



Upstaza (eladokagen-exuparvovek) vid AADC-brist

NT-rådets yttrande till regionerna 2022-10-27

Rekommendation i väntan på pågående utredning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

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

Om läkemedlet

Upstaza (eladokagen-exuparvovek) är avsett för för behandling av patienter i åldern 18 månader och äldre med en klinisk, molekylär och genetiskt bekräftad diagnos på brist på aromatisk L-amino-syra dekarboxylas (AADC) med en svår fenotyp.

Motivering

NT-rådet beslutade 2021-04-14 att Upstaza omfattas av nationell samverkan. Det innebär att NT-rådet kommer att avge en rekommendation om dess användning 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 av Upstaza för att undvika införande på osäkra grunder och en ojämlig hantering i landet.