

NT-rådet

Hälso- och sjukvårdsdirektörs-
nätverket

NT-rådets yttrande till landsting och regioner gällande behandling med eculizumab (Soliris) vid atypiskt hemolytiskt uremiskt syndrom

NT-rådet rekommenderar landsting och regioner att på grund av det mycket höga priset avstå från behandling med eculizumab (Soliris).

Bakgrund

Dåvarande NLT-gruppen blev av Region Skåne ombedd att avge en rekommendation gällande behandling med eculizumab vid atypiskt hemolytiskt uremiskt syndrom (aHUS).

På uppdrag av dåvarande NLT-gruppen tog TLV i sitt klinikläkemedelsprojekt fram ett [hälsoekonomiskt kunskapsunderlag](#)¹ med bedömning av kostnadseffektiviteten av vid denna indikation.

Tillståndets svårighetsgrad

TLV bedömer svårighetsgraden hos sjukdomen som hög (på en skala av hög, medelhög och låg) då den innebär hög risk för både ökad mortalitet och morbiditet, samt låg livskvalitet för patienten.

Åtgärdens effektstorlek (nytta i förhållande till risk)

Nytan av behandlingen bedöms som god vid tidig insättning. Enligt TLV:s rapport har effekten av eculizumab vid behandling av aHUS utvärderats i fem kliniska studier i totalt 130 patienter. I samtliga studier förbättrades symptomen på aHUS, livskvaliteten ökade och behovet av dialys och plasmautbyte/plasmainfusion minskade. Den vanligaste biverkningen var huvudvärk och den svåraste var hjärnhinneinflammation.

Tillståndets sällsynthet

Det finns omkring 45 patienter med aHUS i Sverige.

Åtgärdens kostnadseffektivitet

TLV fick inte in något hälsoekonomiskt underlag från företaget, och valde därför att göra en grov uppskattning av kostnaden per QALY, som enligt TLV:s rapport är mycket osäker. Priset för en årsbehandling med Soliris är upp till 4,5 miljoner kronor för en vuxen patient. Kostnaden per vunnet QALY har i ett förenklat räkneexempel uppskattats till mellan 12 och 29 miljoner kronor (för vuxna patienter) jämfört med plasmaintfusion/plasmautbyte och dialys.

Tillförlitligheten i det vetenskapliga underlaget

Tillförlitligheten i det vetenskapliga underlaget för kostnadseffektivitetsbedömningen är låg (på en skala från mycket hög, hög, måttlig till låg) pga måttlig tillförlitlighet i det vetenskapliga underlaget för effektvärderingen och då företaget inte lämnat in något underlag för den hälsoekonomiska värderingen. Att kostnaden per QALY blir långt över vad som normalt betraktas som kostnadseffektivt kan dock anses som fastställt.

Sammanvägd bedömning

Den sammanvägda bedömningen baseras på en värdering utifrån den etiska plattformen för prioriteringar och dess tre principer: människovärdesprincipen, behovs- och solidaritetsprincipen och kostnadseffektivitetsprincipen. Plattformen har operationaliserats i fem relevanta dimensioner: Tillståndets svårighetsgrad, Åtgärdens effektstorlek, Tillståndets sällsynthet, Åtgärdens kostnadseffektivitet och tillförlitligheten i de data som ligger till grund för övriga fyra dimensioner.

Tillståndets svårighetsgrad är mycket hög.

Åtgärden har en god effekt på tillståndet för de flesta patienter.

Tillståndet är sällsynt vilket motiverar en något förhöjd betalningsvilja.

Det vetenskapliga stödet för den hälsoekonomiska värderingen är svagt.

Åtgärdens kostnadseffektivitetskvot är inte beräknad men uppskattas till mellan 12-29 miljoner per QALY vilket är i storleksordningen 10-30 gånger högre än vad som i normalfallet har accepterats av TLV för behandling av tillstånd av mycket hög svårighetsgrad.

Trots att tillståndets svårighetsgrad, åtgärdens effektstorlek och tillståndets sällsynthet motiverar en högre betalningsvilja ligger i detta fall åtgärdens kostnadseffektivitetskvot mycket långt över vad som kan anses vara en rimlig förhöjd betalningsvilja.

Företaget Alexion har kontaktats av NT-rådets förhandlingsgrupp för att försöka få till stånd en överenskommelse om prissättning/avtal kring riskdelning på en för bägge parter acceptabel nivå och mot bakgrund av att preparatet används idag även på annan

indikation. Dessa förhandlingar har inte lett fram till något rabatterbjudande till landstingen som inneburit att prisnivån är acceptabel.

På grundval av dessa överväganden rekommenderar NT-rådet landsting och regioner att avstå från behandling med Soliris vid indikation aHUS i avvaktan på fortsatta prispförhandlingar med företaget.

För NT-rådet,

Stefan Back, ordförande

Referenser

1 <http://www.tlv.se/lakemedel/Kliniklakemedelsuppdraget/avslutade-halsoekonomiska-bedomningar/Halsoekonomisk-bedomning-av-Soliris1/>

Om NT-rådets rekommendationer

<http://www.janusinfo.se/Nationellt-inforande-av-nya-lakemedel/Nationellt-inforande-av-nya-lakemedel/NT-radets-rekommendationer-grunder-till-beslut/>

Närvarande vid beslut: Lars Lööf, Uppsala/Örebro sjukvårdsregion,
Eva Andersén Karlsson, sjukvårdsregion Stockholm/Gotland, Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen, Anna Lindhé, Västra Götalandsregionen, Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen

Jäv: Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet