



Translarna (ataluren) vid Duchennes muskeldystrofi

NT-rådets yttrande till regionerna 2022-07-01

Rekommendation och sammanvägd bedömning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att avstå från nyinsättning och generell användning av Translarna vid behandling av Duchennes muskeldystrofi
- att utsättning och eventuell fortsatt behandling av individuella fall diskuteras i det behandlingsråd som NT-rådet har för avsikt att bilda

TLV beslutade i april 2019 att Translarna skulle ingå i läkemedelsförmånerna med begränsning till patienter med bibehållen gångförmåga. Subventionen av Translarna var tidsbegränsad och förenad med uppföljningsvillkor bland annat kring effekt. För att kunna göra en ny utvärdering av effekten av Translarna utifrån då pågående kliniska studier var tidsbegränsningen satt till den 30 juni 2022. Företaget har därefter inte inkommit med data till TLV som visar att effekten av läkemedlet kan motivera det pris företaget satt. TLV har därför beslutat att Translarna inte ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med 1 juli 2022.

Translarna är ett receptläkemedel vilket innebär att NT-rådet inte gör någon egen bedömning av läkemedlets kostnadseffektivitet utan grundar sin rekommendation på utfallet av TLV:s förmånsbeslut.

NT-rådet rekommenderar regionerna att avstå från behandling med Translarna. Eftersom andra behandlingsalternativ saknas och effekten av läkemedlet varierar mellan individer bedömer NT-rådet att vissa patienter inte kan avsluta behandlingen omedelbart. Det gäller patienter som har objektiv nytta av behandlingen. För att säkerställa jämlik hantering i landet avser NT-rådet att skapa ett nationellt behandlingsråd med representanter från respektive sjukvårdsregion och adjungerade medicinska experter. Behandlingsrådet ska bedöma när behandling med Translarna ska avslutas och utgör ett stöd för behandlande läkare och verksamhetschef.

Eftersom den kliniska nyttan av läkemedlet är osäker rekommenderar NT-rådet noggrann uppföljning av de patienter som fortsätter behandling. I de kliniska studier som ligger till grund för Translarnas marknadsföringsgodkännande i EU är signifikant effekt endast visad hos patienter som har bevarad gångförmåga. Translarna har ett villkorat godkännande, företaget är ålagt att inkomma till EMA med resultat från ytterligare studier i september 2022.



Om läkemedlet

Translarna (ataluren) är avsett för behandling av Duchennes muskeldystrofi hos patienter där sjukdomen orsakas en nonsensmutation i dystrofingenen. Nonsensmutationen resulterar i ett prematurt stoppkodon vilket avbryter translationen innan ett protein av full längd har genererats. Translarna möjliggör ribosomal genomläsning av mRNA som innehåller ett sådant prematurt stoppkodon, vilket resulterar i framställning av ett protein av full längd.

Indikation: Translarna är avsett för behandling av Duchennes muskeldystrofi, som orsakas av en nonsensmutation i dystrofingenen, hos rörliga patienter 2 år och äldre.

Referenser

[TLV:s beslut](#)

[Produktresumé för Translarna](#)

Närvarande vid beslut

Gerd Lärfars, ordförande NT-rådet; Maria Palmetun Ekbäck, Sjukvårdsregion Mellansverige; Anna Lindhé, Västra sjukvårdsregionen; Maria Landgren, Södra sjukvårdsregionen; Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen; Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen

Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet.