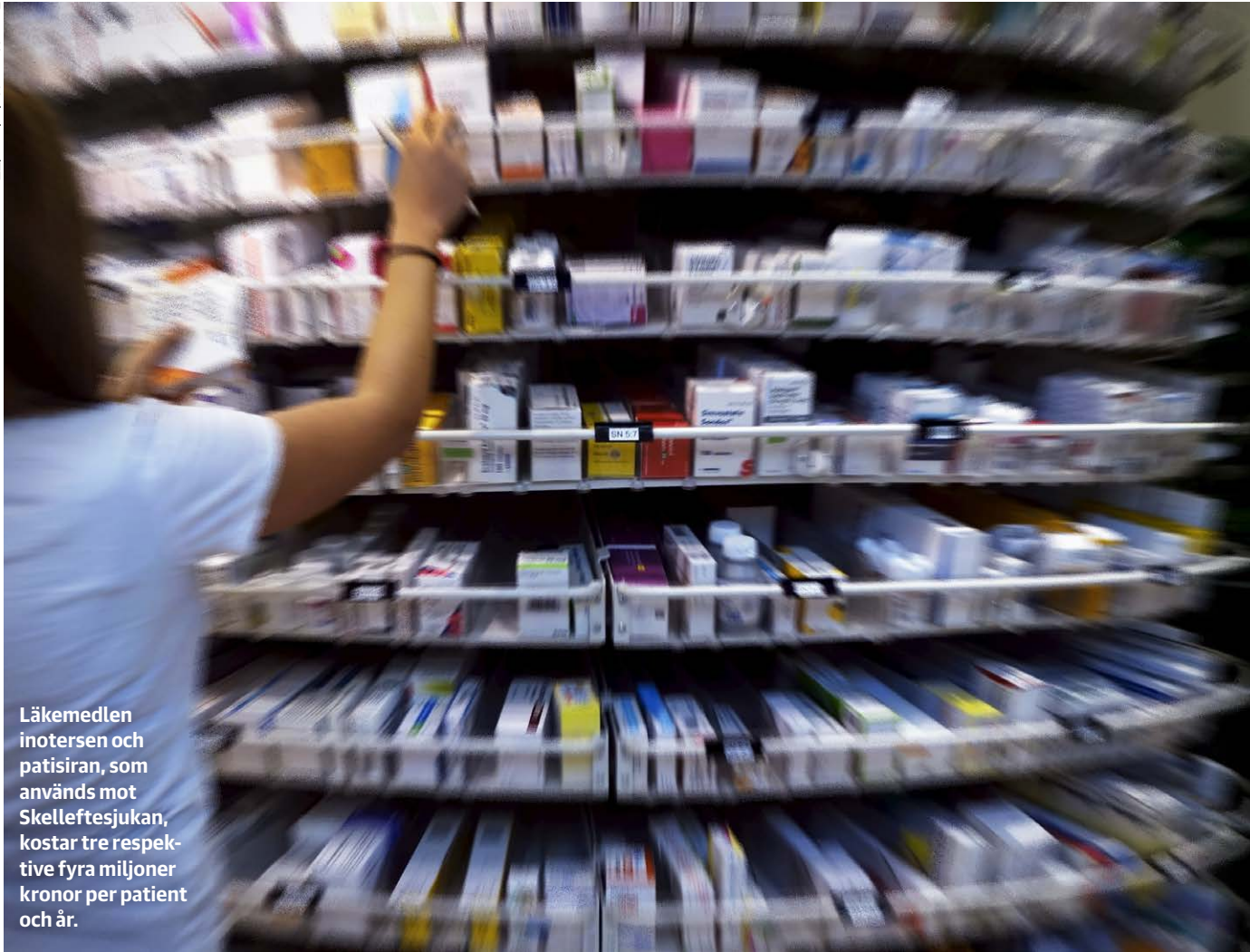


NYHETER

Skelleftesjukan.

Foto: Håse Holmberg/TT



Läkemedlen inotersen och patisiran, som används mot Skelleftesjukan, kostar tre respektive fyra miljoner kronor per patient och år.

Fakta. Vanligare i Skellefteå och Piteå

Familjär amyloidos med polyneuropati kallas också för Skelleftesjukan i Sverige eftersom sjukdomen är vanligare runt Skellefteå och Piteå.

Det finns omkring 450 patienter i Sverige. Sjukdomen finns i hela världen, men är vanligare i norra Sverige, norra Portugal, Brasilien och Japan.

Skelleftesjukan orsakas av en mutation på en gen som kodar för proteinet transtyrelin, vilket får proteinet att klumpa ihop sig och lagras i olika organ i kroppen, till exempel njurarna och hjärtmuskeln. Hjärtsvikt är vanligt.

Sjukdomen är ärftlig, men färre än 20 procent av dem som bär på mutationen har utvecklat sjukdomen vid 60 års ålder.

Skelleftesjukan har vanligtvis tre stadier:

1 Vid stadium ett kan man gå utan hjälpmedel, men har problem med att känna smärta och värme.

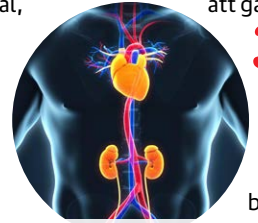
2 I det andra stadiet har man dålig känsel i fötter och underben och behöver kryckor eller käpp för att gå.

3 Det tredje stadiet kännetecknas av känselbortfall, muskelsvaghet, förlorad kontroll

över blåsa och tarm samt att patienten är rullstols- eller sängbunden.

Sjukdomen kan behandlas med levertransplantation eller läkemedel.

Källa: Socialstyrelsen, NT-rådet, TTR-amyloidosis.se



Slår exempelvis mot njurar och hjärtmuskeln.

Dyra läkemedel mot dödlig sjukdom tuff utmaning för norra Sverige

Sjukvården har fått klartecken för att använda nya läkemedel mot den dödliga Skelleftesjukan. Men medicinerna är dyra. Det blir en utmaning för Västerbotten och Norrbotten där de flesta av patienterna bor.

● Familjär amyloidos med polyneuropati är en sällsynt sjukdom. Den orsakas av en muterad gen och leder till proteinansamlingar i kroppens organ.

I Sverige drabbas 1–2 per 100 000 invånare. Men sjukdomen är mycket vanligare runt Piteå och Skellefteå – i Norrbotten och Västerbotten är förekomsten omkring 50 per 100 000 invånare. Därför kallas sjukdomen även för Skelleftesjukan.

Länge fanns ingen behandling mot sjukdomen. Läkarna såg hur patienterna med åren blev sämre: fick besvär med diarré och förstoppning, gradvis tappade känseln, fick allt svårare att gå och till slut blev sängbundna. Det är vanligt med hjärtsvikt. Utan behandling leder sjukdomen vanligtvis till döden inom 5 till 13 år.

– Många av dem hade svåra smärtor och även om vi försökte behandla smärtan var många av dem ganska svårbehandlade. Det var en grym sjukdom, många patienter var livrädda. Det är fortfarande en svår sjukdom, men i dag finns det i alla fall behandlingsmöjligheter, säger Ole Suhr, senior professor vid Umeå universitet.

Under 90-talet började man

behandla sjukdomen med levertransplantationer. För somliga patienter fungerade det väldigt bra, försämringen stannade av.

– Men det var också en behandling som man var tvungen att sätta in relativt tidigt i förloppet, om patienterna var för sjuka kanske de inte skulle överleva transplantationen eller tiden efter, säger Ole Suhr.

2011 godkändes det första läkemedlet mot Skelleftesjukan, tafamidis. Det kan bromsa sjukdomen, men måste ges tidigt och fungerar inte för alla.

Det finns ett liknande läkemedel, diflunisal. Men det är inte registrerat i Sverige och kräver att den behandlande läkaren ansöker till Läkekemedelsverket om licens för varje patient för att få använda det.

För drygt ett år sedan godkändes två nya läkemedel mot sjukdomen – inotersen och patisiran.

Innan läkemedel kan användas i Sverige krävs ett nationellt beslut om det är kostnadseffektivt. Medan Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket beslutar om nya receptläkemedel ska ingå i högkostnadsskyddet tas rekommendationer för de läkemedel som används inom sjukvården fram av NT-rådet, en expertgrupp med representanter från regionerna. Man utgår bland annat från behandlingens kostnad och effektivitet, men också från hur allvarlig och sällsynt sjukdomen är.

Nyligen kom NT-rådets besked: sjukvården kan använda det ena

läkemedlet, inotersen, efter att först ha testat två äldre behandlingar. Bara i mycket sällsynta fall kan patisiran bli aktuell.

Anledningen är det höga priset. Inotersen kostar drygt tre miljoner kronor per patient och år, medan prislappen för patisiran hamnar på omkring fyra miljoner kronor per patient och år.

– Vi ser att läkemedlen har god effekt och vi vill använda dem till våra patienter. Därför inledde vi en prisdiskussion med företagen, säger Anders Bergström, ledamot i NT-rådet för norra sjukvårdsregionen och chef för vårdkvalitetsheten vid Region Norrbotten.

Företagen och regionerna kan förhandla om rabatter och har gjort så i det här fallet. Prissumman är hemlig, men enligt NT-rådet blir inotersen kostnadseffektivt efter rabatten medan patisiran inte blir det.

Ole Suhr berättar att intresset från patienterna har varit stort och många har väntat otåligt på NT-rådets besked. Det är nämligen viktigt att behandla tidigt, innan skadorna blivit för stora.

– Det är naturligtvis mycket positivt att sjukvården kan använda det ena läkemedlet. Men samtidigt tycker jag att det är synd att man inte har kvar möjligheten att använda patisiran. Eftersom de inte har exakt samma mekanism kan man tänka sig att somliga kan få effekt av det ena läkemedlet men inte det andra, säger han.

Anders Bergström uppskattar att

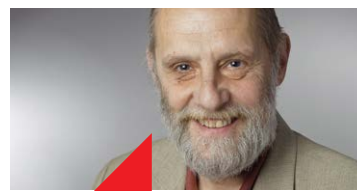


Foto: Mathias Pettersson

Det var en grym sjukdom, många patienter var livrädda. Det är fortfarande en svår sjukdom, men i dag finns det i alla fall behandlingsmöjligheter-

Ole Suhr, senior professor vid Umeå universitet

mellan sex och åtta patienter kommer att påbörja behandling med inotersen redan under hösten, de flesta i Västerbotten och Norrbotten.

Enligt NT-rådet ska sjukvården i första hand använda tafamidis. När det inte längre fungerar ska man använda diflunisal, på licens.

– Men nu har Läkekemedelsverket börjat ifrågasätta licenserna eftersom det finns nya godkända läkemedel mot sjukdomen. Då ska läkarna enligt Läkekemedelsverkets föreskrifter använda dem i stället. Omkring 120 patienter behandlas i dag med diflunisal, som kostar 12 000 kronor per år. Det kommer

inte att gå ihop med sjukvårdsekonomi om de i stället ska behandlas med ett läkemedel som kostar flera miljoner kronor per år, säger Anders Bergström.

Förhoppningen är nu att statliga Apotek Produktion & Laboratorier AB, som tar fram specialtillverkade läkemedel, kan tillverka diflunisal. Då slipper man licenser från Läkekemedelsverket.

– Men om det inte går kommer vi att behöva använda inotersen i betydligt större omfattning. Priset är sekretessbelagt, men vi har inte kommit ned i tiotusenkronorsklassen som med diflunisal. Det kommer att bli mycket dyrare än så, säger Anders Bergström.

Särskilt region Västerbotten och region Norrbotten kommer att drabbas av ökade läkemedelskostnader, där bor nämligen omkring 75 procent av patienterna. På grund av den ojämna fördelningen av patienter har frågan om solidarisk finansiering av läkemedel mot Skelleftesjukan lyfts. Då skulle alla regioner dela på kostnaderna.

– Det är ju en livslång behandling och det tillkommer nya patienter varje år. Så läkemedelskostnaderna kommer att öka varje år. Jag hoppas så klart att så många som möjligt kommer att få tillgång till de nya behandlingarna, men det kan bli ekonomiskt tufft för de hårdast drabbade regionerna, säger Ole Suhr.

Amina Manzoor
amina.manzoora@dn.se