



Kaftrio (elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor) vid cystisk fibros

NT-rådets yttrande till regionerna 2022-02-09

Rekommendation och sammanvägd bedömning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att avvakta med användning av Kaftrio för behandling av cystisk fibros till dess att Kaftrio ingår i läkemedelsförmånerna.
- att individuella fall av patienter som är i behov av lungtransplantation, och där ytterligare försämring av tillståndet äventyrar möjligheten till transplantation, kan komma i fråga för behandling med Kaftrio i kombination med Kalydeco (ivakaftor) efter samråd med det nationella behandlingsrådet för cystisk fibros.

TLV har 2022-01-27 beslutat att Kaftrio i kombination med Kalydeco inte ska ingå i läkemedelsförmånerna. Därför är NT-rådets rekommendation till regionerna att fortsätta avvakta med behandling med Kaftrio.

Regionerna, TLV och företaget Vertex har haft trepartsöverläggningar gällande kostnaderna för Kaftrio och Kalydeco. Parterna har inte kunnat nå en överenskommelse om en kostnadsnivå som gör att läkemedlen kan bedömas som kostnadseffektiva av TLV och inkluderas i läkemedelsförmånerna.

NT-rådet anser att Kaftrio i kombination med Kalydeco undantagsvis kan användas till patienter som riskerar att avlida i väntan på lungtransplantation. Sådana patientfall bör diskuteras i det nationella behandlingsrådet för cystisk fibros.

NT-rådet bedömer att kombinationsbehandling med Kaftrio och Kalydeco har god effekt och skulle vara en värdefull behandling för patienter med cystisk fibros. NT-rådet anser att det är mycket angeläget att företaget sänker kostnaden för läkemedlen och snarast ansöker om subvention på nytt.



Om läkemedlet

Kaftrio innehåller en kombination av substanserna tezakaftor, ivakaftor och elexakaftor. Cystisk fibros orsakas av mutationer i genen för proteinet CFTR (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator). CFTR-protein är en kloridjonkanal som finns på ytan av epitelceller i flera organ. Den kombinerade effekten av substanserna i Kaftrio innebär ökad mängd samt förbättrad funktion av CFTR vid cellytan, vilket leder till ökad CFTR-aktivitet.

Kaftrio är avsett som en kombinationsregim med Kalydeco (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.

Behandlingen med Kaftrio är avsedd som tillägg till bästa understödjande behandling.

Kaftrio har ATC-kod R07AX32 och blev godkänt för försäljning i Europa 2020-08-21.

Tidpunkt för revision av yttrandet

Denna rekommendation har uppdaterats 2022-02-09 med anledning av att TLV för andra gången avslagit förmånsansökan för Kaftrio och Kalydeco.

Referenser

[TLV:s förmånsbeslut för Kaftrio och Kalydeco](#)

Närvarande vid beslut

Gerd Lärfars, ordförande NT-rådet; Maria Palmetun Ekbäck, Sjukvårdsregion Mellansverige; Anna Lindhé, Västra regionen; Maria Landgren, Södra regionen; Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen; Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen, Åsa Derolf, sjukvårdsregion Stockholm-Gotland.

Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet.