



Kaftrio (elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor) vid cystisk fibros

NT-rådets yttrande till regionerna 2020-09-11

Rekommendation i väntan på pågående utredning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att generellt avstå från att använda Kaftrio till dess att Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) beslutat om läkemedlet ska omfattas av läkemedelsförmånerna och NT-rådet avgivit en ny rekommendation
- att individuella fall av patienter som är i behov av transplantation och där ytterligare försämring av tillståndet äventyrar möjligheten till transplantation, kan komma i fråga för behandling med Kaftrio efter diskussion med det nationella behandlingsrådet för cystisk fibros

Om läkemedlet

Kaftrio (elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor) är avsett som en kombinationsregim med ivakaftor för behandling av cystisk fibros hos patienter 12 år och äldre som är homozygota för mutationen F508del i CFTR-genen eller heterozygota för F508del i CFTR-genen med en minimal funktionsmutation.

Motivering

NT-rådet beslutade 2020-01-16 att Kaftrio omfattas av nationell samverkan. Detta innebär att NT-rådet kommer att avge en rekommendation om dess användning. För en bedömning av behandlingens värde med hänvisning till den etiska plattformen för prioritering behövs en hälsoekonomisk värdering. Eftersom Kaftrio är ett förskrivningsläkemedel, sker detta genom att det marknadsförande företaget gör en förmånsansökan hos Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV). NT-rådet kommer att lämna sin rekommendation efter att TLV beslutat om Kaftrio ska omfattas av läkemedelsförmånerna.

Det är angeläget att Kaftrio genomgår en hälsoekonomisk värdering genom förmånsansökan, innan det införs i sjukvården. Undantag kan utgöras av patienter som riskerar att avlida i väntan på lungtransplantation. Sådana patientfall bör diskuteras av det nationella behandlingsrådet för cystisk fibros.

Läkemedelsverket har godkänt ett compassionate use-program (CUP) för Kaftrio. Patienter som inkluderas kan bara få behandling finansierad av företaget (Vertex) så länge detta program pågår. Programmet kan avslutas på företagets initiativ med 15 dagars uppsägningstid.



Mer information

[Frågor och svar om NT-rådet och hälsoekonomi](#)

[Läkemedelsverkets information om Compassionate use program](#)

Tidpunkt för revision av yttrandet

Denna rekommendation har uppdaterats 2020-09-11 med anledning av att läkemedlet fått marknadsgodkännande och att ett compassionate use-program (CUP)-pågår. Rekommendationen kommer att uppdateras när TLV fattat beslut om läkemedlet ska omfattas av läkemedelsförmånerna.

INAKTUELL