



Translarna (ataluren) vid Duchennes muskeldystrofi

NT-rådets yttrande till regionerna 2022-11-25

Rekommendation och sammanvägd bedömning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att avstå från nyinsättning och generell användning av Translarna vid behandling av Duchennes muskeldystrofi
- att individuella fall med redan pågående behandling med Translarna diskuteras i NT-rådets behandlingsråd, för ställningstagande om utsättning eller fortsatt behandling

TLV beslutade i april 2019 att Translarna skulle ingå i läkemedelsförmånerna med begränsning till patienter med bibehållen gångförmåga. Subventionen av Translarna var tidsbegränsad och förenad med uppföljningsvillkor bland annat kring effekt. För att kunna göra en ny utvärdering av effekten av Translarna utifrån då pågående kliniska studier var tidsbegränsningen satt till den 30 juni 2022. Företaget har därefter inte inkommit med efterfrågade data. TLV har därför beslutat att Translarna inte ingår i läkemedelsförmånerna sedan 1 juli 2022.

Translarna är ett receptläkemedel vilket innebär att NT-rådet inte gör någon egen bedömning av läkemedlets kostnadseffektivitet utan grundar sin rekommendation på utfallet av TLV:s förmånsbeslut.

NT-rådet rekommenderar regionerna att avstå från behandling med Translarna.

Andra behandlingsalternativ saknas och effekten av läkemedlet varierar mellan individer, därför bedömer NT-rådet att vissa patienter med bevarad gångförmåga inte kan avsluta behandlingen omedelbart. Det gäller de patienter som har haft objektiv nytta av behandlingen.

För att säkerställa jämlik hantering i landet har NT-rådet bildat ett nationellt behandlingsråd med representanter från respektive sjukvårdsregion samt adjungerade medicinska experter. Behandlingsrådet bedömer om NT-rådets kriterier för när fortsatt behandling kan ske är uppfyllda eller ej. Behandlingsrådet utgör därmed ett stöd för behandlande läkare och verksamhetschef.

För de patienter som erbjuds fortsatt behandling ska behandlingseffekten utvärderas årligen via det nationella behandlingsrådet.



Om läkemedlet

Translarna (ataluren) är avsett för behandling av Duchennes muskeldystrofi hos patienter där sjukdomen orsakas en nonsensmutation i dystrofinngen. Nonsensmutationen resulterar i ett prematurt stoppkodon vilket avbryter translationen innan ett protein av full längd har genererats. Translarna kan möjliggöra ribosomal genomläsning av mRNA som innehåller ett sådant prematurt stoppkodon, vilket kan resultera i framställning av ett protein av full längd.

Utsättning av behandling

NT-rådet bedömer att patienter ska avsluta pågående behandling med Translarna när förflyttning såväl inomhus som utomhus kräver rullstol. Behandlingen bör sättas ut senast sex månader efter att patienten har förlorat sin gångförmåga.

NT-rådets behandlingsråd för Duchennes muskeldystrofi

Behandlingsrådet för Duchennes muskeldystrofi är utsett av NT-rådet och består av läkare från respektive sjukvårdsregion. Läkarna har bred kompetens inom området sällsynta diagnoser samt inom barn- och vuxenneurologi. Regionrepresentanterna är jävsdeklarerade och bedömer i patientärenden om kriterier för behandling är uppfyllda.

Regionrepresentanter: Ricard Nergårdh, ordförande behandlingsrådet, Sjukvårdsregion Stockholm-Gotland; Ralph Bågenholm, Västra sjukvårdsregionen; Bettina Herm, Norra sjukvårdsregionen; Jesper Petersson, Södra sjukvårdsregionen; Eric Steninger, Sjukvårdsregion Mellansverige; Johan Wahlström, Sydöstra sjukvårdsregionen

Adjungerade medicinska experter: Christoffer Ehrstedt Akademiska sjukhuset Uppsala, Helgi Hjartarson Karolinska Universitetssjukhuset Stockholm, Thomas Sejersen Karolinska Universitetssjukhuset Stockholm.

Behandlingsrådet planerar att även adjungera en medicinsk expert från Södra eller Västra sjukvårdsregionen.

Referenser

[TLV:s beslut](#)

[Produktresumé för Translarna](#)

Närvarande vid beslut

Gerd Lärfars, ordförande NT-rådet; Maria Palmetun Ekbäck, Sjukvårdsregion Mellansverige; Anna Lindhé, Västra sjukvårdsregionen; Maria Landgren, Södra sjukvårdsregionen; Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen; Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen, Åsa Derolf, Sjukvårdsregion Stockholm-Gotland

Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet.