



Ultomiris (ravulizumab) vid paroxysmal nokturn hemoglobinuri

NT-rådets yttrande till regionerna 2019-10-28

Rekommendation och sammanvägd bedömning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att inte använda Ultomiris

Om läkemedlet

Ultomiris är avsett för behandling av vuxna patienter med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) hos patienter med hemolys med kliniska symtom som tyder på hög sjukdomsaktivitet samt hos patienter som är kliniskt stabila efter att ha behandlats med eculizumab under minst de senaste 6 månaderna.

Ultomiris är en rekombinant humaniserad monoklonal IgG_{2/4k}-antikropp som binder till humant C5-komplementprotein och hämmar aktiveringen av terminalt komplement. Verkningsmekanismen är samma som för Soliris (eculizumab). Ultomiris har i kliniska studier visats ha likvärdig effekt- och säkerhetsprofil som Soliris vid behandling av PNH.

Ultomiris ges som intravenös infusion med en laddningsdos som följs av underhållsdosering var åttonde vecka med start två veckor efter laddningsdosen. Det innebär att doseringen sker med glesare intervall än för Soliris, där underhållsdoseringen ges varannan vecka.

Motivering

NT-rådet har sedan tidigare yttrat sig gällande Soliris (eculizumab) vid PNH. Med anledning av att läkemedlet inte bedöms kostnadseffektivt, avråder NT-rådet från generell behandling med Soliris. Soliris kan dock användas vid behandling som bedöms oundgänglig, det vill säga om tillståndet med största säkerhet leder till en allvarlig och irreversibel försämring inom en kort tidsperiod. Denna bedömning görs av nationella behandlingsrådet för PNH.

Tillståndets svårighetsgrad bedöms hög. Någon hälsoekonomisk värdering för Ultomiris har inte gjorts. Priset för en årsbehandling med Ultomiris är omkring 4 miljoner kr. NT-rådet bedömer att behandling med Ultomiris inte är kostnadseffektiv mot bakgrund av det höga priset i kombination med att effekt och säkerhet visats vara likvärdig Soliris. Ett annat viktigt skäl till NT-rådets avrådan är patentutgång för Soliris 2020, vilket väntas kunna leda till en betydligt lägre kostnad när patienter enligt behandlingsrådets bedömning behöver behandlingen.

Mer information

[NT-rådets rekommendation gällande Soliris vid PNH](#)



Frågor och svar om NT-rådet och hälsoekonomi

Närvarande vid beslut

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

Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet.