

NT-rådet

Hälso- och sjukvårdsdirektörs-
nätverket

NT-rådets yttrande till landstingen gällande elosulfas alfa (Vimizim) vid mukopolysackaridos typ IVA

NT-rådet rekommenderar landstingen att avstå från att använda elosulfas alfa (Vimizim), på grund av en mycket hög behandlingskostnad i relation till nyttan.

Bakgrund

Dåvarande NLT-gruppen fick en förfrågan från Västra Götalandsregionen att yttra sig gällande användning av Vimizim vid mukopolysackaridos typ IVA (Morquio A-syndrom, MPS IVA). Med anledning av detta uppdrogs TLV att inom sitt klinikläkemedelsuppdrag ta fram ett hälsoekonomiskt [kunskapsunderlag](#)¹ med bedömning av kostnadseffektiviteten av Vimizim vid denna indikation.

Mukopolysackaridos typ IVA orsakas av brist på enzymet galaktos-6-sulfatas. Detta leder till ansamling av mukopolysackarider som orsakar skador på vävnader och organ. Symptomen domineras av påverkan på skelett och komplikationer från nervsystemet.

Sjukdomens svårighetsgrad och prevalens

TLV påpekar i sin rapport, att variationerna mellan lindriga och svåra former av sjukdomen stora, varför bedömningar behöver göras på individuell nivå. På gruppnivå bedömer TLV därför tillståndets svårighetsgrad som medelhög till hög; NT-rådet ansluter sig till denna bedömning..

Enligt TLV uppskattas knappt 10 patienter vara aktuella för behandling i Sverige

Klinisk nytta och risk

Säkerhet och effekten av behandling med Vimizim jämfördes med placebo i en fas 3-studie i 176 patienter. Det primära effektmåttet var förändring av 6-minuters gångtest efter 24 veckors behandling. Den promenerade sträckan under 6 minuter var signifikant längre i Vimizingruppen än i placebogruppen; 22.5 m (KI95, 4.0 – 40.9, $p=0.0174$). Uppföljningsstudier har visat att förbättringarna uppehållits i upp till 156 veckor.

Biverkningar var främst infektionsrelaterade, i allmänhet milda eller måttliga.

NT-rådet anser att den kliniska effekten av behandlingen är svårbedömd, eftersom den kliniska studie som TLV i sitt underlag hänvisar till, endast beskriver

surrogatmarkörer. Studier av hur Vimizim påverkar direkt patientnytta såsom livskvaliteten saknas.

Risker med behandlingen bedöms som måttliga.

Hälsoekonomisk värdering

TLV har gjort en bedömning av kostnaden för behandling med Vimizim. Eftersom doseringen baseras på patientens kroppsvikt har detta stor påverkan på kostnaden för behandlingen. För en patient som väger under 25 kg blir kostnaden omkring 3 800 000 kr per år. Om patienten väger mer och behöver två doser, blir kostnaden cirka 7 800 000 kr per år. Något försök att beräkna kostnaden per QALY eller vunnet levnadsår har inte gjorts.

Sammanvägd bedömning

NT-rådets bedömningar görs utifrån den etiska plattformens tre grundläggande principer; människovärdesprincipen, behovs-och solidaritetsprincipen samt kostnadseffektivitetsprincipen.

När det gäller läkemedel riktade mot sällsynta svåra tillstånd, vilket är fallet med Vimizim, finns det skäl att acceptera en sämre kostnadseffektivitet än vad som normalt är fallet för tillstånd riktade mot vanligare tillstånd eftersom gruppstorleken påverkar möjligheten att utveckla läkemedel till rimliga kostnader. Samtidigt finns det skäl att ställa krav på att effekten av behandlingen ska ha en mer substantiell inverkan på tillståndet. Även i de fall det har det, finns det en övre gräns för vilken relation mellan kostnader och effekter som kan accepteras.

I fallet med Vimizim varierar sjukdomens svårighetsgrad mellan patienter, men för de patienter som har en svår form av MPS IVA får behovet anses stort och att det därmed rör sig om ett sällsynt svårt tillstånd. Däremot är effekten svårbedömd eftersom de surrogatmått som redovisas inte tillräckligt tydligt svarar upp mot kravet på substantiell dokumenterad effekt. Ingen formell beräkning av kostnadseffektiviteten har kunnat göras i detta fall, eftersom data om påverkan på livskvalitet saknas. Den mycket höga behandlingkostnaden medför dock att oavsett hur läkemedlet påverkar överlevnad eller livskvalitet är det osannolikt att det skulle kunna betraktas som kostnadseffektivt även när sjukdomens höga svårighetsgrad och mycket låga prevalens tagits i beaktande.

Mot bakgrund av ovanstående blir NT-rådets sammanvägda bedömning att avråda landsting och regioner från användning av Vimizim.

För NT-rådet,

Lars Löf, tf ordförande

Referenser:

¹ <http://www.tlv.se/lakemedel/Kliniklakemedelsuppdraget/avslutade-halsoekonomiska-bedomningar/Halsoekonomisk-bedomning-av-Vimizim-vid-Morquios-sjukdom/>

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 Lööf, Uppsala/Örebro sjukvårdsregion,
Eva Andersén Karlsson, sjukvårdsregion Stockholm/Gotland, Peter Höglund, Södra sjukvårdsregionen,
Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen, Anna Lindhé, Västra Götalandsregionen, Märten
Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen

Jäv: Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet