

Elfabrio (pegunigalsidas alfa) vid Fabrys sjukdom

NT-rådets yttrande till regionerna 2023-12-21

Rekommendation i väntan på pågående utredning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att avvakta med användning av Elfabrio vid Fabrys sjukdom i väntan på TLV:s omprövning av om läkemedlen vid Fabrys sjukdom ska omfattas av högkostnadsskyddet

Om läkemedlet

Elfabrio är avsett för långvarig enzymersättningsbehandling hos vuxna patienter med en bekräftad diagnos av Fabrys sjukdom (brist på alfagalaktosidas).

Motivering

NT-rådet beslutade 2022-12-07 att Elfabrio omfattas av nationell samverkan.

Det finns sedan tidigare tre läkemedel för behandling av Fabrys sjukdom inom läkemedelsförmånerna: Fabrazyme, Galafold och Replagal. Utifrån att Elfabrio och Fabrazyme bedöms ha jämförbar effekt beslutade TLV i november 2023 att även Elfabrio omfattas av läkemedelsförmånerna. Beslutet fattades efter en kostnadsjämförelse med Fabrazyme.

Behandlingskostnaden för läkemedlen för Fabrys sjukdom är mycket hög. TLV har inlett en omprövning av subventionen för alla fyra läkemedlen. Syftet med omprövningen är att säkerställa att kostnaden för användningen av läkemedlen är rimlig.

Till dess att TLV har färdigställt sin omprövning rekommenderas regionerna att avvakta med att låta patienter med pågående behandling av Fabrys sjukdom byta till Elfabrio. När TLV:s omprövning är klar kommer det att göras en sammanvägd bedömning av läkemedlens kostnadseffektivitet, vilket kan resultera i att endast något eller några läkemedel rekommenderas. För att undvika multipla byten av läkemedel rekommenderas därför att invänta utfallet av TLV:s omprövning.