



sanofi-aventis Denmark A/S
Julie Mill
Slotsmarken 13
2970 Hørsholm

Praluent får ikke generelt klausuleret tilskud

I har ansøgt om generelt klausuleret tilskud til Praluent den 28. august 2015.

22. december 2015

I ansøgningen foreslår I, at tilskuddet klausuleres til:

T (dir.) +45 44889348
kko@dkma.dk

- patienter med behandlingskrævende familiær hyperkolesterolæmi med højt LDL-kolesterol, som ikke har nået LDL-behandlingsmålet på maksimal tolereret lipidsænkende behandling med statin og/eller ezetimibe *samt*
- patienter med behandlingskrævende dyslipidæmi med højt LDL-kolesterol samt meget høj risiko for kardiovaskulære hændelser som ikke har nået LDL-behandlingsmålet på maksimal tolereret lipidsænkende behandling med statin og/eller ezetimibe.

Sagsnummer:
2015083958

Vor ref: Karen Kolenda

I jeres bemærkninger til Medicintilskudsnetts indstilling af den 26. oktober 2015 begrænser I jeres ansøgning om generelt klausuleret tilskud til:

- patienter med familiær hyperkolesterolæmi, som ikke når deres LDL-behandlingsmål trods maksimal lipidsænkende standardbehandling med statin og eventuelt ezetimibe.

Afgørelse

Praluent (injektionsvæske med indhold af alirocumab i styrkerne 75 og 150 mg) får *ikke* generelt klausuleret tilskud.

Begrundelse

Praluent er indiceret til voksne med primær hyperkolesterolæmi (heterozygot familiær og non-familiær) eller kombineret dyslipidæmi som tillæg til diæt:

- i kombination med et statin eller i kombination med et statin sammen med anden lipidsænkende behandling hos patienter, som ikke når deres mål for LDL-C med maksimalt tolereret dosis af et statin eller
- alene eller i kombination med anden lipidsænkende behandling hos patienter, der er statin-intolerante eller for hvem statinbehandling er kontraindiceret.

Jeres ansøgning med samtlige bilag er blevet forelagt og vurderet af Medicintilskudsnet, som bl.a. udtalte:

” Der er udført flere studier, der viser en markant effekt af Praluent på surrogatparameteren LDL-cholesterol, mens studier på den kardiovaskulære morbiditet og mortalitet endnu ikke foreligger.

Med henvisning til at sådanne langtidsstudier på hårde endepunkter ikke foreligger, finder vi, for patienter omfattet af den foreslåede klausul, at lægemidlets pris ikke står i et rimeligt forhold til den behandlingsmæssige værdi.”

Vi har forelagt jeres høringssvar med det nye klausulforslag for Medicintilskudsnet på deres møde den 17. november 2015. Nævnet drøftede jeres høringssvar og fastholdt sin indstilling med henvisning til, at lægemidlets pris ikke står i et rimeligt forhold til den behandlingsmæssige værdi for alle patienter omfattet af det nye klausulforslag.

Lægemiddelstyrelsen har lagt vægt på nævnets indstilling.

Vi lægger generelt vægt på, at der er usikkerhed omkring den behandlingsmæssige værdi af Praluent, fordi vi ikke kender resultaterne af de igangværende langtidsstudier, der har til formål at påvise effekt på hårde kliniske endepunkter.

Vi finder ikke, at lægemidlets pris står i et rimeligt forhold til den behandlingsmæssige værdi for alle patienter omfattet af den klausul, I foreslår i jeres høringssvar.

Det gælder fx for patienter med familiær hyperkolesterolæmi, hvor diagnosen ikke er verificeret efter anbefalingerne i Dansk Cardiologisk Selskabs holdningspapir om familiær hyperkolesterolæmi¹. Vi mener, at der er risiko for, at patienter med familiær disposition for udvikling af hjertekarsygdom bliver sat i behandling med Praluent og for disse patienter mener vi ikke, at lægemidlets pris står mål med den behandlingsmæssige værdi.

Det er endvidere vores vurdering, at Praluent er så dyrt, at alle andre behandlingsmuligheder skal være udtømte, før behandlingen vil stå i et rimeligt forhold til prisen, herunder behandling med statin, statin i kombination med ezetrol og anionbytter. Klager over bivirkninger i forbindelse med statinbehandling er ofte en udfordring i klinisk praksis². Vi vurderer derfor, at der er risiko for, at et forholdsvis stort antal patienter vil kunne blive sat i behandling med Praluent, uden at alle andre behandlingsmuligheder er udtømte - uanset det kun er specialister i

¹ Familiær hyperkolesterolæmi, DCS Holdningspapir, april 2012

² 28.6 Håndtering af patienter med mistænkt intolerans til statinbehandling, NBV, Dansk Cardiologisk selskab.

kardiologi og endokrinologi, der kan udskrive Praluent. Det er fx patienter, hvor det ikke er udelukket gennem flere behandlingsforsøg, at behandling med statin ikke kan anvendes. I et studie af Mampuya et al fra 2013 blev det påvist, at mange patienter med statinintolerans tålte enten kontinuerlig eller intermitterende statinbehandling, når behandlingen blev forsøgt genoptaget³.

Endelig mener vi, at formuleringen i klausulforslaget 'som ikke når deres LDL-behandlingsmål' vil medvirke til, at der vil være risiko for, at læger iværksætter og fortsætter behandling med Praluent hos patienter, hvor denne dyre behandling ikke er rationel.

Lægemiddelstyrelsen kan ikke identificere andre bestemte sygdomme eller persongrupper, til behandling af hvilke, Praluent opfylder kriterierne for generelt tilskud.

Praluent opfylder således ikke kriterierne for generelt klausuleret tilskud.

Vi henviser i øvrigt til afsnittet "Bemærkninger til jeres høringssvar" nedenfor.

Lovgrundlag

Afgørelsen er truffet med hjemmel i sundhedslovens⁴ § 144, stk. 1 og 2, jf. § 1, stk. 1, stk. 2, nr. 2, og stk. 4, i medicintilskudsbekendtgørelsen⁵.

Bemærkninger til jeres høringssvar

I foreslår, at vi kontakter de videnskabelige selskaber med henblik på at opstille kriterier for enkelttilskud til patienter med meget høj kardiovaskulær risiko.

Nævnet drøftede muligheder for enkelttilskud til PCSK-9 hæmmere på deres møde nr. 436 den 20. oktober 2015 og så sig ikke i stand til at opstille vejledende kriterier på dette tidspunkt. Nævnet har endvidere noteret sig, at RADS er ved at nedsætte et fagudvalg, der bl.a. skal identificere og kvantificere den patientpopulation, som skal tilbydes behandling med PCSK-9-hæmmerne frem for eksisterende lipidsænkende behandling.

Senest når der foreligger behandlingsvejledninger for behandling med PCSK9-hæmmere, vil vi igen rådføre os med Medicintilskudsnettet omkring behandling af ansøgninger om enkelttilskud, herunder om det er muligt at opstille vejledende kriterier for enkelttilskud. Indtil da vil nævnet og vi behandle ansøgninger om enkelttilskud til PCSK-9-hæmmerne efter

³ Mampuya et al 2013. 'Treatment strategies in patients with statin intolerance: The Cleveland Clinic experience', American Heart Journal, volume 166, number 3, s. 597-603

⁴ lovbekendtgørelse nr.1202 af 14. november 2014

⁵ bekendtgørelse nr. 180 af 17. marts 2005 om medicintilskud med senere ændringer.

de anbefalinger, der fremgår af nævnets referat af møde nr. 436 den 20. oktober 2015 om den potentielle patientpopulation og den dokumentation, ansøgninger om enkelttilskud skal indeholde.

Vi har indtil nu kun modtaget et mindre antal ansøgninger om enkelttilskud til PCSK-9-hæmmerne, men vi følger løbende udviklingen. Såfremt der tegner sig et mønster, der gør, at vi yderligere kan præcisere hvilke oplysninger, vi har behov for i lægernes ansøgninger for at kunne vurdere dem, vil vi offentliggøre disse på vores hjemmeside.

Sagsforløb og tilskudsnotat

Vi vedlægger et tilskudsnotat, hvoraf Lægemiddelstyrelsens beslutning samt sagsforløbet fremgår.

Revurdering

Afgørelsen er truffet på baggrund af oplysninger til rådighed på afgørelsestidspunktet. Hvis disse senere ændrer sig, kan Lægemiddelstyrelsen revurdere afgørelsen.

Tilskudsstatus for Praluent vil blive revurderet i forbindelse med den regelmæssige revurdering af lægemidlers tilskudsstatus.

Klagevejledning

I kan klage over denne afgørelse hos Sundheds- og Ældreministeriet, Holbergsgade 6, 1057 København K, der dog ikke vurderer vores faglige skøn.

Med venlig hilsen


Karen Kolenda