



Amgen AB
Mille Keller Holst
Strandvejen 70, 2
2900 Hellerup

Repatha får ikke generelt klausuleret tilskud

I har ansøgt om generelt klausuleret tilskud til Repatha den 6. august 2015.

22. december 2015

I ansøgningen foreslår I, at tilskuddet klausuleres til høj/meget høj risikopatienter med behandlingskrævende hyperlipidæmi, som ikke i tilstrækkelig grad kan kontrollere deres LDL-cholesterol:

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

- a) Som tillægsterapi til max. tolereret dosis af statin med eller uden anden lipidsænkende behandling.
- b) Som monoterapi til patienter som er statin intolerante eller hvor statin er kontraindiceret.

Sagsnummer:
2015080815

Vor ref: Karen Kolenda

Afgørelse

Repatha (injektionsvæske med indhold af evolocumab i styrken 140 mg) får *ikke* generelt klausuleret tilskud.

Begrundelse

Repatha er godkendt til behandling af:

- voksne med primær hyperkolesterolemie (heterozygot familiær og ikke-familiær) eller blandet dyslipidæmi som supplerende behandling til diæt:
 - i kombination med et statin eller med statin og andre lipidsænkende behandlinger hos patienter, der ikke kan nå målene for LDL-C med den maksimalt tolererede dosis statin, eller
 - alene eller i kombination med andre lipidsænkende behandlinger til patienter, der er statin-intolerante, eller hvor et statin er kontraindiceret.
- voksne og unge fra 12 år og opefter med homozygot familiær hyperkolesterolemie i kombination med andre lipidsænkende behandlinger.

Jeres ansøgning med samtlige bilag er blevet forelagt og vurderet af Medicintilskudsnævnet, som indstillede, at Repatha ikke får generelt klausuleret tilskud. Nævnet udtalte bl.a.:

”Der er udført flere studier, der viser en markant effekt af Repatha 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 med høj risiko¹, at lægemidlets pris ikke står i et rimeligt forhold til den behandlingsmæssige værdi.

For så vidt angår patienter med meget høj risiko², mener vi, at der ved tildeling af klausuleret tilskud til den foreslåede klausul vil være risiko for, at lægemidlet dels bliver ordineret til patienter uden meget høj risiko og dels bliver ordineret til patienter, hvor bivirkninger på alle andre kolesterolsænkende lægemidler eller statin-intolerance ikke er tilstrækkeligt dokumenteret fx ved objektive fund”.

I har den 23. oktober 2015 fremsendt jeres bemærkninger til Medicintilskudsnævnets indstilling. Vi har forelagt jeres høringssvar for Medicintilskudsnævnet på deres møde den 17. november 2015. Nævnet drøftede jeres høringssvar og fastholdt sin indstilling af den 9. oktober 2015, hvor nævnet anbefalede ikke at give generelt klausuleret tilskud til Repatha.

Lægemiddelstyrelsen har lagt vægt på nævnets indstilling.

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

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

Det gælder fx behandling af patienter, som lægen umiddelbart vurderer er statin intolerante, men hvor intolerancen ikke er tilstrækkelig dokumenteret. Klager over bivirkninger i forbindelse med statinbehandling er ofte en udfordring i klinisk praksis³, hvorfor vi mener, at der med den foreslåede tilskudsklausul vil være risiko for, at et forholdsvis stort antal patienter kan blive sat i behandling med Repatha, uden at alle andre relevante behandlingsmuligheder er udtømte – uanset det kun er specialister i kardiologi og endokrinologi, der kan udskrive Repatha. 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

¹ Jf. definitionen af ”Høj risiko” i punkt 28.1 i NBV – Dansk Cardiologisk Selskab

² Jf. definitionen af ”Meget høj risiko” i punkt 28.1 i NBV – Dansk Cardiologisk Selskab

³ 28.6 Håndtering af patienter med mistænkt intolerance til statinbehandling, NBV, Dansk Cardiologisk selskab.

2013 blev det påvist, at mange patienter med statinintolerans tålte enten kontinuerlig eller intermitterende statinbehandling, når behandlingen blev forsøgt genoptaget⁴. Det er vores vurdering, at Repatha 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.

Endelig mener vi, at formuleringen i klausulforslaget 'som ikke i tilstrækkelig grad kan kontrollere deres LDL-cholesterol' vil medvirke til, at der vil være risiko for, at læger iværksætter og fortsætter behandling med Repatha hos patienter, hvor denne dyre behandling ikke er rationel.

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

Repatha 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 sundhedslovens⁵ § 144, stk. 1 og 2, jf. § 1, stk. 1, stk. 2, nr. 2, og stk. 4, i medicintilskudsbekendtgørelsen⁶.

Bemærkninger til jeres høringssvar

I foreslår, at Lægemiddelstyrelsen i nærmeste fremtid i samarbejde med specialister og faglige selskaber får opstillet vejledende kriterier for enkelttilskud, så patienter med høj eller meget høj risiko for kardiovaskulære hændelser kan komme i behandling.

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 for enkelttilskud 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

⁴ 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

⁵ lovbekendtgørelse nr. 1202 af 14. november 2014

⁶ bekendtgørelse nr. 180 af 17. marts 2005 om medicintilskud med senere ændringer.

muligt at opstille vejledende kriterier for enkelttilskud. Indtil da vil nævnet og vi behandle ansøgninger om enkelttilskud til PCSK-9-hæmmerne efter 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 Repatha 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