



Shire Danmark
Att.: Martin Fallenkamp (martin.fallenkamp@takeda.com)

21. oktober 2019
Sagsnr. 2019101060

Desuden sendt til:
Shire Services BVBA
Rue Montoyer 47
BE – 1000 Brussels

Reference usk
T +45 44 88 93 50
E usk@dkma.dk

Buccolam får generelt klausuleret tilskud

Afgørelse

Buccolam, mundhulevæske med indhold af midazolam får med virkning fra 4. november 2019 generelt klausuleret tilskud.

Styrken 5 mg/1 ml får følgende klausul:

"Behandling af langvarige, akutte konvulsive anfald hos småbørn med epilepsi i alderen 1 år til <5 år".

Styrken 7,5 mg/1,5 ml får følgende klausul:

"Behandling af langvarige, akutte konvulsive anfald hos børn med epilepsi i alderen 5 år til <10 år".

Styrken 10 mg/2 ml får følgende klausul:

"Behandling af langvarige, akutte konvulsive anfald hos børn og unge med epilepsi i alderen 10 til 18 år".

Sagsfremstilling

Medicintilskudsnettet har i forbindelse med behandling af en ansøgning om generelt klausuleret tilskud til Epistatus mundhulevæske med indhold af midazolam anbefalet, at Buccolam får generelt klausuleret tilskud. Det fremgår af referatet af møde nr. 496 i Medicintilskudsnettet afholdt den 22. august 2019¹.

Den godkendte indikation for Buccolam er ifølge produktresumeeet: *"Behandling af langvarige, akutte konvulsive anfald hos spædbørn, småbørn, børn og unge (fra 3 måneder til <18 år). BUCCOLAM må kun anvendes af forældre/plejere, hvis patienten er blevet diagnosticeret med epilepsi. For spædbørn i alderen 3-6 måneder skal behandlingen foregå i hospitalsregi, hvor overvågning er mulig og genoplivningsudstyr er til rådighed."*

På det danske marked findes på nuværende tidspunkt Buccolam mundhulevæske, der indeholder midazolam og Stesolid rektalvæske, der indeholder diazepam, som begge anvendes til akut behandling af epileptiske anfald. Midazolam og diazepam er benzodiazepiner.

Buccolam er markedsført i styrken 5 mg/ml til børn i alderen 1-<5 år, i styrken 7,5 mg/1,5 ml til børn i alderen 5-<10 år og i styrken 10 mg/2 ml til børn i alderen 10-<18 år. Stesolid rektalvæske er markedsført i styrkerne 5 mg/dosis og 10 mg/dosis. Stesolid rektalvæske har generelt klausuleret tilskud til: *"Akutte behandlingskrævende krampeanfald og non-konvulsive epileptiske anfald"*.

Behandlingsprisen for Buccolam mundhulevæske på 256-266 kr. per dosis er betydeligt højere end behandlingsprisen for Stesolid rektalvæske, der koster 11-29 kr. per dosis².

Sundhedsstyrelsen har i 2015 udgivet National Klinisk Retningslinje (NKR) for udredning og behandling af epilepsi hos børn og unge³. Retningslinjen har en svag/betinget anbefaling for anvendelse af buccal midazolam fremfor rektal diazepam. I retningslinjen står: *"Overvej at behandle børn og unge under 18 år med epileptiske anfald, der varer længere end 3-5 minutter med buccal midazolam fremfor rektal diazepam, idet der er lavere risiko for recidiv af anfald ved brug af buccal midazolam. Ved beslutning tages hensyn til praktiske forhold og sociale hensyn til større børn og unge"*.

I forbindelse med revurdering af tilskudsstatus for antiepileptika i 2013⁴ anbefalede Medicintilskudsnævnet, at midazolam mundhulevæske ikke skulle have generelt tilskud med henvisning til, at behandling med benzodiazepiner generelt er forbundet med risiko for afhængighed og misbrug. Nævnet anbefalede derudover, at midazolam mundhulevæske ikke fik generelt klausuleret tilskud med henvisning til, at behandlingsprisen var væsentligt højere end for diazepam rektalvæske.

Vi har indhentet data fra Lægemiddelstatistikregistret over receptindløsninger på lægemidlerne Buccolam mundhulevæske og Stesolid rektalvæske siden 2013, hvor Buccolam blev markedsført i Danmark⁵.

Tallene viser blandt andet, at der i 2018 var 2.185 personer, der indløste recept på Buccolam, heraf var 91% - svarende til 1.993 personer - registreret med diagnosen epilepsi (DG40*) i Landspatientregistret⁶. Siden markedsføringen af Buccolam i 2013 har vi bevilget enkelttilskud til 2.662 personer, 16 personer har fået afslag.

Medicintilskudsnævnet udtalte den 22. august 2019 i forbindelse med behandling af ansøgning om generelt klausuleret tilskud til Epistatus mundhulevæske blandt andet:

"Vi indstiller, at Epistatus får generelt klausuleret tilskud til Behandling af langvarige, akutte konvulsive anfald hos børn og unge med epilepsi i alderen 10 til 18 år. Behandling med benzodiazepiner er generelt forbundet med risiko for afhængighed og misbrug. Der skal derfor foreligge ganske særlige forhold for, at et lægemiddel kan tildeles generelt tilskud eller generelt klausuleret tilskud. Det vurderer vi, at der gør i denne sag, når midazolam ordineres til behandling af langvarige, akutte konvulsive anfald hos børn og unge med epilepsi i alderen 10 til 18 år.

Vi har ved vores vurdering lagt vægt på, at der i Sundhedsstyrelsens NKR for udredning og behandling af epilepsi med henvisning til den lavere risiko for recidiv af anfald er en svag anbefaling for anvendelse af buccal midazolam fremfor rektal diazepam til børn og unge under 18 år med epileptiske anfald, der varer længere end 3-5 minutter. Derudover lægger vi vægt på, at udtræk fra Lægemiddelstatistikregistret viser, at 91% af de 2185 personer, der i 2018 har indløst recept på Buccolam mundhulevæske med indhold af midazolam, har diagnosen epilepsi i Landspatientregistret samt at Lægemiddelstyrelsen bevilger enkelttilskud til stort set alle ansøgninger om enkelttilskud. Vi mener, at disse tal er udtryk for, at behandling med Buccolam i høj grad er hensigtsmæssig og rationel. Behandlingsprisen for Epistatus er væsentligt højere end prisen for diazepam rektalvæske. Vi finder, at den højere behandlingspris opvejes af, at der dels er lavere risiko for recidiv af anfald ved brug af mundhulevæske og dels at administration af anfaldsbrydende behandling i mundhulen er mere acceptabel hos børn og unge i alderen 10-18 år.

...

Vi vurderer, at Epistatus opfylder kriterierne for generelt tilskud, når det ordineres til behandling af langvarige, akutte konvulsive anfald hos børn og unge med epilepsi i alderen 10 til 18 år. Med denne klausul vurderer vi, at det sikres, at der alene ydes tilskud til behandling af langvarige, akutte konvulsive anfald hos børn og unge med epilepsi i alderen 10 til 18 år.

Vi opfordrer Lægemiddelstyrelsen til at følge forbruget af Epistatus og andre benzodiazepiner, der anvendes til afbrydelse af langvarige epileptiske anfald.”

Begrundelse

Det fremgår af medicintilskudsbekendtgørelsens⁷ § 1, stk. 2, at Lægemiddelstyrelsen ved vurderingen af, om der skal ydes generelt tilskud til et lægemiddel, lægger vægt på, 1) om lægemidlet har en sikker og værdifuld terapeutisk effekt på en velafgrænset indikation, og 2) om lægemidlets pris står i rimeligt forhold til dets behandlingsmæssige værdi.

Det følger af medicintilskudsbekendtgørelsens § 1, stk. 4, at Lægemiddelstyrelsen i overensstemmelse med kriterierne fastsat i § 1, stk. 2 og 3, vurderer, om regionsrådets tilskud skal betinges af, at lægemidlet ordineres med henblik på behandling af bestemte sygdomme eller persongrupper (generelt klausuleret tilskud).

Det følger af bekendtgørelsens § 1, stk. 3, nr. 7, at med mindre ganske særlige forhold gør sig gældende, ydes der ikke generelt tilskud til et lægemiddel, hvis der er nærliggende risiko for, at lægemidlet gøres til genstand for misbrug.

Vi vurderer, at Buccolam har en sikker og værdifuld terapeutisk effekt på en velafgrænset indikation til patienter omfattet af ovenstående klausuler. Vi har ved vores vurdering lagt vægt på, at behandling med Buccolam ifølge produktresumet er indiceret til behandling af langvarige, akutte konvulsive anfald hos småbørn, børn og unge. Vi har derudover lagt vægt på, at National Klinisk Retningslinje for udredning og behandling af epilepsi hos børn og unge, har en svag/betinget anbefaling for anvendelse af buccal midazolam fremfor rektal diazepam.

Vi finder, at prisen på Buccolam står i et rimeligt forhold til den behandlingsmæssige værdi til *behandling af langvarige, akutte konvulsive anfald hos småbørn, børn og unge med epilepsi i aldersgrupperne 1 år til <5 år, 5 år til <10 år og 10 år til 18 år*. Vi finder i lighed med nævnet, at den højere behandlingspris for midazolam mundhulevæske i forhold til diazepam rektalvæske opvejes af, at der dels er lavere risiko for recidiv af anfald ved brug af mundhulevæske og dels at administration af anfaldsbrydende behandling i mundhulen er mere acceptabel hos børn og unge. Vi mener på dette grundlag, at behandlingsprisen for Buccolam står i et rimeligt forhold til den behandlingsmæssige værdi på trods af, at prisen per dosis er betydeligt højere end prisen per dosis for Stesolid rektalvæske.

Vi er enige med Medicintilskudsnævnet i, at der foreligger ganske særlige forhold, der medfører, at der kan tildeles generelt klausuleret tilskud til Buccolam, selvom behandling med benzodiazepiner generelt er forbundet med risiko for afhængighed og misbrug. I lighed med nævnet lægger vi vægt på, at der i Sundhedsstyrelsens NKR for udredning og behandling af epilepsi er en svag anbefaling for anvendelse af buccal midazolam fremfor rektal diazepam til børn og unge under 18 år med epileptiske anfald, der varer længere end 3-5 minutter. Vi lægger ligeledes vægt på, at udtræk fra Lægemiddelstatistikregistret og Landspatientregistret samt vores erfaring med behandling af ansøgninger om enkelttilskud til Buccolam viser, at behandling med Buccolam i høj grad er hensigtsmæssig og rationel.

Vi følger udviklingen i såvel priser som forbrug af lægemidler, der meddeles generelt tilskud, herunder generelt klausuleret tilskud.

Lovgrundlag

Afgørelsen er truffet med hjemmel i § 1, stk. 2 og stk. 4, i medicintilskudsbekendtgørelsen⁷ og sundhedslovens⁸ § 152, stk. 5.

* * *

Revurdering

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

Tilskudsstatus for Buccolam bliver 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



Ulla Kirkegaard Madsen
Sektionsleder

¹ Referat af Medicintilskuds nævnets møde nr. 496 den 22. august 2019, tilgængelig på <https://laegemiddelstyrelsen.dk/da/tilskud/medicintilskudsnaevnet/referater/~media/3715C6BDB2E34F66949837536DB79594.ashx>

² Ifølge www.medicinpriser.dk per 7. oktober 2019

³ NKR, udredning og behandling af epilepsi hos børn og unge, SST, tilgængelig på <https://www.sst.dk/~media/Udgivelser/2015/NKR-Epilepsi-hos-børn-og-unge/NKR-epilepsi-rapport---endelig-version-til-hjemmesiden.ashx?la=da&hash=679278FC052A7BA00774B0E521498E260CED2673>

⁴ Medicintilskuds nævnets indstilling af 26. november 2013 – Revurdering af tilskudsstatus for lægemidler mod epilepsi, Tilgængelig på <https://laegemiddelstyrelsen.dk/da/tilskud/generelle-tilskud/revurdering/status/~media/4B667049DE7E42CC9A1C777A952376C6.ashx>

⁵ Lægemiddelstatistikregistret, opdateret til og med juni 2019

⁶ Egne beregninger baseret på tal fra Lægemiddelstatistikregistret og Landspatientregistret, Sundhedsdatastyrelsen

⁷ Bekendtgørelse nr. 1781 af 18. december 2018 om medicintilskud

⁸ Jf. lovbekendtgørelse nr. 903 af 26. august 2019