost-effectiveness can be improved relative to existing treatments.

CADTH: Icke kostnadseffektiv till listpris.

Bakgrund

Prostatacancer med metastaserad sjukdom, antingen primärt vid diagnos eller vid återfall efter kurativ behandling. Med idag tillgänglig behandling i form av kastration och tillägg av antingen docetaxel eller abiraterone är medelöverlevnaden ca 4,5 år. Kortare om tilläggsbehandling (t.ex. docetaxel) utöver kastration kan ibland inte ges pga komorbiditet.

Huvudkonklusion

Det finns tillräcklig med evidens för effektivitet som tilläggsbehandling till ADT, men effekt på överlevnad är fortfarande oklar. De hälsoekonomiska bedömningarna är fortfarande behäftad med en viss osäkerhet kring långtidseffektivitet. De flesta internationella HTA-institutioner bedömer att användandet av Erleada till listpris inte är kostnadseffektivt, men ett flertal länder har som Sverige tecknat avtal som innebär prisreduktion. TLV bedömer behandling med Erleada inom subventionsbegränsning som kostnadseffektiv om man tar hänsyn till sidoöverenskommelsen.

Kostnader för norra regionen

Kostnaden (AUP) för 12 månaders behandling är cirka 315.000 kr per patient.

Uppskattad kostnadskonsekvens för norra regionen

Nedan uppskattas totalkostnad för behandling av 60 patienter under det första året efter introduktion. Den uppskattade totalpopulationen är c:a 100-150. Kostnaderna kan alltså öka under de kommande åren. Nubeqa är något dyrare men kan representera ett alternativ för ett fåtal äldre patienter som är biverkningskänsliga och inte tål behandling med Erleada. Regionen har tecknat avtal för både Erleada och Nubeqa som innebär betydligt lägre kostnad än listprisestimatet i tabellen.

	<u>Antal pat</u>	<u>Mkr / 12 mån</u>
RJH	10	3,15
RVN	15	4,7
RVB	20	6,3
RNB	15	4,7
Total	60	18,9 Mkr

Ersätter annan läkemedelsbehandling

Ja. Användandet av abirateron (Zytiga) kommer troligen att minska. Troligen skulle över hälften av ovan nämnda patientpopulationen kunna vara föremål för behandling med Xtandi/Zytiga på indikationen mHSPC. När regionen börjar använda Erleada tillkommer således troligen ett mindre antal patienter som idag står utan behandling eller ev. skulle ha behandlats med docetaxel-kombination.

Uppföljning

Kostnadsutveckling följs av ARIL i samarbete med RCC norr, c:a 8 ggr. per år.

Sammanfattande bedömning

Tillståndets svårighetsgrad anses vara mycket hög. Åtgärdens effektstorlek är god. Tillståndet är vanligt. Tillförlitligheten i den vetenskapliga dokumentationen är måttligt stark. Tillförlitligheten i den hälsoekonomiska bedömningen är måttligt till god. De flesta internationella HTA-enheter bedömer att Erleada inte är kostnadseffektiv till listpris.

Erleada kan användas inom subventionsbegränsningen under förutsättning av ingått avtal om prisreduktion. Ett fåtal biverkningskänsliga patienter kan bli aktuella för behandling med Nubeqa.

Kontaktpersoner ARIL

Jörn Schneede, ordförande ARIL

Bilaga

Anmälan från Camilla Thellenberg Karlsson Överläkare, Onkologkliniken



Regional introduktion av ny medicinsk metod

Rekommendation från Norrländska läkemedelsrådet

2021-11-11

Version 1

Quarziba®, dinutuximab

Avsett för behandling av neuroblastom

Sammanfattande ställningstagande

Norrländska läkemedelsrådets arbetsgrupp för regional introduktion av nya läkemedel (ARIL) rekommenderar de norra regionerna att följa NT-rådets rekommendation att Qarziba (dinutuximab beta) bör användas som första linjens behandling av högriskneuroblastom (HRNBL) hos patienter i åldern 12 månader och äldre samt till patienter med tidigare recidiverande eller refraktärt neuroblastom, med eller utan kvarvarande sjukdom. NT-rådets rekommendation återfinns på janusinfo.se

Kostnadskonsekvensen beräknas till 1,15 Mkr för norra regionen på årsbasis.

Uppföljning av ekonomiskt utfall mot uppskattad budgetkonsekvens genomförs av chefsrådet och ARIL 8 ggr. per år

Generiskt namn och ATC-kod

Dinituzumab beta, L01XC

Handelsnamn och tillverkare

Qarziba; EUSA Pharma (Netherlands)

Godkänd indikation

Behandling av högriskneuroblastom (HRNBL) hos patienter i åldern 12 månader och äldre som tidigare fått induktionskemoterapi där åtminstone partiellt svar har uppnåtts, efterföljt av myeloablative behandling och stamcellstransplantation, samt patienter med tidigare recidiverande eller refraktärt neuroblastom, med eller utan kvarvarande sjukdom. Dinituzumab binder sig till GD2 in vitro och har visat sig inducera både komplementberoende cytotoxicitet (CDC) och antikroppsberoende cellmedierad cytotoxicitet (ADCC).

Nominering och anmälan

NT-rådets sammanvägda bedömning är att Qarziba kan betraktas som kostnadseffektivt.

TLV värderar kostnaden per vunnet QALY för Qarziba + isotretinoin jämfört med isotretinoin i monoterapi till drygt 900 000 kronor, med känslighetsanalyser som spänner mellan 400 000 kronor och 1,5 miljoner kronor kr per vunnet QALY. Huvuddelen av känslighetsanalyserna som TLV redovisar skiljer sig dock endast marginellt från grundscenariot på 900 000 kr per vunnet QALY.

Brittiska NICE rekommenderar användningen av Qarziba inom ramen för ett återbärings-avtal mellan NHS och det marknadsförande företaget.

Skotska SMC rekommenderar användningen av Qarziba.

Irländska NCPE konstaterade att, till gällande pris, kunde användningen av Qarziba vid HRNBL inte betraktas som kostnadseffektiv. Irländska HSE (Health Service Executive) subventionerar dock Qarziba sedan 2019 till följd av konfidentiellt avtal med det marknadsförande företaget.

Statens legemiddelverk i Norge bedömer att Qarziba har en acceptabel kostnadseffektivitet trots rådande osäkerheter kring den långsiktiga effekten av Qarziba vid HRNBL. Myndighetens uppskattning är att kostnaden per vunnet QALY med Qarziba är 1,2 norska kronor.

Kanadensiska CATDH har utvärderat Unituxin (dinutuximab "alfa") som är den amerikanska motsvarigheten till Qarziba (dinutuximab beta). Myndighetens beslut var att bevilja subvention för Unituxin för användning i kombination med GM-CSF + IL-2 + isotretinoin d.v.s. den kombination som utvärderades i den amerikanska ANBL0032-studien.

Kostnader för norra regionen

I kostnadskalkylen gjordes en uppskattning att barnet har en genomsnittlig BSA på 0,5 m². Totaldosen per kur är 100 mg/m² och det ges totalt 5 kurer, dvs. totaldosen för ett barn med 0,5 m² som får totalt 5 kurer är 250 mg. Qarziba säljs i vialer a 20 mg till en kostnad av 95923 kr/vial. För behandlingen krävs alltså 12-13 vialer. I denna beräkning valde vi 12 vialers förbrukning per patient, då man måste räkna med ett visst behandlingsavbrott, men även svinn av Qarziba i samband med behandlingen. Genomsnittskostnaden beräknades därför till 12 x 95.923 kr = 1,15 Mkr.

Uppskattad kostnadskonsekvens för norra regionen

	<u>Antal pat</u>	<u>Mkr / 12 mån</u>
RJH	0,15	0,175
RVN	0,23	0,265
RVB	0,31	0,355
RNB	0,31	0,355
Total	1	1,15 Mkr

Ersätter annan läkemedelsbehandling

Nej, kompletterar tidigare behandling med retinoider, GM-CSF och IL-2

Uppföljning

Kontaktpersoner ARIL

Jörn Schneede, ordförande ARIL

Bilaga

Anmälan från Frans Nilsson, MC barn-onkologisk klinik och Sofie Holmgren, leg. apotekare.



Regional introduktion av ny medicinsk metod

Rekommendation från Norrländska läkemedelsrådet

2021-11-11

Version 3

Spravato®, esketamin

Avsett för behandling av terapirefraktär egentlig depression.

Sammanfattande ställningstagande

Norrländska läkemedelsrådets arbetsgrupp för regional introduktion av nya läkemedel (ARIL) rekommenderar de norra regionerna

- att visa stor restriktivitet i användandet av Spravato till dess att långtidsdata kring effekt och säkerhet av Spravato finns tillgängliga
- att Spravato i kombination med antidepressiva kan användas till strikt utvalda patienter med unipolär svår terapiresistent depression (F32.2) när andra behandlingsmöjligheter är uttömda
- att patienten bör ha prövat minst fyra behandlingsalternativ mot sin depression innan Spravato prövas
- att i övrigt inte använda Spravato
- att effekten av behandlingen ska utvärderas kontinuerligt (månadsvis) med både klinisk bedömning och skattningar (MADRS och funktionsskattningsskala). Vid utebliven eller otillräcklig effekt 4–6 veckor efter insättning ska Spravato sättas ut

I akutsituationer med stor suicidrisk:

- att i särskilda fall och efter särskilt övervägande använda Spravato som akut korttidsbehandling tillsammans med oral antidepressiv behandling vid svår depression där det föreligger en psykiatrisk nödsituation och där annan effektiv eller välbeprövad behandling i sådana situationer inte bedöms lämplig.
- att i övrigt inte använda Spravato
- att registrera behandling med Spravato med åtgärdskoderna DT018, N06AX27

Kostnadskonsekvensen beräknas till 6,5 Mkr för norra regionen under första året efter introduktion. I beräkningen ingår akutbehandlingen med en kostnad på 0,5 Mkr.

Uppföljning av ekonomiskt utfall mot uppskattad budgetkonsekvens genomförs av chefsrådet och ARIL 6-8 gånger per år.

Generiskt namn och ATC-kod

Esketamin N06AX27

Handelsnamn och tillverkare

Spravato

Godkänd indikation

Spravato, i kombination med SSRI eller SNRI, är indicerat för vuxna med behandlingsresistent egentlig depression som inte har svarat på minst två olika behandlingar med antidepressiva läkemedel i den pågående måttliga till svåra depressiva episoden

Nominering och anmälan

Markus Boman, Chefsöverläkare, Psyk.klin Sunderbyn sjukhus 20200921.

Aktuell nationell konsensus

Socialstyrelsen: Rekommenderar S-ketamin som tilläggsbehandling, prio 10

TLV: Hälsoekonomiska utvärdering av Spravato har gjorts. QALY-vinst 0,26 jämförd med vanlig antidepressiv behandling. QALY-kostnad 600.000 per QALY.

Kloka listan: -

NT-rådet: Gammal rekommendation finns från 2020-06-25. Revision av rekommendationen i 2021-06-30, psykiatrisk nödsituation: "att i särskilda fall och efter särskilt övervägande använda Spravato som akut korttidsbehandling tillsammans med oral antidepressiv behandling vid svår depression där det föreligger en psykiatrisk nödsituation och där annan effektiv eller välbeprövad behandling i sådana situationer inte bedöms lämplig".

Internationell konsensus

IQWiG: 2021-06-01: Inget belägg för tilläggsnyttan.

ICER: (2020) Evidence is adequate to demonstrate clinical benefits of esketamine versus placebo, but concerns remain about the study criteria used to define treatment-resistant depression and the lack of longer-term data on esketamine's safety and effectiveness. Esketamine's list price would require a 25-52% discount to reach a fair value-based price benchmark.

NICE: NICE does not recommend a nasal spray medicine for treatment-resistant depression.

SMC: Har accepterat behandling med Spravato under förutsättning att patienter ingår i "patient access scheme".

NCPE: The NCPE recommends that esketamine (Spravato®) not be considered for reimbursement unless cost-effectiveness can be improved relative to existing treatments.

ICER: ICER found that the fair value-based price benchmark for esketamine is between \$17,700 and \$25,200 per year, a range that would require a 25-52% discount from the announced list price of \$32,400. Consistent with ICER's value-

assessment framework, esketamine is deemed to deliver a “low value for money” because the treatment’s incremental cost-effectiveness ratio, using the current list price, exceeds \$175,000 per quality-adjusted life year (QALY) gained.

CADTH: The CADTH Canadian Drug Expert Committee recommends that esketamine not be reimbursed for the treatment of major depressive disorder in adults

Bakgrund

Depression tillhör de stora folksjukdomarna världen över och är en av de ledande orsakerna till ohälsa och funktionsnedsättning. Egentlig depression (unipolär) kännetecknas av en eller flera episoder med sänkt stämningsläge och/eller minskad förmåga till känslomässigt engagemang samt nedsatt funktionsförmåga inklusive nedsatt kognition. Andra vanligt förekommande symtom är känsla av värdelöshet, skuld känslor, sömnstörningar och psykomotorisk hämning eller agitation. Självmordstankar är vanliga och risken för fullbordat självmord är förhöjd.

Huvudkonklusion

Det finns tillräcklig med evidens för effektivitet jämförd med placebo, men effekt och säkerhet på lång sikt är fortfarande oklara. De hälsoekonomiska bedömningarna är fortfarande osäkra. De flesta internationella HTA-institutioner bedömer att användandet av Spravato till listpris inte är kostnadseffektiv.

Kostnader för norra regionen

Kostnaden för 9 månaders behandling är 120.000 kr per patient. Det finns osäkerhet kring hur länge behandlingen kan/ska fortgå och risken för återfall efter avslutad behandling och ev. behov för nyinsättning.

Uppskattad kostnadskonsekvens för norra regionen

Nedan uppskattas totalkostnad för behandling av 50 patienter under det första året efter introduktion. Den uppskattade totalpopulationen är c:a 500. Kostnaderna kan alltså öka under de kommande åren. Ett fåtal patienter kommer att kunna använda Spravato i akutsituationer i särskilda fall och efter särskilt övervägande som akut korttidsbehandling (4 veckor) tillsammans med oral antidepressiv behandling vid svår depression där det föreligger en psykiatrisk nödsituation och där annan effektiv eller välbeprövad behandling inte bedöms lämplig. Kostnaden för korttidsbehandling i akutsituationer beräknas till c:a 50.000 per patient.

	<u>Antal pat</u>	<u>Mkr / 12 mån</u>	<u>Ind. egentlig depr.</u>
RJH	8	0,96	
RVN	12	1,44	
RVB	15	1,8	
RNB	15	1,8	

Total	50	6 Mkr	
	<u>Antal pat</u>	<u>Mkr / 12 mån</u>	<u>Ind. psyk. nödsit.</u>
RJH	2	0,1	
RVN	2	0,1	
RVB	3	0,15	
RNB	3	0,15	
Total	10	0,5 Mkr	

Ersätter annan läkemedelsbehandling

Nej. Är tänkt som 5:a linjens behandling.

Uppföljning

Kostnadsutveckling följs av ARIL i samarbete med RCC norr, c:a 8 ggr. per år.

Sammanfattande bedömning

Tillståndets svårighetsgrad anses vara hög. Åtgärdens effektstorlek är liten och osäker. Tillståndet är vanligt. Tillförlitligheten i den vetenskapliga dokumentationen är låg. Tillförlitligheten i den hälsoekonomiska bedömningen är låg. Tyska IQWiG bedömer att det inte finns belägg för tilläggsnytta. Det samma gäller den externa validiteten. QALY-kostnad är c:a 600.000 kronor. Det flesta internationella HTA-enheter bedömer att Spravato inte är kostnadseffektiv till listpris. Spravato bör bara användas vid svår depression när andra behandlingsmöjligheter är uttömda.

Kontaktpersoner ARIL

Jörn Schneede, ordförande ARIL

Bilaga

Anmälan från Markus Boman, Chefsöverläkare, Psyk.klin Sunderbyn sjukhus.



Regional introduktion av ny medicinsk metod

Rekommendation från Norrländska läkemedelsrådet

2021-11-11

Version 1

Vyndaqel®, Tafamidis

Vyndaqel är indikerat för behandling av vildtyp eller hereditär transtyretinamyloidos (TTR-amyloidos) hos vuxna med kardiomyopati (ATTR-CM).

Sammanfattande ställningstagande

Norrländska läkemedelsrådets arbetsgrupp för regional introduktion av nya läkemedel (ARIL) rekommenderar de norra regionerna

- att Vyndaqel 61 mg bör användas vid vildtyp eller ärftlig transtyretinamyloidos hos vuxna patienter med kardiomyopati och funktionsklass I eller II
- att använda kvalitetsregistret SveATTR-registret för uppföljning

Kostnadskonsekvensen beräknas till 100 Mkr för norra regionen under första året efter introduktion. Kostnaderna kan komma att öka till 151 Mkr (2022) och 164 Mkr (2023).

Generiskt namn och ATC-kod

Tafamidis N07XX08

Handelsnamn och tillverkare

Vyndaqel, Pfizer

Godkänd indikation

Vyndaqel 61 mg är avsett för behandling av vildtyp eller ärftlig transtyretinamyloidos hos vuxna med kardiomyopati. Vyndaqel innehåller tafamidis som är en selektiv stabiliserare av TTR-proteinet och hejdar den amyloidogena processen i hjärtmuskeln genom att hindra sönderfallandet av transtyretintetrameret. Därmed motverkas irreversibel skada och försämrad hjärtmuskel-funktion.

Nominering och anmälan

Björn Pilebro, Kardiolog, MC Kardiologi; NUS 20210929.

Aktuell nationell konsensus

Socialstyrelsen: Tafamidis 61 mg (Vyndaqel) ingår i förmånen med begränsning sedan september 2021. Begränsningen omfattar ärftlig transtyretinamyloidos (ATTRv, även kallad "Skelleftesjukan") utan betydande amyloidosymtom från andra organ än hjärtat samt förvärvad sjukdom ATTRwt (vildtyp). Läkemedelskostnaden för tafamidis 61 mg uppgår till 109 000 kronor per månad (AUP). Det finns ett återbäringsavtal mellan företaget och regionerna gällande produkten. Sedan tidigare används tafamidis i styrkan 20 mg med en angränsande indikation inom slutenvården. En relativ stor andel av patienterna behandlas fortfarande med diflunisal som också är en stabiliserare av transtyretin med en effekt som är snarlik verkningsmekanism till tafamidis. Det finns runt 450 personer i Sverige med ATTRv och en andel av dessa är aktuella för behandling. I TLV:s beslut framgår att licensläkemedlet diflunisal tidigare förskrivits på licens för patienter med kardiomyopati och/eller polyneuropati. TLV anger även att diflunisal inte kommer finnas tillgängligt för majoriteten av patienterna eftersom tafamidis 61 mg numera finns som godkänt läkemedel. Runt 150 patienter behandlades med diflunisal under 2019 och runt 140 under 2020. I prognosen antas runt 100-200 patienter behandlas med tafamidis 61 mg mot slutet av 2022.

TLV: Hälsoekonomiska utvärdering av Vyndaqel 61 mg har gjorts. TLV bedömer att kostnaden i förhållande till nyttan är rimlig bara för en begränsad grupp patienter. TLV har beräknat att kostnaden per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår med hänsyn tagen till sidoöverenskommelsen är cirka 968 000 kronor.

NT-rådet: Uppdaterad rekommendation finns från 2021-09-03. Rekommenderar användandet vid vildtyp eller ärftlig transtyretinamyloidos hos vuxna patienter med kardiomyopati och funktionsklass I eller II.

Internationell konsensus

Ej relevant

Bakgrund

Det finns runt 450 personer i Sverige med ATTrv och en andel av dessa är aktuella för behandling enligt nuvarande subventionsbegränsning. Förekomsten av vild-typ är inte klarlagd och uppskattningar har visat att drygt 2 000 patienter kan ha sjukdomen i Sverige, men det är osäkert hur stor andel som har nytta av behandlingen, kanske 15-20%.

Huvudkonklusion

Inom indikationsbegränsningen bedömer TLV användandet av tafamidis till avtalspris som kostnadseffektivt och läkemedlet ingår i förmån.

TLV har haft trepartsöverläggningar med företaget och regionerna. Inom ramen för dessa överläggningar har företaget och regionerna tecknat en sidoöverenskommelse för Vyndaqel 61 mg som innebär att behandlingens kostnader för läkemedlet minskar.

Med hänsyn tagen till sidoöverenskommelsen bedömer TLV att kostnaden i förhållande till nyttan inte har visats vara rimlig för hela Vyndaqel 61 mg:s godkända användningsområde. Däremot bedömer TLV att kostnaden i förhållande till nyttan är rimlig för en begränsad grupp patienter.

Kostnader för norra regionen

Kostnaden för 1 månads behandling är SEK 107.000 kr per patient, eller 1,28 Mkr per patient och år (AUP). Det finns osäkerhet kring hur länge behandlingen kan/ska fortgå.

Uppskattad kostnadskonsekvens för norra regionen

Nedan uppskattas total kostnad för behandling av patienter med ATTrv och ATTwt. Norrbotten och Västerbotten har majoriteten av ATTrv, medan ATTwt antas vara jämt fördelad i alla fyra regionerna. Totalt antas att c:a 30-40 patienter med ATTwt kan vara i behov av behandling i hela norra region. Majoriteten av patienterna som behandlas i Norrbotten och Västerbotten kommer att tillhöra gruppen ATTrv.

	<u>Antal pat</u>	<u>Mkr / 12 mån</u>	<u>2021</u>
RJH	5	6,4	
RVN	8	10,2	
RVB	35	44,8	
RNB	30	38,4	
Total	78	99,8 Mkr	

	<u>Antal pat</u>	<u>Mkr / 12 mån</u>	<u>2022</u>
RJH	5	6,4	
RVN	8	10,2	
RVB	55	70,4	
RNB	50	64,0	
Total	118	151 Mkr	

	<u>Antal pat</u>	<u>Mkr / 12 mån</u>	<u>2023</u>
RJH	5	6,4	
RVN	8	10,2	
RVB	60	76,8	
RNB	55	70,4	
Total	128	163,8 Mkr	

Ersätter annan läkemedelsbehandling

Ja, en relativ stor andel av patienter som idag får diflunisal, men besparingspotential är liten eftersom behandling med diflunisal är relativt billig.

Uppföljning

Kostnadsutveckling följs av ARIL i samarbete med berörda kardiologer och kvalitetsregistret SveATTR, c:a 8 ggr. per år.

Sammanfattande bedömning

Diflunisal bör användas enligt NT-rådets rekommendation.

Kontaktpersoner ARIL

Jörn Schneede, ordförande ARIL

Bilaga

Anmälan från Björn Pilebro, Kardiolog, MC Kardiologi.