



## Kaftrio (elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor) vid cystisk fibros

NT-rådets yttrande till regionerna 2021-03-31

### Rekommendation och sammanvägd bedömning

#### NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att avvakta med användning av Kaftrio för behandling av cystisk fibros i väntan på en ny förmånsansökan från företaget.
- att individuella fall av patienter som är i behov av lungtransplantation, och där ytterligare försämring av tillståndet äventyrar möjligheten till transplantation, kan komma i fråga för behandling med Kaftrio efter diskussion med det nationella behandlingsrådet för cystisk fibros.

TLV har 2021-03-25 beslutat att Kaftrio inte ska ingå i läkemedelsförmånerna.

Regionerna, TLV och företaget Vertex har haft trepartsöverläggningar gällande priset på Kaftrio. Parterna har inte kunnat nå en överenskommelse om en kostnadsnivå som gör att läkemedlet kunnat bedömas kostnadseffektivt och därmed inkluderas i läkemedelsförmånerna. Det begärda priset är mycket högre än vad som accepterats för läkemedel vid andra sjukdomar med samma svårighetsgrad.

I TLV:s beslut framgår att det ansökta priset för Kaftrio är 103 951,25 kr (AUP) för 56 tabletter (vilket motsvarar 28 dagars behandling). Kaftrio ska kombineras med Kalydeco vilket ger en årsbehandlingskostnad per patient på cirka 2,2 miljoner kronor.

För patienter som är heterozygota för F508del i CFTR-genen i kombination med en så kallad minimalfunktionsmutation beräknar TLV att kostnaden per vunnet QALY (kvalitetsjusterat levnadsår) är cirka 7,7–11,7 miljoner kronor jämfört med bästa understödjande behandling.

NT-rådet anser att Kaftrio kan användas undantagsvis till patienter som riskerar att avlida i väntan på lungtransplantation. Sådana patientfall bör diskuteras i det nationella behandlingsrådet för cystisk fibros.

NT-rådet bedömer att kombinationsbehandling med Kaftrio och Kalydeco har god effekt och skulle vara en värdefull behandling för patienter med cystisk fibros. NT-rådet uppmanar därför företaget att återigen ansöka om subvention, med justerat pris.



## Om läkemedlet

Kaftrio innehåller en kombination av substanserna tezakaftor, ivakaftor och elexakaftor. Cystisk fibros orsakas av mutationer i genen för proteinet CFTR (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator). CFTR-protein är en kloridjonkanal som finns på ytan av epitelceller i flera organ. Den kombinerade effekten av substanserna i Kaftrio innebär ökad mängd samt förbättrad funktion av CFTR vid cellytan, vilket leder till ökad CFTR-aktivitet.

Kaftrio är avsett som en kombinationsregim med Kalydeco (ivakaftor) för behandling av cystisk fibros hos patienter 12 år och äldre som är homozygota för mutationen F508del i CFTR-genen eller heterozygota för F508del i CFTR-genen med en minimal funktionsmutation.

Behandlingen med Kaftrio och Kalydeco är avsedd som tillägg till bästa understödjande behandling.

Kaftrio har ATC-kod R07AX32 och blev godkänt för försäljning i Europa 2020-08-21.

## Tidpunkt för revision av yttrandet

Denna rekommendation har uppdaterats 2021-03-31 med anledning av att TLV avslagit förmånsansökan för Kaftrio och Kalydeco.

## Referenser

[TLV:s förmånsbeslut för Kaftrio](#)

## Närvarande vid beslut

Gerd Lärfars, ordförande NT-rådet; Maria Palmetun Ekbäck, Uppsala/Örebro sjukvårdsregion; Anna Lindhé, Västra regionen; Maria Landgren, Södra regionen; Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen; Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen, Torbjörn Söderström, sjukvårdsregion Stockholm-Gotland.

Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet.