

NT- rådet

Hälso- och sjukvårdsdirektörs-  
nätverket

## NT-rådets yttrande till landstingen gällande Translarna (ataluren) vid Duchennes muskeldystrofi

### NT-rådet rekommenderar landstingen

- Att avstå från nyinsättning av Translarna till dess att en hälsoekonomisk värdering från TLV finns tillgänglig. Företaget som marknadsför Translarna har aviserat att en förmånsansökan planeras.
- Att patienter som ingått i de kliniska studier som avslutades under hösten 2016 kan få fortsatt behandling inom godkänd indikation under noggrann uppföljning. NT-rådet rekommenderar att använda de kriterier för när behandlingen ska avbrytas ("stoppkriterier") som preciserats i [NICE Managed Access Agreement](#)<sup>1</sup>:
  - Patienten har förlorat all gångförmåga på grund av sjukdomstillståndet och har inte förmåga att stå utan stöd. I sådana fall sätts behandlingen ut inom 6 månader efter att patienten förlorat all gångförmåga.
  - Patienten kan på grund av compliance-problem eller av andra skäl inte följa planerad behandling och uppföljning på ett sådant sätt att säker nytta av behandlingen kan visas.
- Att de landsting som har patienter i behandling som en följd av avslutade kliniska studier tecknar gemensamt framtaget återbäringsavtal med företaget.

### Bakgrund

NT-rådet lämnade 2015-03-26 en rekommendation till landstingen att avvakta användning med Translarna i väntan på hantering inom ramen för en ansökan hos TLV om att ingå i läkemedelsförmånerna, eftersom Translarna förskrivs på recept. Mot bakgrund av att kliniska studier med Translarna avslutas under hösten 2016 bad landstingen NT-rådet att yttra sig gällande Translarna. Företaget erbjöd de landsting som har patienter i kliniska studier ett avtal med prisreduktion vilket ingicks 1 september 2016. Avtalet har nu förnyats, varför NT-rådet härmed uppdaterar sin rekommendation.

### **NT-rådets bedömning**

NT-rådet står fast vid sin tidigare bedömning att läkemedlet måste värderas inom ramen för en förmånsansökan hos TLV innan generell användning kan rekommenderas. Företaget ansvarar för att en sådan ansökan lämnas in till TLV. Enligt Helsingforsdeklarationen finns ett ansvar för fortsatt behandling av patienter som deltagit i kliniska studier. Ett undantag görs därför för behandling av de patienter som ingått i de kliniska studierna som avslutades hösten 2016 och som har objektiv nytta av behandlingen. Eftersom effekterna av läkemedlet är osäkra rekommenderar NT-rådet noggrann uppföljning av dessa patienter. NT-rådet noterar att de kliniska studierna av Translarna är genomförda på patienter med gångförmåga och att dokumentation av klinisk effekt saknas för andra patientgrupper<sup>2</sup>. NICE har i sitt Managed Access Agreement definierat stoppkriterier för när behandlingen skall utsättas, vilka NT-rådet bedömer relevanta för denna rekommendation.

Denna rekommendation kommer att uppdateras när en hälsoekonomisk värdering av Translarna är tillgänglig.

För NT-rådet

Gerd Lärfars, ordförande

### **Referenser:**

1. <https://www.nice.org.uk/guidance/hst3/resources/managed-access-agreement-july-2016-pdf-2553024061>
2. [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/EPAR\\_-\\_Product\\_Information/human/002720/WC500171813.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/002720/WC500171813.pdf)

**Närvarande vid beslut:** Lars Löf, Uppsala/Örebro sjukvårdsregion; Anna Lindhé, Västra regionen; Maria Landgren, Södra regionen; Märten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen; Johannes Blom, Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion

**Jäv:** Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet