

NT- rådet

**Hälso- och sjukvårdsdirektörs-
nätverket**

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

NT-rådet rekommenderar landstingen

- Att avstå från nyinsättning av Translarna till dess att en hälsoekonomisk värdering från TLV finns tillgänglig för NT-rådet att ta ställning till. Patienter som ingår i de kliniska studier som avslutas under hösten 2016 kan fortsätta sin behandling inom godkänd indikation om behandlande läkare efter noggrann uppföljning bedömer att den har en kliniskt relevant effekt. Landstingen kan för dessa patienter teckna gemensamt framtaget avtal om prisreduktion 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 har landstingen på nytt bett NT-rådet att yttra sig gällande Translarna. Företaget har erbjudit de landsting som har patienter i kliniska studier ett avtal med prisreduktion. Ännu har inget förmånsbeslut fattats av TLV.

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. Enligt Helsingforsdeklarationen finns ett ansvar för fortsatt behandling av patienter som deltagit i kliniska studier. Ett undantag kan därför göras för behandling av enbart de patienter som ingått i studierna som nu avslutas och som har objektiv nytta av behandlingen. Eftersom effekterna av läkemedlet är osäkra rekommenderar NT-rådet noggrann uppföljning av patienterna.

För NT-rådet

Stefan Back, ordförande

Närvarande vid beslut: Lars Lööf, Uppsala/Örebro sjukvårdsregion; Anna Lindhé, Västra regionen; Maria Landgren, Södra regionen; Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen; Stefan Back, ordförande NT-rådet

Jäv: Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet

INAKTUELL