

NT- rådet

Hälso- och sjukvårdsdirektörs-
nätverket

NT-rådets yttrande till landsting och regioner gällande Jinarc (tolvaptan) vid autosomal dominant polycystisk njursjukdom

NT-rådet rekommenderar landstingen

- att använda Jinarc (tolvaptan) vid autosomal dominant polycystisk njursjukdom (ADPKD) som uppvisar tecken på snabb progress av njurfunktionsnedsättning eller snabb tillväxt av njurstorleken under förutsättning att
 - behandlingen initieras i CKD (chronic kidney disease) GFR (glomerular filtration rate) stadium 2-3
 - nationellt framtaget avtal tecknas med företaget

Se avsnitt Sammanvägd bedömning för en beskrivning av aktuell patientgrupp med avseende på snabb progress av njurfunktionsnedsättning eller snabb tillväxt av njurstorlek.

Bakgrund

Jinarc är avsett för att bromsa progress av cystbildning och njurinsufficiens hos vuxna med autosomal dominant polycystisk njursjukdom (ADPKD).

TLV avslag 2016-10-03 företagets ansökan om att Jinarc skulle omfattas av subvention¹. På önskemål av landsting och regioner har NT-rådet därefter genomfört en förhandling med företaget med målsättning att kunna bedöma behandlingen som kostnadseffektiv.

NT-rådets bedömning gällande Jinarc

Tillståndets svårighetsgrad:

Tillståndets svårighetsgrad är måttlig till hög (på en skala av liten, måttlig, hög och mycket hög).

Kommentar: Tillståndet är progredierande och njurfunktionen försämras i takt med antalet cystor. Patienter med CKD-stadium 5, terminal njursvikt, behöver dialys eller njurtransplantation. Sjukdomens leder till förkortad förväntad livslängd. Annan behandling för tillståndet saknas.

Åtgärdens effektstorlek:

Effekten bedöms som måttlig (på en skala av liten, måttlig, stor och mycket stor). Det saknas långtidsstudier som visar om effekten av tolvaptan kvarstår över tid och om tiden till terminal njursvikt förskjuts.

Kommentar: Tolvaptan har utvärderats i en randomiserad, dubbelblind studie i 1445 patienter med CKD-stadium 1-3 som följdes under tre år. Studien visade att tolvaptan hade en statistiskt signifikant relativ reduktion av förändringshastigheten i total njurvolym på 49% jämfört med placebo, absolut reduktion per år var -2.7% (95% KI -3.3% - -2.1%, $p < 0.001$). Tolvaptan gav en relativ förbättring av njurfunktionen med 61.4% (HR=0.39, 95% KI 0.26-0.57, $p=0.007$).

Tillståndets sällsynthet

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

Kommentar: Omkring 300 patienter uppskattas vara aktuella för behandling

Åtgärdens kostnadseffektivitet

TLV har inom ramen för ansökan om subvention genomfört en hälsoekonomisk värdering av Jinarc, som NT-rådet tagit del av. TLV gjorde bedömningen att behandlingen inte är kostnadseffektiv till det av företaget ansökta priset.

Tillförlitligheten i det den hälsoekonomiska bedömningen

Tillförlitligheten i kostnadseffektivitetsbedömningen av Jinarc är liten (på en skala av liten-måttlig-stor-mycket stor).

Kommentar:

Värderingen av den kliniska effekten bygger på surrogatmarkörer och det finns inga data som visar om effekten av Jinarc kvarstår över tid. Utfallet av den hälsoekonomiska värderingen varierar beroende på antaganden om huruvida effekten är statisk över tid eller dynamisk vid progression och på vilken metod som används för skattning av njurfunktionen.

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 och Tillförlitligheten i det vetenskapliga underlaget, vilka bestämmer betalningsviljan och ställs i relation till Kostnadseffektiviteten.

Tillståndets svårighetsgrad anses vara måttlig till hög.

Storleken på åtgärdens effekt på tillståndet är osäker men bedöms som måttlig.

Tillståndet är vanligt.

Tillförlitligheten i underlaget för den hälsoekonomiska värderingen är liten.

NT-rådet har inför sitt beslut samrått med njurmedicinsk profession om det är möjligt att på ett praktiskt genomförbart sätt urskilja patienter med ADPKD och särskild risk för snabbt progredierande sjukdom. Behandling med Jinarc är sannolikt av störst värde för patienter som vid relativt låg ålder (<50 år) redan uppvisar nedsatt njurfunktion (eGFR 45-90 mL/min/1.73 m²) och har andra tecken på snabb progress av njurfunktionsnedsättningen som en bekräftad minskning av eGFR med ≥ 5 mL/min/1.73 m² under ett år och/eller en årlig nedgång i ≥ 2.5 mL/min/1.73m² under en period av fem år eller en årlig tillväxt av njurstorleken med mer än 5% per år², alternativt har uttalade symptom eller familjehistorik talande för tidig debut av ESRD (End-stage renal disease).

Behandling med Jinarc måste sättas in och övervakas under ledning av läkare med specialkunskap om hantering av ADPKD och kännedom om riskerna med tolvaptanbehandling inklusive levertoxicitet och övervakningskrav.

Patienter som bedöms ha ett långsamt sjukdomsförlopp eller har kontraindikation för läkemedlet ska inte ha behandling med Jinarc. Behandling skall ej heller initieras i CKD stadie 4.

Efter att TLV avslagit företagets ansökan om subvention har NT-rådet genomfört förhandlingar med företaget som lett till ett avtal som medför reducerad läkemedelskostnad. Behandlingen kan bedömas som kostnadseffektiv vid initiering i CKD stadium 2-3 till patienter som uppvisar tecken på snabb progress av njurfunktionsnedsättning eller snabb tillväxt av njurstorleken, under förutsättning att avtal om reducerad behandlingskostnad tecknas med företaget.

För NT-rådet,

Gerd Lärfars, ordförande

Referenser:

1. <http://www.tlv.se/beslut/beslut-lakemedel/avslag-uteslutningar/Jinarc-ingar-inte-i-hogkostnadsskyddet/>
2. Gansvoort et. al Nephrol Dial Transplant (2016) 31: 337–348
3. Torres VE, Chapman AB, devuyst O et al. N ENgl J Med 2012; 367: 2407-2418

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; Gerd Lärfars, sjukvårdsregion Stockholm/Gotland, ordförande i NT-rådet; Anna Lindhé, Västra regionen; Maria Landgren, Södra regionen; Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen; Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen; Beslutet fattades genom omröstning.

Jäv: Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet