

**BESLUT**

Datum
2018-12-20

Diarienummer
RS181270

Regionkontoret
Hälso- och sjukvård, Avdelningen för kvalitet
Magnus Bengtsson
Läkemedelsstrateg

Regionstyrelsen**Ordnat införande av läkemedel Soliris (eculizumab) vid
paroxysmal nocturn hemoglobinuri (PNH)****Beslut**

Enligt förslag från Region Hallands prioriterings- och evidensråd

**Förslag till beslut från Region Hallands prioriterings- och evidensråd
Avstå behandling enligt NT-rådets med regional utökning:**

- att avstå från användning av Soliris vid behandling av PNH.

Bakgrund

NT-rådet har utsett ett nationellt behandlingsråd för behandling med Soliris vid PNH. Behandlingsrådet utgörs av PNH-gruppen, som med stöd av Svensk Förening för Hematologi utvecklat riktlinjer för behandling av PNH. Behandlingsrådet följer upp samtliga behandlade patienter halvårsvis och rapporterar statistik till NT-rådet.

Godkänd indikation aktuell för ordnat införande

Soliris är indicerat för behandling av paroxysmal nocturn hemoglobinuri (PNH).

Sedan tidigare finns rekommendationer från NT-rådet gällande införande av Soliris vid atypiskt hemolytiskt uremiskt syndrom (aHUS).

Sjukdomens svårighetsgrad

Tillståndets svårighetsgrad varierar, men bedöms för de svårare formerna, som avses i denna rekommendation, som hög (på en skala av låg, medelhög och hög)

Åtgärdens effektstorlek

Effekten av behandlingen bedöms som stor (på en skala av liten, måttlig, stor, och mycket stor)

Effekten av Soliris vid PNH har bland annat visats i en 26 veckor lång randomiserad, placebokontrollerad fas 3-studie i 87 patienter. Procentandelen patienter med stabiliserande hemoglobinhalt vid studiens slut var 49 i Solirisgruppen och 0 i placebogruppen ($p < 0,001$). Andel patienter som inte behövt

blodtransfusion var under behandlingen 51 % i Solirisgruppen och 0 i placebogruppen ($p < 0,001$). Soliris har också studerats i en 52 veckor lång enarmad studie i 97 patienter samt en förlängningsstudie som visade på bibehållen minskad intravaskulär hemolys.

Tillförlitlighet i den vetenskapliga dokumentationen bedöms vara måttlig (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

Sjukdomens sällsynthet

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

Det uppskattas finnas omkring 30-40 patienter med PNH i Sverige. I Halland skulle detta innebära cirka 1 patient.

Kostnadseffektivitet

Priset för en årsbehandling med Soliris vid PNH är omkring 3,4 miljoner kronor (AUP).

I TLV:s utredning från 2013 erhöles inget hälsoekonomiskt underlag från företaget som valde att inte medverka vid en hälsoekonomisk värdering inom TLV:s klinikläkemedelsuppdrag. ICER bedöms dock vida överskrida vad som normalt brukar god-kännas för läkemedel vid tillstånd av hög svårighetsgrad, även för läkemedel vid sällsynta tillstånd.

TLV ger en grov uppskattning på kostnad per vunnet QALY på drygt 5 miljoner kronor men grundas på begränsade data

En värdering av tillförlitligheten i den hälsoekonomiska bedömningen av Soliris saknas eftersom ingen hälsoekonomisk bedömningen har kunnat göras (på en skala av låg, måttlig, hög till mycket hög).

Förmånsbeslut - TLV

Soliris är ett rekvisitionsläkemedel och ingår därmed inte i förmånen.

Sidoavtal

Inget avtal finns.

Regionala expertgruppsutlåtande

Inget regionalt utlåtande finns.



Konsekvensanalys

Ekonomiska konsekvenser

Rekommenderad dosering av Soliris vid PNH består av en doseringsregim består av en 4-veckors initial fas följt av en underhållsfas.

Initial fas: 600 mg Soliris administreras som en 25–45 minuters intravenös infusion varje vecka under de första 4 veckorna

Underhållsfas: 900 mg Soliris administreras som en 25–45 minuters intravenös infusion den femte veckan, följt av 900 mg Soliris som 25–45 minuters intravenös infusion var 14:e dag.

Behandling med Soliris rekommenderas vara livslång, om inte avbrytande av behandlingen är kliniskt indicera.

Utifrån dessa grundförutsättningar kan potentiell kostnaden för Region Halland beräknas till:

	1 patient
	Uppskattning baserat på data från patientunderlag från NT-rådet
2019	3,6 Mkr
2020	3,4 Mkr
2021	3,4 Mkr

Kostnaden är beräknad med hänsyn till de prevalensdata som finns i TLV:s kunskapsunderlag och de incidensdata som finns hos Socialstyrelsen. Det finns en stor osäkerhet i antalet tillkommande patienter med tanke på den låga incidensen vilket påverkar säkerheten i de uppskattade kostnaderna för Region Halland.

Kostnaden är beräknad på listpriset för Soliris.

Det finns ingen alternativ läkemedelsbehandling och därför ingen relevant alternativkostnad.

Organisatoriska konsekvenser

Inga identifierade.

Behov av utbildning

Inget identifierat.



Implementeringsplan

Införandeprocess

Nationell rekommendation samt nationell arbetsrutin finns framtaget för Soliris. De kriterier för insättning och utsättning som fastslagits i NT-rekommendationen samt den nationella arbetsrutinen ska följas absolut.

Beslut kring behandling förankras med nationella behandlingsrådet för Soliris vid PNH som bedömer vilka patienter som oundgängligen ska behandlas.

Kommunikationsplan

NT-rådets rekommendation och detta beslut förmedlas till sjukhusledning och aktuella förskrivare i november 2018. Beslut kommer att publiceras på Region Hallands webbsida för ordnat införande.

Uppföljningsplan

Det nationella behandlingsrådet för Soliris vid PNH följer upp samtliga behandlade patienter och rapporterar halvårsvis statistik till NT-rådet.

Användningen av Soliris följs dessutom regionalt av läkemedelsverksamheten på Regionkontoret i de fall behandlingen ges inom Region Halland. Återkoppling lämnas till rekvirerande enheter.

Beslutets giltighet

Beslutet om ordnat införande granskas och revideras senast 24 månader efter beslut eller vid nytt beslut från TLV, NT-rådet eller Läkemedelsverket.

Halmstad dag som ovan

.....
Jörgen Preuss
Tf Regiondirektör

Bilagor

Yttrande från NT-rådet.

Paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) - Nationella rekommendationer för diagnostik, behandling och uppföljning

