



Tauroursodeoxikolsyra och natriumfenylbutyrat vid ALS

NT-rådets yttrande till regionerna 2023-01-13

Rekommendation i väntan på pågående utredning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att avvakta med behandling med tauroursodeoxikolsyra och natriumfenylbutyrat till dess att TLV beslutat huruvida läkemedlet ska omfattas av läkemedelsförmånerna eller inte.

Om läkemedlet

Läkemedelsföretaget har ansökt till den europeiska läkemedelsmyndigheten, EMA om att tauroursodeoxikolsyra i kombination med natriumfenylbutyrat ska bli godkänt för användning vid amyotrofisk lateral skleros (ALS). Tauroursodeoxikolsyra är ett taurinkonjugat av ursodeoxikolsyra. Ursodeoxikolsyra förekommer naturligt i galla hos människa i låg koncentration och finns som läkemedel vid primär biliär cirros. Båda substanserna anses vara neuroprotektiva, men verkningsmekanismen är inte fullständigt klarlagd.

Motivering

NT-rådet beslutade 2022-10-05 att tauroursodeoxikolsyra i kombination natriumfenylbutyrat omfattas av nationell samverkan. För att göra en bedömning av behandlingens värde med hänvisning till den etiska plattformen för prioritering behövs en hälsoekonomisk värdering. Eftersom det väntas bli ett förskrivningsläkemedel, sker detta genom att det marknadsförande företaget gör en förmånsansökan hos Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV).

NT-rådet planerar inte att komma med någon ytterligare rekommendation efter att TLV gjort en hälsoekonomisk värdering, utan hänvisar då till TLV:s beslut. Vägledning kring användning av läkemedlet planeras ges av de regionala läkemedelskommittéerna.

Till dess att TLV beslutat om tauroursodeoxikolsyra i kombination med natriumfenylbutyrat ska ingå i läkemedelsförmånerna rekommenderas regionerna att avvakta med införande av läkemedlet för att undvika införande på osäkra grunder och en ojämlig hantering i landet.