



# NT-rådet 10 september 2025

---

## Deltagare

### NT-rådet

Åsa Derolf, ordförande, Region Stockholm  
Mårten Lindström, vice ordf. Sydöstra regionen  
Anders Bergström, Norra regionen  
Maria Palmetun Ekbäck, Region Mellansverige  
Anna Lindhé, Västra regionen  
Rickard Malmström Reg. Stockholm-Gotland  
Linda Staaf, Södra regionen  
Kristina Aggefors, Region Stockholm  
Oskar Ahlberg, Riksförbundet för sällsynta sjd.  
Gustaf Befrits, Region Stockholm  
Lena Gustafsson, VGR  
Susanne Dieroff Hay, Bröstcancerförbundet  
Lena Ivö, SKR  
Jan Liliemark, SKR  
Marianne Aufrecht Gustafsson, Reg. Stockholm  
Ricard Nergårdh, Region Uppsala  
Mikael Svensson, SKR  
Kenneth Villman, NAC

### Från Livscykel och Marknad

Elisabet Andersson, Region Västmanland  
Aryoutha Asmar Talani, Reg. Östergötland

### Gäster

TLV (punkt 3)

### Frånvarande

Lars Sandman, Linköpings universitet

## 1. Inledning

Åsa Derolf inledde mötet. Gustaf Befrits utsågs till justeringsperson. Ingen mötesdeltagare hade jäv att deklarerera för dagens ärenden. Protokollet från föregående möte godkändes.

## 2. Tidiga bedömningsrapporter, avvakta-rekommendation

Två tidiga bedömningsrapporter från horisontspaningsarbetet presenterades.

### Trofinetid vid Retts syndrom

Sjukdomen påverkar den neurologiska utvecklingen och ger motoriska och intellektuella funktionsnedsättningar. Trofinetid är en syntetisk analog av tripeptiden glycin-prolin-glutamat. Det är godkänt i USA och ett utlåtande från EMA väntas i oktober. Det ges peroralt, är en oral lösning. Mycket små förbättringar visades i fas 3-studien och det två uppföljande studierna. Beslut: ingen nationell samverkan via NT-rådet. Läkemedlet hanteras regionalt efter förmånsansökan och beslut från TLV.



### **Doxecitin/doxribtimin vid tymidkinas 2-brist**

Mycket sällsynt sjukdom, endast ett par hundra har diagnostiserats globalt sedan sjukdomen upptäcktes 2001. Ökad genetisk diagnostik kan leda till att fler, även mildare fall, hittas. Ger muskelsvaghet och påverkan på gång, födointag, andning. Delas in i tre huvudgrupper, baserat på debutålder, med varierande symtombild och prognos. Doxecitin/doxribtimin administreras peroralt.

Beslut: ingen nationell samverkan via NT-rådet. Läkemedlet hanteras regionalt efter förmånsansökan och beslut från TLV.

### **Blenrep (belantamab mafodotin)**

En rekommendation om att avvakta med användning av Blenrep vid multipelt myelom, i väntan på en hälsoekonomisk värdering, fastställdes.

## **3. TLV – hälsoekonomiska värderingar**

### **Ebvallo**

Emma Norrefalk och Sofie Sjöborg presenterade en hälsoekonomisk värdering för Ebvallo (tabelekleucel) som är indicerat som monoterapi för behandling av vuxna och pediatrika patienter från 2 år med refraktär/recidiverande Epstein-Barr-viruspositiv post-transplantation lymfoproliferativ sjukdom (EBV+PTLD) som har fått minst en tidigare behandling.

### **Abrysvo**

Hillevi Glantz och Catrin Furster presenterade en tilläggsanalys för Abrysvo (profylax mot RSV-infektion) utifrån NT-rådets önskemål om att komplettera värderingen med information om kostnad per vunnen QALY vid behov av revaccination samt att data över RSV-fall och mortalitetsrisker hämtas från Socialstyrelsen för att motsvara svenska förhållanden.

## **4. Diskussion efter TLV:s presentation**

NT-rådet diskuterade TLV:s hälsoekonomiska värderingar för Ebvallo och Abrysvo. Beslut om fortsatt hantering fattas vid ett kommande möte.

## **5. PD-(L)1-hämmare**

Kenneth Villman redogjorde för indikationer som innebär neoadjuvant, adjuvant eller perioperativ behandling med PD-(L)1-hämmare.

De kommande indikationerna värderas via NAC och vårdprogramgrupperna i enlighet med processen för PD-(L)1-hämmare.

## **6. Återkoppling för pågående ärenden**

Kristina Aggefors informerade om status för läkemedel som är beslutade att hanteras inom nationell samverkan.

Företagen har dragit tillbaka ansökan från EMA för Amtagvi (lifileucel) vid melanom och Fanskya (mozafankogen-autotemcel) vid Fanconis anemi A. För Elevidys (delandistrogen-moxaparvovek) vid Duchennes muskeldystrofi har CHMP givit ett negativt utlåtande och rekommenderar inte att det godkänns inom EU.



Webbplatsen uppdateras med information om ärendena. Vid eventuella nyansökningar till EMA tar NT-rådet ställning till om hälsoekonomisk värdering ska beställas.

Företaget bakom Uplizna (inebilizumab) vid immunoglobulin G4-relaterad sjukdom har ännu inte tagit ställning till lansering i Sverige. De har informerats om att en jämförelse med rituximab önskas i en hälsoekonomisk värdering.

Etuvetidigene autotemcel vid Wiskott-Aldrich syndrom är en behandling för ett mycket sällsynt tillstånd och företaget väntar sig endast fem behandlingar per år inom EU och planerar för att ha ett europeiskt behandlingscentrum.

## 7. Beslut om samverkan

Processen för när NT-rådet fattar beslut om samverkan diskuterades. Det bedömdes viktigt att även fortsättningsvis utgå från tidiga bedömningsrapporter i så stor utsträckning som möjligt och att revidera beslut om, till exempel, ett läkemedel inte når marknaden.

## 8. Vyloy

Ett förhandlingsuppdrag utfärdades till Marknad/Förhandling för Vyloy (zolbetuximab), i kombination med fluoropyrimidin- och platinabaserad kemoterapi vid första linjens behandling av vuxna patienter med lokalt avancerat inoperabelt eller metastaserat HER2-negativt adenokarcinom i magsäcken eller gastroesofageala övergången, vars tumörer är Claudin 18.2-positiva.

## 9. Marknad och förhandling

Lena Gustafsson och Mikael Svensson informerade om pågående förhandlingsuppdrag.

## 10. Vimizim

Region Stockholm har nominerat Vimizim vid mukopolysackaridos typ IVA för ett nytt ställningstagande. Det finns sedan 2015 en rekommendation om att inte använda Vimizim. TLV gjorde en förnyad hälsoekonomisk värdering 2020. Utifrån att tillståndet är sällsynt och att det tillkommit nya data beslutades att göra en ny värdering av läkemedlet.

## 11. Policygruppen

Jan Liliemark rapporterade från arbetet med att revidera NT-rådets och MTP-rådets gemensamma policy för betalningsvilja.

### Protokollförare

Kristina Aggefors

### Justeras

Åsa Derolf

Gustaf Befrits