

# Pombiliti (cipaglukosidas alfa) och Opfolda (miglustat) vid Pompes sjukdom

NT-rådets yttrande till regionerna 2023-10-23

## Rekommendation i väntan på pågående utredning

### NT-rådets rekommendation till regionerna är:

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

## Om läkemedlen

Pombiliti (cipaglukosidas alfa) är en enzymsättningsterapi för långvarigt bruk som används i kombination med enzymstabilisatorn Opfolda (miglustat) för behandling av vuxna med sent debuterande Pompes sjukdom.

## Motivering

NT-rådet beslutade 2022-05-23 att Pombiliti och Opfolda omfattas av nationell samverkan. Det innebär att NT-rådet kommer att avge en rekommendation om användningen till regionerna. 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 Pombiliti och Opfolda för att undvika införande på osäkra grunder och en ojämlig hantering i landet.