

Bakgrund och fakta

Bilaga till pressmeddelande 180410

Sammanställt av Bibbi Goldea, CF-patient och sakkunnig på Fonden Citronfjärilen

1. Kortfakta om Cystisk Fibros och Orkambi i Sverige.

- Det finns ca 670 diagnostiserade personer med Cystisk Fibros i Sverige.
- Ungefär en av 35 personer bär på anlaget.
- Hälften av de som dog i CF under åren 2010-2017 i Sverige var under 39 år. (Denna siffra varierar mycket mellan olika år). (Källa: CF-registret).
- Ca hälften av de som dog under åren 2010-2017 hade blivit lungtransplanterade. (Källa: CF-registret).
- Orkambi och de andra Cftr-modulerarna behandlar grundorsaken till sjukdomen, istället för att bara försöka hantera symptomen.
- Orkambi får försämringstakten av lungfunktionen att avta med 42% i långtidsstudier.
- Orkambi minskar antalet allvarliga försämringsperioder ("exacerbationer") som kräver intravenös antibiotika med hela 56%. (Mer än en halvering av antalet intravenösa kurer). (Källa: <https://www.orkambi.com/results-with-orkambi>)
- I Sverige har ca 50% av patienterna de mutationer som kan behandlas med Orkambi.
- Orkambi är det enda hittills godkända läkemedel (för majoriteten av patienterna) som kan få försämringen av lungfunktionen att avstanna/avta i väntan på mer effektiva Cftr-modulerare.
- Vertex beräknar att man redan 2020 kommer att ha effektiva Cftr-modulerare som kan ge effektiv lindring av grundsjukdomen för 90% av alla patienter (de befinner sig just nu i fas 3, den sista fasen innan godkännande).
- Cftr-läkemedel som Orkambi, Kalydeco och Symdeko behandlar olika typer av mutationer och kan förhindra eller förlänga tiden till lungtransplantation.
- Det går inte att reparera de lungskador som redan har uppstått. Därför är det viktigt att sätta in behandling så tidigt som möjligt.
- Orkambi är idag tillgängligt för patienter i USA, Norge, Frankrike, Tyskland, Irland, Danmark, Österrike, Luxemburg, Nederländerna, Italien och Grekland.

2. Om Cystisk Fibros

Cystisk Fibros är en genetisk sjukdom som påverkar de slembildande körtlarna så att slemmet blir segt och täpper till luftvägar och flera andra organ, såsom bukspottkörteln, levern och gallan. Det sega slemmet orsakar dock främst problem i lungorna där slemmet fastnar och utgör grogrund för kroniska infektioner och inflammation.

Infektionerna behandlas med regelbundna antibiotikakurer och daglig andningsgymnastik och inhalationer för att försöka få bort det sega slemmet men trots detta förstörs lungorna successivt.

Majoriteten av patienterna har även förstörd bukspottkörtel och måste därför ta enzymtabletter till varje måltid för att kunna ta upp näringen i maten. Trots enzymtabletter, behöver CF-patienter få i sig mer mat än andra pga att kroppen arbetar så hårt mot infektionerna och många kämpar mot undervikt. I vissa fall behövs en knapp på magen för att kunna få tillräckligt med näring. Med tiden utvecklar många patienter CF-relaterad diabetes CFRD. Levercirrhos är en annan följsjukdom som kan kräva levertransplantation. Den främsta dödsorsaken, i 95 % av fallen, beror dock på att lungorna slutar fungera.

Den sista utvägen för majoriteten av alla CF-patienter är lungtransplantation men detta erbjuds inte alla patienter pga organbrist i Sverige och en andel av patienterna dör dessutom i komplikationer eller avstötning efter transplantation. Att kunna stoppa försämringen av lungorna skulle således kunna rädda liv. Lungskadorna som redan har uppstått kan dessvärre inte repareras och det är därför av yttersta vikt att sätta in dessa sjukdomsbromsande läkemedel så tidigt som möjligt.

Hur allvarligt drabbad en person med Cystisk Fibros är i livets olika skeden, beror på flera faktorer: vilka mutationer patienter har men ny forskning tyder på att även "modifier genes" kan spela in. Miljön spelar också stor roll, dvs all vård patienten får i form av antibiotika och annan medicin och hur resistensmönstret utvecklas som ett resultat av antibiotikabehandling, biverkningar och allergier mot antibiotikan, samt pulmonella svampinfektioner och hur pass väl dessa behandlas, hur kroppens immunförsvar hanterar de ständigt pågående inflammationerna i lungorna osv. Avgörande är också huruvida en patient smittas av svårbehandlade multiresistenta bakterier, eller ej.

Patientens egna insatser i form av inhalationer och andningsgymnastik och intensiv fysisk aktivitet är också viktiga faktorer som påverkar försämringstakten. Många komplexa faktorer bidrar till att sjukdomen förvärras med åren och att organen, främst lungorna, tar oåterkallelig skada. Hur fort försämringen sker, skiljer sig alltså åt mellan olika patienter men det finns få patienter som når över medelåldern utan svåra komplikationer eller utan lungtransplantation.

(Källor: bl.a <https://www.internetmedicin.se/page.aspx?id=5199> , <https://www.socialstyrelsen.se/ovanligadiagnoser/cystiskfibros> , samt våra egna erfarenheter i egenskap av att vara vuxna CF-patienter.)

3. Om Orkambi och de andra Cftr-modulerarna

Orkambi och liknande Cftr-modulerande läkemedel, får Cftr-proteinet i epitelcellerna i de slemproducerande organen att fungera mer normalt, så att slemmet blir mindre segt och därmed lättare att få bort från lungorna och mindre attraktivt för bakterier och svamp att växa i.

Vinsterna för de patienter som får dessa sjukdomsbromsande läkemedel är flera: bättre lungfunktion, färre infektioner, mindre behov av antibiotika, viktuppgång, bättre ork, ökad livskvalitet och ett förlängt liv. Om behandling sätts in mycket tidigt i barndomen, innan lungskador har uppstått, är förhoppningen att sjukdomens symptom aldrig kommer göra sig gällande över huvud taget. Men även mycket svårt sjuka har visat sig ha god nytta av dessa läkemedel.

(Källa: <https://www.orkambi.com/results-with-orkambi>)

Orkambi är det andra läkemedlet av detta slag och utgör ett paradigmskifte i CF-vården då dessa s.k. Cftr-modulerare behandlar grundorsaken till sjukdomen, snarare än symptomen. Orkambi kan hjälpa dem med den vanligaste CF-mutationen, vilka utgör runt 50% av patienterna.

Vertex har tre godkända Cftr-modulerare som behandlar olika typer av CF-mutationer: Kalydeco godkänt 2012, Orkambi godkänt 2015 och Symdeko, godkänt i USA februari 2018 och sannolikt i EU sommaren 2018. Kliniska fas-3-studier pågår med ytterligare två olika, mycket lovande, trippelkombinationsbehandlingar, vilket skulle innebära att det redan 2020 kommer att finnas godkända och mycket effektiva läkemedel i USA för runt 90% av alla patienter med Cystisk Fibros. (Symdeko är i USA godkänt från 12 år och behandlar samma patientpopulation som Orkambi med tillägg för ett antal andra mutationer. Symdeko ger mindre biverkningar och kommer med tiden att ersätta Orkambi).

4. Om Portfölj-avtalet

I de nu pågående förhandlingarna har Vertex föreslagit att ingå ett avtal om en medicinsk portfölj, där både befintliga och kommande läkemedel ingår, för att undvika år av utdragna förhandlingar även för kommande läkemedel. Inom de närmaste åren beräknar Vertex att de kommer få 18 marknadsgodkännande för olika indikationer (dvs olika åldersgrupper och mutationer).

Ett portfölj-avtal skulle innebära kostnadskontroll för såväl Vertex, som för stat och landsting i Sverige. För patienterna skulle det förhoppningsvis innebära snabbare tillgång till det bästa, godkända läkemedlet för just dem på individbasis. Ett portfölj-avtal skulle kunna säkerställa att livsnödvändiga läkemedel inte enbart begränsas till en liten del av patienterna med vissa mutationer, utan tillförsäkrar en etiskt hållbar och jämlik tillgång till dessa läkemedel.

Irland slöt ett sådant portfölj-avtal med Vertex 2017 och detta innebär att deras patienter från 6 år har kunnat få tillgång till Orkambi redan och att än fler kommer att få tillgång till Symdeko så fort EMA godkänner det, troligtvis sommaren 2018.

forts.

5. Fonden Citronfjärilens syn på de pågående förhandlingarna

De erbjudna priserna i Europa är redan kraftigt rabatterade i förhållande till priset i USA för dessa läkemedel och kommer dessutom att sänkas avsevärt då patenten går ut. Vi vet inte om TLV har tagit med den kraftiga kostnadsminskning som sker då patenten går ut eller t.o.m. tidigare när konkurrenter får ut liknande läkemedel på marknaden inom mindre än fem år. Orkambi och de andra Cftr-modulerarna kommer även att sänka de övriga vårdkostnaderna för CF på sikt, inte minst kostnaderna för transplantation.

TLVs beräkningar och bedömningar är hemliga och vi kan således inte avgöra huruvida TLV har gjort välgrundade eller rimliga bedömningar av Cystisk Fibros eller av Orkambi, eller huruvida de kostnadskalkyler som ska sätta en prislapp på våra liv är rätt utförd. Vi har försökt att bidra med argument och fördjupa förståelsen om vad Cystisk Fibros innebär hos dem som fattar beslut om oss, genom att skicka personliga brev från patienter och ett öppet brev som även skickades till SKL och Socialministern i September 2017 vid de förra förhandlingarna.

Men inget tyder på att TLV har tagit till sig av våra vänliga brev. Vi befarar att TLVs kostnadskalkyler inte innefattar de samhällsekonomiska vinsterna då patienter och anhöriga kan återgå till arbete och betala skatt istället för att vara sjukskrivna. Ingen hänsyn kan heller rimligtvis ha tagits till det lidande som fördröjningen har inneburit för oss och det djupt oetiska i att låta patienter försämrans eller rentav dö i väntan på att få dessa läkemedel.

Fonden Citronfjärilen
Sammanställt av Bibbi Goldea
2018-04-10

För mer information kontakta:

Bibbi Goldea, CF-patient och sakkunnig på Fonden Citronfjärilen.

Tfn 073-542 96 58 e-post: bibbigoldea@hotmail.com

Lisa Alexandersson, CF-patient och ordförande i Fonden Citronfjärilen.

Tfn 070-552 22 32 e-post: info@citronfjarilen.se

Läs mer:

Om Orkambi i Dagens Medicin, Mars 2017

<https://www.dagensmedicin.se/artiklar/2017/03/21/fragetecken-kring-nar-cf-lakemedel-blir-tillgangligt/>

Om Symdeko i Dagens Medicin

<https://www.dagensmedicin.se/artiklar/2017/11/23/mindre-bieffekter-med-nytt-lakemedel-mot-cystisk-fibros/>