

NT- rådet

Hälso- och sjukvårdsdirektörs-
nätverket

NT-rådets yttrande till landstingen gällande Nucala (mepolizumab) vid eosinofil astma

NT-rådet rekommenderar landstingen

- Att använda Nucala endast för patienter i behandlingssteg 5 i Läkemedelsverkets riktlinjer för astma
- Att behandling med Nucala då kan vara aktuell att överväga för patienter som står på underhållsbehandling enligt steg 4 i Läkemedelsverkets riktlinjer för astma och dessutom
 - Har haft minst fyra exacerbationer under senaste året
 - Har ett blodeosinofilvärde lika med eller högre än 300 celler per mikroliter
 - Har pågående behandling med orala kortikosteroider (OCS) eller där OCS inte kan användas
- Att behandling med Nucala initieras av specialist i allergologi eller lungmedicin
- Att teckna det avtal om reducerat pris som förhandlats fram tillsammans med företaget

NT-rådet rekommenderar också landstingen att följa upp behandlade patienter.

Rekommendationen kan komma att uppdateras i samband med att liknande läkemedel blir tillgängliga.

Bakgrund

Nucala (mepolizumab) är godkänt som tilläggsbehandling vid svår refraktär eosinofil astma hos vuxna. TLV avslog i maj 2016 företagens ansökan om att Nucala skulle omfattas av läkemedelsförmånerna. Skälen till avslag var kombinationen av höga behandlingkostnader och stor osäkerhet i det kliniska underlaget och svårigheter att säkerställa vilka patienter som skulle kunna omfattas av en begränsad subvention.

NT-rådet beslöt tidigare under 2016 att nya läkemedel vid eosinofil astma (mepolizumab och reslizumab) bör omfattas av ordnat införande på samverkansnivå 2, vilket innebär en hälsoekonomisk värdering av TLV och rekommendation av NT-rådet. Mot bakgrund av TLV:s avslag på förmånsansökan för Nucala, har därför NT-rådet initierat förhandlingar med företaget.

NT-rådets bedömning gällande Nucala

Tillståndets svårighetsgrad:

Tillståndets svårighetsgrad bedöms som hög för den patientgrupp som rekommendationen avser (på en skala av liten, måttlig, hög och mycket hög).

Kommentar:

Patientgruppen för vilken Nucala är godkänd har kvarvarande symtom och exacerbationer trots full inhalationsbehandling. Detta påverkar framför allt patientens livskvalitet, men kan även innebära en viss ökad risk att dö i förtid. För den aktuella patientgruppen finns få alternativa behandlingar. Svårighetsgraden varierar emellertid inom patientgruppen.

Åtgärdens effektstorlek:

Effekten bedöms som måttlig (på en skala av liten, måttlig, stor och mycket stor).

Kommentar:

Den kliniska effekten och säkerheten av behandling med mepolizumab (Nucala) har studerats i tre randomiserade, dubbelblindade och placebokontrollerade parallellgruppstudier som inkluderat patienter med svår refraktär astma. Två av dessa studier, DREAM och MENSA, som inkluderade 616 respektive 576 patienter, hade frekvens av exacerbationer som primär utfallsvariabel. Studierna visade att frekvensen exacerbationer sänktes med omkring 50% vid behandling med mepolizumab, vilket enligt TLV:s rapport innebär en ökning i patienternas livskvalitet. I MENSA-studien ingick astmakontroll som sekundärvariabel, men det kunde inte påvisas någon kliniskt relevant effekt på denna utfallsvariabel. Den tredje studien SIRIUS som inkluderade 135 patienter, hade procentuell minskning av dosen orala kortikosteroider (OCS) som primär utfallsvariabel. Studien visade på en statistiskt signifikant reduktion av OCS-dosen jämfört med placebo. Behandlingsarmarna var dock inte helt likvärdiga med avseende på mediandosen OCS vid baslinjen.

Tillståndets sällsynthet

Tillståndet är vanligt (på en skala av mycket sällsynt, sällsynt, mindre vanligt, och vanligt). Omkring 300-500 patienter per år uppskattas vara aktuella för behandling enligt denna rekommendation. Den totala patientpopulation som omfattas av den för marknadsföring godkända indikationen för Nucala uppgår till 10 500 enligt företagets uppskattning.

Åtgärdens kostnadseffektivitet

TLV har genomfört en hälsoekonomisk värdering inom ramen för företagets ansökan om subvention. TLV bedömde att Nucala inte ska ingå i högkostnadsskyddet och skriver i sitt beslut att företaget som står bakom produkten har inte visat att hälsovinster står i rimlig relation till de höga behandlingskostnaderna. Dessutom finns stora osäkerheter kring hur många patienter som skulle få Nucala utskrivet på recept och om hur väl en begränsning till patienter med störst behov skulle följas i vården. TLV bedömde att Nucala inte är kostnadseffektivt för någon av de analyserade patientgrupperna inom den godkända indikationen. Nucala är enligt TLV dyrare än Xolair till jämförbar effekt och därför inte kostnadseffektivt för patienter för vilka Xolair är ett relevant behandlingsalternativ. För den återstående patientgruppen som inte är lämpliga för Xolair bedömde TLV att kostnaden per vunnet QALY för Nucala är för hög. Behandling av den patientgrupp med hög svårighetsgrad som denna rekommendation avser bedöms dock som mest kostnadseffektiv jämfört med andra subgrupper som TLV utvärderat, men TLV konstaterar att osäkerheten i värderingen är stor.

Efter TLV:s beslut har NT-rådet har fört diskussioner med företaget vilket resulterat i ett avtal innebärande en reducerad läkemedelskostnad som gör att behandling gällande den avgränsade patientgruppen rekommendationen avser kan bedömas som kostnadseffektiv.

Tillförlitligheten i det den hälsoekonomiska bedömningen

Tillförlitligheten i kostnadseffektivitetsbedömningen av Nucala är måttlig (på en skala av låg-måttlig-stor-mycket stor).

Kommentar: TLV bedömer att det finns stora osäkerheter i det underlag som företaget kommit in med. Mot bakgrund av de höga behandlingskostnaderna ansåg TLV att de osäkerheter som finns är alltför stora för att kunna bevilja subvention för alla som skulle kunna vara aktuella för behandling såväl som begränsad subvention till de med störst behov.

Sammanvägd bedömning

Den sammanvägda bedömningen gällande Nucala baseras på en värdering utifrån den etiska plattformen för prioriteringar och dess tre principer: människovärdesprincipen, behovs-solidaritetsprincipen och kostnadseffektivitetsprincipen. Plattformen har operationaliserats i fyra relevanta dimensioner: Tillståndets svårighetsgrad, Åtgärdens effektstorlek, Tillståndets sällsynthet, och Tillförlitligheten i det vetenskapliga underlaget. Dessa fyra ligger till grund för värdering av betalningsvilja i relation till behandlingens kostnadseffektivitet.

Svårighetsgrad för den patientgrupp som omfattas av rekommendationen anses vara hög.

Storleken på åtgärdens effekt på tillståndet bedöms som måttlig.

Tillståndet är vanligt.

Tillförlitligheten i underlaget för den hälsoekonomiska värderingen är måttligt.

Med det förhandlade avtalspriset bedöms behandlingen vara kostnadseffektiv för den aktuella patientgruppen.

På grundval av dessa överväganden rekommenderar NT-rådet därför landstingen att använda Nucala till behandling patienter enligt ovan specificerade kriterier under förutsättning att avtal om reducerad kostnad tecknas. Landstingen rekommenderas också att följa upp behandlingen. Rekommendationen kan komma att uppdateras i samband med att liknande läkemedel blir tillgängliga.

För NT-rådet,
Stefan Back, ordförande

Referenser:

<http://tlv.se/beslut/beslut-lakemedel/avslag-uteslutningar/Nucala-ingar-inte-i-hogkostnadsskyddet/>

Om NT-rådets beslut

<http://www.janusinfo.se/Nationellt-inforande-av-nya-lakemedel/Nationellt-inforande-av-nya-lakemedel/NT-radets-rekommendationer-grunder-till-beslut/>

Närvarande vid beslut: Lars Löf, Uppsala/Örebro sjukvårdsregion; Anna Lindhé, Västra regionen; Maria Landgren, Södra regionen; Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen; Anders Bergström, Norra regionen; Gerd Lärvars, Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion; Stefan Back, ordförande NT-rådet

Jäv: Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet