



**NLT-gruppen**

**Landstingsdirektörsnätverket**

## **NLT-gruppens rekommendation till landstingen gällande behandling med eculizumab vid paroxysmal nocturn hemoglobinuri (PNH)**

NLT-gruppen har uppmärksammat ett behov av rekommendation till landstingen avseende behandling med eculizumab (Soliris<sup>®</sup>) vid paroxysmal nocturn hemoglobinuri (PNH).

Särläkemedlet eculizumab har endast begränsad klinisk och vetenskaplig dokumentation och har som rekvisitionsläkemedel inte varit föremål för bedömning av TLV för att eventuellt omfattas av läkemedelsförmånen. Eculizumab ingår inte i den solidariska finansieringsmodellen för vissa särskilt dyra läkemedel. Beslut om kostnadstäckning av eventuell behandling kommer därför att ske på landstings- eller regionnivå. Eculizumab är ett mycket dyrt läkemedel. Kostnaden för behandling med preparatet är mycket hög – långt över den nivå som normalt anses som kostnads-effektiv – och preparatet skulle med stor sannolikhet inte ingå i läkemedelsförmåner om det bedömts av TLV. Det är rimligt att landsting och regioner använder samma nivå för sina bedömningar.

### **NLT gruppen rekommenderar därför landstingen:**

- Att som regel inte använda eculizumab för behandling av PNH vid den prisnivå som idag anges
- Att om behandling ändå bedöms oundgänglig, följa de nationella rekommendationer för diagnostik, behandling och uppföljning av patienter med PNH, som har utarbetats av Svenska PNH-gruppen inom Svensk Förening för Hematologi (se bilaga)

För NLT-gruppen

Anders Hallberg  
Ordf NLT-gruppen

Bilaga: Paroxysmal nocturn hemoglobinuri (PNH). Nationella rekommendationer för diagnostik, behandling och uppföljning. Svenska PNH-gruppen 2011-05-01

**Sveriges Kommuner och Landsting**

118 82 Stockholm, Besök: Hornsgatan 20  
Tfn: växel 08-452 70 00, Fax: 08-452 70 50  
E-post: info@skl.se, www.skl.se

*Svenska Kommunförbundet och Landstingsförbundet i samverkan*

## Bakgrund

Ecilizumab (Soliris<sup>®</sup>) är det enda godkända läkemedlet som finns tillgängligt för behandling av PNH. Sjukdomen är sällsynt med en förekomst av ca 13-15 fall/miljon invånare, vilket innebär att omkring 120-140 personer i Sverige har någon form av PNH.

Sjukdomens svårhetsgrad varierar, men PNH kan bli allvarlig och kräva återkommande blodtransfusioner samt ge svåra blodproppar, sänkt livskvalitet och förkortad överlevnad.

Behandlingskostnaden för ecilizumab är mycket hög och läkemedlet omfattas inte av förmånen. Den förväntade årliga läkemedelskostnaden är ca 3,4 milj kr per patient. Den vetenskapliga dokumentationen av ecilizumab är begränsad.

Med anledning av den nya men mycket dyra behandlingsmöjligheten med ecilizumab tog Svensk Förening för Hematologi under år 2010 initiativ till att bilda en nationell grupp, Svenska PNH-gruppen. Gruppen består av specialister på PNH från samtliga sjukvårdsregioner och har haft uppdraget att ta fram en nationell rekommendation för diagnostik, behandling och uppföljning av PNH.

Under 2011 har NLT-gruppen haft en dialog med specialisterna i PNH-gruppen för att skapa en gemensam, nationell rutin för bedömning och uppföljning av samtliga PNH-patienter som kan vara aktuella för ecilizumabbehandling. Rutinen innebär i korthet att en patient först bedöms av PNH-intresserad hematologspecialist vid regionklinik. Därefter görs en motsvarande bedömning av Svenska PNH-gruppen, som också ansvarar för att alla PNH-patienter registreras och följs upp i det internationella PNH-registret.

### Sveriges Kommuner och Landsting

118 82 Stockholm, Besök: Hornsgatan 20  
Tfn: växel 08-452 70 00, Fax: 08-452 70 50  
E-post: info@skl.se, www.skl.se

*Svenska Kommunförbundet och Landstingsförbundet i samverkan*