



Kalydeco (ivakaftor) och Symkevi (tezakaftor och ivakaftor) vid cystisk fibros

NT-rådets yttrande till regionerna 2019-06-28

Rekommendation och sammanvägd bedömning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att avvakta med användning av Kalydeco och Symkevi för behandling av cystisk fibros i väntan på en ny förmånsansökan från företaget som leder till att behandlingen kan inkluderas i förmånerna.

TLV har 2019-05-23 beslutat att två läkemedel mot cystisk fibros, Kalydeco (ivakaftor) och Symkevi (tezakaftor och ivakaftor), inte ingår i läkemedelsförmånerna. Kalydeco i monoterapi är avsett för patienter med klass III-gatingmutationer från 12 månaders ålder och för patienter med R117H-mutation från 18 års ålder. Symkevi och Kalydeco i kombination är avsett för patienter i åldern 12 år och äldre som är homozygota för F508del-mutationen eller är heterozygota för F508del-mutationen och har ytterligare en mutation i CFTR-genen.

Effekten av att behandla en patient med en homozygot mutation med Symkevi i kombination med Kalydeco är jämförbar med effekten av att behandla med Orkambi. NT-rådet rekommenderar användning av Orkambi för denna patientgrupp.

TLV har haft trepartsöverläggningar med regionerna och företaget Vertex gällande Kalydeco och Symkevi. Parterna har inte kunnat nå en överenskommelse om en kostnadsnivå som gör att läkemedlen kunnat bedömas kostnadseffektiva och därmed inkluderas i läkemedelsförmånerna.

NT-rådet bedömer att kombinationsbehandling med Symkevi och Kalydeco skulle vara ett värdefullt behandlingsalternativ för de patienter som får biverkningar av Orkambi. NT-rådet anser att en lösning för patienter som inte tolererar Orkambi bör kunna åstadkommas via trepartsöverläggning och uppmanar därför företaget att på nytt ansöka om att Symkevi i kombination med Kalydeco ska ingå i läkemedelsförmånerna för denna patientgrupp.



Om läkemedlen

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. F508del-mutationen påverkar CFTR-proteinet på flera sätt, primärt genom att orsaka en defekt i bearbetningen och transporten av proteinet i cellen vilket minskar mängden CFTR på cellytan. F508 del-CFTR mutationen påverkar även kloridkanalens förmåga till kanalöppning (defekt gating) och därmed funktionen hos de proteiner som når cellytan. Det finns cirka 670 personer med cystisk fibros i Sverige.

Kalydeco innehåller den aktiva substansen ivakaftor och Symkevi innehåller både ivakaftor och tezakaftor. Ivakaftor är en CFTR-förstärkare och tezakaftor är en CFTR-korrigerare. Tillsammans återställer de delvis mängden samt funktionen av CFTR.

Kalydeco i monoterapi är avsett för patienter med klass III-gatingmutationer från tolv månaders ålder och för patienter med R117H-mutation från 18 års ålder. Symkevi är avsett för en kombinationsregim med Kalydeco för behandling av patienter med cystisk fibros från tolv år som är homozygota för F508del-mutationen eller heterozygota för F508del-mutationen i kombination med en andra mutation förknippad med residualfunktion i CFTR.

Båda läkemedlen ska ges som tillägg till standardbehandling. Standardbehandlingen varierar från individ till individ och kan bestå av till exempel antibiotika som antingen inhaleras eller injiceras, slemlösande preparat, vitaminer på grund av näringsbrist, läkemedel för att förbättra näringsupptag, andningsgymnastik, kostråd och fysisk träning.

Kalydeco blev godkänt för försäljning 2012-07-22 och Symkevi blev godkänt för försäljning 2018-10-31. De är klassade som säriläkemedel.

Läkemedelskostnaden (ansökt AUP) för Kalydeco i monoterapi uppgår till cirka 2,1 miljoner kronor per patient och år. Läkemedelskostnaden för Symkevi i kombination med Kalydeco uppgår till cirka 1,9 miljoner kronor per patient och år.

Referenser

[TLV:s beslut för Kalydeco](#)

[TLV:s beslut för Symkevi](#)

[Produktresumé för Kalydeco](#)

[Produktresumé för Symkevi](#)

[NT-rådets yttrande gällande Orkambi 2018-06-29](#)

Närvarande vid beslut

Gerd Lärfars ordförande NT-rådet; Mårten Lindström Sydöstra sjukvårdsregionen; Mikael Köhler, Uppsala/Örebro sjukvårdsregion; Torbjörn Söderström, sjukvårdsregion Stockholm/Gotland; Anna Lindhé, Västra regionen; Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen; Maria Landgren, Södra sjukvårdsregionen

Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet.