

# Xenpozyme (olipudas alfa) vid surt sfingomyelinas-brist

NT-rådets yttrande till regionerna 2023-05-22

## Rekommendation och sammanvägd bedömning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att avvakta med behandling med Xenpozyme till dess att NT-rådet har genomfört en sammanvägd bedömning av behandlingens värde utifrån den etiska plattformen för prioritering

## Om läkemedlet

Xenpozyme är indicerat som enzymersättningsterapi för behandling av symtom utanför centrala nervsystemet (CNS) vid surt sfingomyelinas-brist (Acid Sphingomyelinase Deficiency, ASMD) hos barn och vuxna med typ A/B eller typ B.

## Motivering

NT-rådet beslutade 2023-01-18 att Xenpozyme omfattas av nationell samverkan. Detta innebär att NT-rådet kommer att avge en rekommendation till regionerna om dess användning. För att NT-rådet ska kunna göra en bedömning av behandlingens värde med hänvisning till den etiska plattformen för prioritering behövs en hälsoekonomisk värdering. NT-rådet har beställt en sådan värdering från Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV).

Till dess att NT-rådet kan göra en sammanvägd bedömning och avge en rekommendation, rekommenderas regionerna att avvakta med införande av Xenpozyme för att undvika införande på osäkra grunder och en ojämlig hantering i landet.