



Zolgensma (onasemnogen-abeparvovek) vid spinal muskelatrofi (SMA)

NT-rådets yttrande till regionerna 2021-09-06

Rekommendation i väntan på pågående utredning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att avvakta med behandling med Zolgensma till dess att NT-rådet har genomfört en sammanvägd bedömning av behandlingens värde utifrån den etiska plattformen för prioritering

Om läkemedlet

Zolgensma (onasemnogen-abeparvovek) är ett genterapiläkemedel för behandling av spinal muskelatrofi. Zolgensma ges som en intravenös engångsdos och är en ny behandlingsprincip för spinal muskelatrofi. EMA gav i maj 2020 ett villkorat försäljningsgodkännande för Zolgensma för behandling av:

- patienter med 5q spinal muskelatrofi med en biallelisk mutation i SMN1-genen och en klinisk diagnos på SMA typ 1 *eller*
- patienter med 5q SMA med en biallelisk mutation i SMN1-genen och upp till 3 kopior av SMN2-genen.

Motivering

NT-rådet beslutade 2019-03-12 att Zolgensma omfattas av nationell samverkan. Det innebär att NT-rådet kommer att avge en rekommendation om dess användning till regionerna. För att NT-rådet ska kunna göra en bedömning av behandlingens värde med hänvisning till den etiska plattformen för prioritering behövs en hälsoekonomisk värdering. NT-rådet uppdrog därför åt TLV i mars 2019 att inom sitt klinikläkemedelsuppdrag göra en hälsoekonomisk bedömning av Zolgensma. Den hälsoekonomiska värderingen levererades av TLV i slutet av februari 2021.

Zolgensma är en genterapi som ges vid ett tillfälle och innebär en extremt hög engångskostnad. Den höga initiala kostnaden för ATMP (avancerade terapeutiska medicinska produkter) är en ny utmaning för hälso- och sjukvården och det är därmed av särskild vikt att införande sker på ett nationellt ordnat sätt. En viktig del i att ta fram avtalsmodeller anpassade för gen- och stamcellsterapier är att uppföljning av behandlingen kan ske på ett rationellt och effektivt sätt.

Det pågår förhandlingar med företaget som marknadsför Zolgensma kring ett nationellt förhandlat avtal för alla regioner. NT-rådet är mycket angeläget om att nå en rimlig överenskommelse.



Till dess att NT-rådet kan göra en sammanvägd bedömning och avge en rekommendation, rekommenderas regionerna att avvakta med införande av Zolgensma för att undvika införande på osäkra grunder och en ojämlig hantering i landet. Vid nydiagnostiserad SMA där det bedöms angeläget med snabb behandlingsstart hänvisas till rådande rekommendation för Spinraza.

Tidpunkter för revision av yttrandet

Den här rekommendationen är en uppdaterad version av yttrandet om att avvakta med användning av Zolgensma som publicerades 2020-06-23.

Mer information

[Frågor och svar om NT-rådet och hälsoekonomi](#)

[TLV:s hälsoekonomiska bedömning av Zolgensma](#)