

12.6.2018

Sebelipas alfa vid behandling av brist på lysosomalt surt lipas

Godkänd vid tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvårdens möte 12.6.2018

Tjänsteutbudsrådets rekommendation	<p>Behandling med sebelipas alfa skulle ingå i det nationella tjänsteutbudet vid behandling av brist på lysosomalt surt lipas hos infantile onset-patienter, om priset på läkemedlet var avsevärt lägre. Det nuvarande partiförsäljningspriset per patient för läkemedlet är dock oskäligt högt i förhållande till den förväntade effekten för att läkemedlet skulle kunna tas med i tjänsteutbudet ens för de patienter som har infantile onset-varianten av sjukdomen.</p> <p>Hos infantile onset-patienter där livsfunktionerna betydligt har försämrats på grund av de förändringar sjukdomen orsakat är det inte medicinskt motiverat att inleda eller fortsätta behandling med sebelipas alfa. Dessa patienter bör i stället få symptomatisk behandling.</p> <p>För de patienter som har later-onset-varianten av sjukdomen ingår behandling med sebelipas alfa inte i tjänsteutbudet, eftersom det inte finns tillräckligt med bevis på behandlingens effekt och det finns andra läkemedel som kan användas.</p>	
Delområden för utvärderingen	Hälsoproblemets svårighetsgrad och utbredning	<p>Brist på lysosomalt surt lipas är en rubbning i fettmetabolismen som beror på en mutation i LIPA-genen. Den gör att lipider ansamlas i organismen. Det är en sällsynt sjukdom, av vilken det grovt räknat finns två kända varianter: den snabbt framskridande och dödliga sjukdomsvarianten infantile onset (Wolmans sjukdom), som i allmänhet framträder redan under de första levnadsveckorna, och den lindrigare sjukdomsvarianten later onset (CESD, kolesterolesterlagringsdefekt), som framträder senare och där den förväntade livslängden i bästa fall kan vara normal, men sjukdomsbilden, sjukdomens svårighetsgrad och prognosen kan variera från individ till individ.</p> <p>Antalet nya infantile onset-patienter kan uppgå till en vart tredje år. Antalet later onset-patienter är uppskattningsvis 2–56.</p>
	Effekt	<p>Av de infantile onset-patienter som fått behandling med sebelipas alfa uppnådde en större del två års ålder jämfört med kontrollgruppens patienter, men det finns inte data om hurdan effekt läkemedlet har på livskvaliteten. På later onset-patienter har läkemedlet haft en gynnsam effekt på surrogatvariabler, men man vet inte hur behandlingen inverkar på livslängden eller sjukfrekvensen.</p> <p>Sebelipas alfa korrigerar inte det genfel som orsakar sjukdomen.</p>
	Säkerhet	<p>Det finns inte beskrivet någonstans att sebelipas alfa-behandling skulle medföra några särskilda, allvarliga säkerhetsrisker, men studierna baserar sig på ett litet antal patienter. Doseringen är förknippad med sådana risker som är normala vid intravenös läkemedelsbehandling.</p>
	Kostnader och budgetkonsekvenser	<p>Priset för läkemedelsbehandlingen för en infantile onset-patient är 0,5–1,4 miljoner euro per år och för en later onset-patient 0,2–0,9 miljoner euro per år.</p> <p>Att göra en bedömning av de totala budgetkonsekvenserna är inte ändamålsenligt på grund av de stora variationerna i kostnaderna per patient och antalet patienter.</p>
	Etik och ekonomi som en helhet	<p>Sebelipas alfa är ett exceptionellt dyrt läkemedel, och det är etiskt försvarbart att avgränsa användningen av det till endast en sådan patientgrupp som det finns evidens för att läkemedelsbehandlingen har effekt på.</p>
	Diagnoskoder	<p>E 75.5 Andra specificerade rubbningar i fettupplagringen (ICD-10) 275761 (ORPHA-kod)</p>
	Bakgrundsmaterial och källor	<p>Tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvårdens motiveringspromemoria (på finska), Fimeas utvärderingsrapport (på finska med svensk resumé)</p>