

NT-rådet

Hälso- och sjukvårdsdirektörs-
nätverket

NT-rådets yttrande till landstingen gällande cysteamin som merkapaminbitartrat (Procysbi) vid verifierad nefropatisk cystinos

NT-rådet rekommenderar landstingen att avstå från att använda Procysbi i avvaktan på att företaget ansökt om att omfattas av läkemedelsförmånerna och TLV fattat beslut om detta.

Bakgrund

NT-rådet har av Västra Götalandsregionen ombetts avge en rekommendation gällande användning av Procysbi, som är godkänt för behandling av verifierad nefropatisk cystinos. Procysbi är ett forskrivningsläkemedel men omfattas idag inte av läkemedelförmånerna.

Sjukdomen orsakas av en genmutation, vilket orsakar en ökad mängd cystin i kroppens vävnader. Nefropatisk cystinos innebär symptom i njurarna och startar vanligen det första levnadsåret. Tillståndet behandlas förebyggande med Cysteamin kapslar och på längre sikt behövs dialys och njurtransplantation. Enligt Västra Götalandsregion uppskattas omkring 5 barn i landet vara aktuella för behandling med Procysbi.

NT-rådets bedömning:

För att kunna göra en fullständig bedömning med hänvisning till den etiska plattformen behöver en utvärdering av kostnadseffektiviteten göras. Procysbi är ett receptläkemedel och bör därför utvärderas inom ramen för en förmånsansökan hos TLV. I avvaktan på förmånsansökan och TLV:s beslut, rekommenderar NT-rådet landstingen att avstå från att använda Procysbi vid den aktuella indikationen.

För NT-rådet

Stefan Back, ordförande

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, Anders Bergström, Norra
sjukvårdsregionen, Anna Lindhé, Västra Götalandsregionen, Mårten Lindström, Sydöstra
sjukvårdsregionen

Jäv: Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet