

Tjänsteutlåtande
Datum 2018-06-19
Diarienummer HS 2018-00388

Västra Götalandsregionen
Koncernkontoret
Handläggare: Anna Lindhé
Telefon: 0703-93 08 37
E-post: anna.lindhe@vgregion.se

Till hälso- och sjukvårdsstyrelsen

Ordnat införande av nya läkemedel, metoder och kunskapsunderlag etapp 2 2018 – tillägg avseende läkemedlet Orkambi

Förslag till beslut

1. Hälso- och sjukvårdsstyrelsen godkänner tillägg till beslut om ordnat införande 2018, etapp 2, som beskrivs i detta tjänsteutlåtande.
2. Regiongemensam introduktionsfinansiering 2018 upp till ■ mkr tas ur hälso- och sjukvårdsstyrelsens utvecklingsanslag.

Sammanfattning av ärendet

Hälso- och sjukvårdsstyrelsen fattade den 12 juni 2018 beslut om ordnat införande etapp 2 2018. Cystisk fibros-läkemedlet Orkambi var nominerat till etappen men beslut sköts upp i väntan på förmånsbeslut från Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) och rekommendation från NT-rådet. Nu föreligger ett positivt förmånsbeslut och en rekommendation från NT-rådet väntas inom kort.

Beslut om ordnat införande etapp 2 2018 föreslås kompletteras med introduktionsfinansiering under två år för Orkambi motiverat av olika överväganden utifrån Västra Götalandsregionens åtagande i nationell samverkan för ordnat införande av nya läkemedel. De tillkommande kostnaderna för förslaget beräknas uppgå till ■ mkr 2018, ■ mkr 2019 samt ■ mkr 2020.

Bakgrund

Den 12 juni 2018 fattade Hälso- och sjukvårdsstyrelsen beslut om ordnat införande och introduktionsfinansiering av nya läkemedel, metoder och kunskapsunderlag. Läkemedlet Orkambi som kan används vid behandling av cystisk fibros hos patienter en specifik genetisk förändring var nominerat till etappen. Principer i regionens berednings- och beslutsprocess för ordnat införande gör gällande att nationella underlag ska inväntas innan beslut om ordnat införande fattas i VGR. Beslut avseende Orkambi sköts därför upp med hänvisning till att förmånsbeslut från TLV och rekommendation NT-rådet skulle inväntas. Den 14 juni fattade TLV beslut om att Orkambi inkluderas i läkemedelsförmånerna och NT-rådet planerar publicera rekommendation till landstingen inom kort, denna

rekommendation utfärdas kring användningen av Orkambi med specifika rutiner för uppföljning av patienterna.

Beslut om ordnat införande etapp 2 2018 föreslås kompletteras med introduktionsfinansiering under två år för Orkambi. Behandlingen har i regionens rangordningsmodell för ordnat införande fått rangordning 3. Förslaget om introduktionsfinansiering motiveras av överväganden utifrån Västra Götalandsregionens åtagande i nationell samverkan för ordnat införande av nya läkemedel.

Analys i VGR:s beredningsprocess

Indikation: Orkambi (ivakaftor och lumakaftor) är indicerat för behandling av cystisk fibros i patienter från 6 år och äldre som är homozygota för F508del-mutationen i CFTR-genen.

Sjukdomens svårighetsgrad: Mycket hög. Cystisk fibros (CF) är en ärftlig sjukdom som leder till att sekretet i kroppens körtlar förändras. De vanligaste och viktigaste symtomen är pankreasinsufficiens (bukspottkörtelns gångar blockeras och inga enzymer når tolvfingertarmen) och svåra lunginfektioner som slutligen leder till andningssvikt.

Effekt: Den effekt som visats på lungfunktion i kliniska studier bedöms som liten. Förbättringar beskrivs dock med avseende på hur ofta patienterna försämras akut och hur mycket antibiotika de behöver. Dessutom ses en viss positiv effekt på viktutveckling. Det finns en mindre grupp patienter som har visats ha relativt bättre effekt av behandling med Orkambi. Vilka patienter som har relativt bättre effekt kan identifieras först efter en tids behandling.

Risk med behandlingen: Låg

Evidens: ⊕⊕ begränsat vetenskapligt underlag. Sammanfattningsvis är evidensen begränsad avseende kliniskt viktiga utfallsmått över en längre tid. Den längsta genomförda studien sträckte sig över 96 veckor men var i praktiken okontrollerad och behäftad med andra metodiska svagheter, såsom mycket stora avhopp.

Kostnadseffektivitet: TLV har bedömt att kostnaden är rimlig i förhållande till nyttan med förutsättningar i den sidoöverenskommelse landstingen träffat med företaget om återbetalning av en del av kostnaden. I förmånsbeslutet har TLV bland annat vägt in sjukdomens svårighetsgrad och antalet patienter samt behovet av nya behandlingar vid cystisk fibros. Därför accepterar TLV en högre kostnad för Orkambi, jämfört med behandlingar mot vanligare men lika svåra sjukdomar.

Rangordning: 3

Beräknad tillkommande merkostnad per år vid introduktion: Antal patienter i VGR med indikation för Orkambi uppgår till ca 60 patienter. Det ansöka priset till TLV ger en läkemedelskostnad på cirka 1,5 miljoner kronor per patient och år. Kostnaden enligt sidoöverenskommelsen är sekretessbelagd enligt avtal.

Berörda förvaltningar: Behandling och uppföljning sköts på CF-centrum på Sahlgrenska Universitetssjukhuset.

Särskilda överväganden utifrån nationell samverkan för ordnat införande av läkemedel

Orkambi prioriteras för introduktionsfinansiering utifrån regionens åtaganden i nationell samverkan om nya läkemedel och att det finns en stor efterfrågan på nya behandlingar vid cystisk fibros då det saknats läkemedel riktade mot sjukdomens orsak. Behandlingen avser en sjukdom med mycket hög svårighetsgrad och jämlik behandling i landet är av stor vikt.

Orkambi godkändes för försäljning 2015 och företaget har i omgångar ansökt till TLV om att läkemedlet ska ingå i läkemedelsförmånerna. I samband med den senaste förmånsansökan har trepartsförhandlingar mellan företag, landsting och TLV resulterat i en sidoöverenskommelse/ett avtal mellan landstingen och företaget. Avtalet som ska ge landstingen en viss återbäring på kostnaden har varit en del av TLV:s beslutsunderlag. Samtliga landsting har accepterat avtalet men konstruktionen skiljer sig mycket från de principer landstingen normalt har och har endast accepterats utifrån de särskilda omständigheterna. Avtalet innebär bland annat att patienter med indikation i alla landsting måste behandlas eftersom TLV vägt in antal patienter i förutsättningarna för beslutet om inklusion i läkemedelsförmånerna. Program- och prioriteringsrådet har i sin bedömning markerat att man endast motvilligt accepterar den aktuella avtalsformen, då den begränsar regionens möjligheter till horisontell prioritering.

Trots avtalet är kostnaden för Orkambi mycket hög och en förutsättning för att behandlingen ska vara kostnadseffektiv är en behandlingsstrategi där bara de som har särskilt god effekt på behandlingen fortsätter att behandlas under längre tid. Introduktionsfinansiering i VGR gäller under de förutsättningar om uppföljning som anges i NT-rådets kommande rekommendation. NT-rådet kommer att ställa krav på uppföljning via kvalitetsregister och även kriterier för när behandling bör avslutas. CF-vården är väl organiserad och sköts på fyra CF-centra i landet vilket ger goda förutsättningar för uppföljning av patienterna och utvärdering av läkemedlets effekt.

Tilläggsbeslut motiveras med att behandling av VGR-patienter, på grund av de höga kostnaderna, inte skulle kunna startas om inte introduktionsfinansiering utgår. En försenad introduktion skulle kunna innebära att förutsättningar som TLV vägt in i beslutet om inklusion i läkemedelsförmånerna inte gäller.

Finansiering och resurskonsekvenser

Regiongemensam finansiering av introduktionen föreslås ske under två år, till och med juni 2020. De tillkommande kostnaderna för förslaget beräknas uppgå till ■ mnkr 2018, ■ mnkr 2019 samt ■ mnkr 2020 med utgångspunkt från förväntade aktuella patientvolymerna och det aktuella avtalet.

Genomförande av beslut

Förvaltningarna ansvarar för genomförande av införande enligt beslut. En regional implementerings- och uppföljningsplan kommer att tas fram i samverkan

med berörda verksamheter, grupper i kunskapsorganisationen samt Koncernstab hälso- och sjukvård.

Beredning

PPR har utarbetat tilläggsförslag till ordnat införande 2018 etapp 2.

Koncernkontoret

Ann Söderström
Hälso- och sjukvårdsdirektör

Anders Carlqvist
Avdelningschef

Ytterligare information

- [Orkambi ingår i högkostnadsskyddet](#) (TLV.se)

Besluten skickas till

För genomförande:

- Samtliga utförarstyrelser inom hälso- och sjukvård

För kännedom

- Program- och prioriteringsrådet, regionala programråden, Regionalt cancercentrum väst, Läkemedelskommittén och terapigrupper
- Anders Carlqvist
- Jan Kilhamn
- Anna Wallman
- Anna Lindhé
- Leena Ekberg