

NT- rådet

Hälso- och sjukvårdsdirektörs-
nätverket

NT-rådets yttrande till landstingen gällande Ilaris (kanakinumab) för behandling av kryopyrinassocierade periodiska syndrom (CAPS)

NT-rådet rekommenderar landstingen

-att av kostnadsskäl avstå från behandling med Ilaris vid CAPS. Undantaget kan vara mycket svårare fall av CAPS (CINCA) där ett stort behov av behandling föreligger och behandling med Kineret inte givit önskad effekt eller inte är genomförbar av annat skäl.

Bakgrund

Ilaris (kanakinumab) är indicerat för behandling av kryopyrinassocierade periodiska syndrom (CAPS) hos vuxna, ungdomar och barn fyra år och äldre med en kroppsvikt över 15 kg. Ilaris är även godkänt för indikationerna systemisk juvenil idiopatisk artrit och giktartrit.

På uppdrag av den tidigare NLT-gruppen tog TLV i sitt klinikläkemedelsprojekt fram ett hälsoekonomiskt [kunskapsunderlag](#)¹ med bedömning av kostnadseffektiviteten för behandling med Ilaris. NT-rådet har tagit över detta ärende från NLT-gruppen.

Tillståndets svårighetsgrad:

Tillståndets svårighetsgrad varierar mellan de olika formerna av sjukdomen. För den svårare formen av CAPS, CINCA, bedöms svårighetsgraden som mycket stor (på en skala av liten, måttlig, stor och mycket stor).

Kommentar:

CAPS är en ärftlig sjukdom och beror på en genmutation som styr bildningen av kryopyrin. Det finns tre varianter av sjukdomen med olika svårighetsgrad.

-Muckle-Wells syndrom (MWS)

-Kroniskt-neurologiskt hud- och ledsyndrom hos barn (CINCA)

-Familiärt autoinflammatoriskt köldsyndrom (FCAS)

FCAS anses vara den lindrigaste formen följt av MWS och CINCA.

Sjukdomarna är kroniska och karaktäriseras av återkommande episoder av inflammation med hudutslag, feber, ledsmärtor, trötthet och ögoninflammation i olika grad. Vid de svårare formerna tillkommer ytterligare symtom, som hörselnedsättning, inlagring av protein i olika organ (amyloidos), synnedsättning, benöverväxt och utvecklingsstörning.

Åtgärdens effektstorlek:

Effekten av behandlingen bedöms som stor (på en skala av liten, måttlig, stor och mycket stor), men är ytterst osäker eftersom studiematerialet är mycket begränsat.

Kommentar:

Den studie som ligger till grund för TLV:s bedömning visade på goda resultat vid behandling. Av de 31 patienter som fullföljde studien uppvisade 30 ingen eller minimal sjukdomsaktivitet vid studiens slut. Vanliga biverkningar associerade till användning av kanakinumab var nasofaryngit, yrsel, reaktion på injektionsstället och infektioner såsom infektion i övre luftvägarna och urinvägsinfektion.

Tillståndets sällsynthet

Tillståndet är mycket sällsynt (på en skala av mycket sällsynt, sällsynt, mindre vanligt, och vanligt).

I Sverige känner man till omkring 5-10 personer med sjukdomen.

Åtgärdens kostnadseffektivitet

Åtgärden har inte en beräknad kostnadseffektivitetskvot men bedöms sannolikt ha en mycket hög kostnad per QALY. Årskostnaden för behandling med Ilaris av patienter vars kroppsvikt överstiger 40 kg är omkring 760 000 kronor.

Kommentar: Företaget gjorde inte någon hälsoekonomisk analys på grund av begränsat patientunderlag utan presenterade i stället ett principiellt resonemang kring kostnadseffektiviteten av behandling med Ilaris för TLV. Utifrån tillgängligt underlag menar TLV att kostnaden per QALY för behandling av CAPS med Ilaris med största sannolikhet kommer att överstiga en eller flera miljoner kronor per QALY. TLV menar också att det inte är orimligt att anta att sjukare patienter erhåller en högre behandlingsvinst. Kostnaden per vunnen QALY blir ändå förhållandevis hög.

Tillförlitligheten i det hälsoekonomiska underlaget

Tillförlitligheten i det hälsoekonomiska underlaget är låg.

Kommentar: Ett mycket litet patientunderlag ligger till grund för bedömningen av behandlingens effekt, vilket gör osäkerheten stor. Den hälsoekonomiska värderingen är mycket osäker i brist på tillräckligt underlag för bedömning.

Sammanvägd bedömning

Den sammanvägda bedömningen baseras på en värdering utifrån den etiska plattformen för prioriteringar och dess tre principer: människovärdesprincipen, behovs-solidaritetsprincipen och kostnadseffektivitetsprincipen. Plattformen har operationaliserats i fem relevanta dimensioner: Tillståndets svårighetsgrad, Åtgärdens effektstorlek, Tillståndets sällsynthet, Åtgärdens kostnadseffektivitet och tillförlitligheten i det vetenskapliga underlaget som ligger till grund för övriga fyra dimensioner.

Tillståndets svårighetsgrad varierar men för patienterna med den svåraste formen av sjukdomen anses den mycket stor.

Åtgärden har en stor effekt på tillståndet.

Tillståndet är mycket sällsynt vilket motiverar en förhöjd betalningsvilja.

Åtgärden har inte en beräknad kostnadseffektivitetskvot men bedöms sannolikt ha en mycket hög kostnad per QALY som överstiger en eller flera miljoner kronor och den bedöms därför inte som kostnadseffektiv.

Tillförlitligheten i det vetenskapliga underlaget för åtgärdens effekt är måttlig och för den hälsoekonomiska värderingen lågt.

NT-rådet har genom landstingens förhandlingsdelegation haft prisöverläggningar med företaget, vilket dock inte resulterat i ett tillämbart avtalsförslag.

På grundval av dessa överväganden rekommenderar NT-rådet landstingen att avstå från behandling med Ilaris vid CAPS. Undantaget kan vara mycket svårare fall av CAPS (CINCA) där ett stort behov av behandling föreligger och behandling med Kineret inte givit önskad effekt eller inte är genomförbar av annat skäl.

För NT-rådet,
Stefan Back, ordförande

Referenser

http://www.tlv.se/Upload/Halsoekonomiska_bedomningar/halsoekonomiskt-kunskapsunderlag-ilaris.pdf

Tidpunkter för revision av yttrandet

NT-rådet har gjort en översyn av yttrandet 2019-10-03 och beslutat att rekommendationen kvarstår.

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 2015-11-05: Lars Löf, Uppsala/Örebro sjukvårdsregion; Eva Andersén Karlsson, sjukvårdsregion Stockholm/Gotland; Anna Lindhé, Västra Götalandsregionen; Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen; Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen; Stefan Back, ordförande NT-rådet

Jäv: Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet