



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

NT-rådets yttrande till regionerna 2020-06-23

## 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 åt TLV våren 2019 att inom sitt klinikläkemedelsuppdrag göra en hälsoekonomisk bedömning av Zolgensma. Det marknadsförande företaget har ännu inte lämnat in något hälsoekonomiskt underlag till TLV, vilket i princip är en förutsättning för att utvärdera behandlingen och för fortsatta diskussioner kring betalningsmodeller och eventuella avtal.

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.

Zolgensma är en genterapi som ges vid ett tillfälle och innebär en extremt hög engångskostnad, men är potentiellt botande och kan därmed ha en livsavgörande effekt. 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.

Zolgensma är ett angeläget alternativ till den aktuella patientgruppen och NT-rådet tillsammans med Behandlingsrådet för SMA avser att skyndsamt hantera ärendet när den hälsoekonomiska bedömningen är tillgänglig.

## **Mer information**

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