



Regional introduktion av ny medicinsk metod

Rekommendation från Norrländska läkemedelsrådet

2026-06-15

Version 2

Tofersen®, Qalsody ATC-kod: N07XX

Avsett för behandling av vuxna patienter med ALS med verifierad SOD1-mutation och snabbt progredierande sjukdom enligt av behandlingsrådets fastställda kriterier

Sammanfattande ställningstagande

Norrländska läkemedelsrådets arbetsgrupp för regional introduktion av nya läkemedel (ARIL) rekommenderar de norra regionerna att följa NT-rådets rekommendation att Qalsody inte används generellt, men kan användas efter samråd med NT-rådets nationella behandlingsråd för ALS hos selekterade patienter med SOD1-mutation och snabbt progredierande sjukdom. Patientantal uppskattas till 2–4 patienter/år i norra sjukvårdsregionen.

Kostnadskonsekvensen beräknas till xx,x Mkr första året och xx,x Mkr/år i underhållsfasen för norra sjukvårdsregionen. Det finns ett återbäringsavtal med sekretessbelagt avtalspris som gör att faktiskt behandlingskostnad är lägre.

Uppföljning av ekonomiskt utfall mot uppskattad budgetkonsekvens genomförs av Svensk Neuroregistret och ARIL 6-8 ggr./år

Nominering och anmälan

Anders Bergström, Region Norrbotten

Generiskt namn, Produktnamn och ATC-kod

Tofersen, Qalsody, ATC-kod: N07XX (ännu ej fastställd i fullständig klassificering)

Aktuell nationell konsensus

TLV: TLV har inom ramen för Joint Nordic HTA Bodies-samarbetet (JNHB) tagit fram en hälsoekonomisk bedömning för Qalsody (tofersen). Mycket hög osäkerhet i hälsoekonomisk bedömning. Kostnad per QALY mycket hög.

NT-rådet: avstå från generell användning av Qalsody. Kan användas efter samråd med NT-rådets behandlingsråd för ALS till patienter med påvisad mutation i genen för SOD1 och snabbt progredierande sjukdom enligt NT-rådets kriterier

Internationell konsensus

CADTH: Endast för vuxna med SOD1-ALS verifierad med genetisk testning och muskelsvaghet förenlig med ALS; behandling ska förskrivas/monitoreras av ALS-specialist i multidisciplinär klinik och priset måste reduceras. CADTH bedömer att 28-veckorsstudien inte visade tydlig skillnad mot placebo, men längre uppföljning talar för möjlig långsammare försämring; den samlade nyttan är fortsatt osäker och listpriset bedöms inte ge god kostnadseffektivitet.

IQWiG: Orphan drug – tilläggsnytta anses formellt bevisad via godkännandet, men ej kvantifierbar. IQWiG bedömde huvudsakligen patientantal och kostnader, eftersom tilläggsnytta för orphan drugs anses föreligga genom marknadsgodkännandet. G-BA fastställde därefter "hint for a non-quantifiable additional benefit", då den vetenskapliga datagrunden inte medger kvantifiering; inga relevanta skillnader sågs för mortalitet, morbiditet, livskvalitet eller biverkningar i den redovisade endpoint-sammanfattningen.

ICER: Ingen formell ICER-värdering identifierad.

NICE:

SMC: Pågående HST-utvärdering – ingen slutlig rekommendation ännu.

Ireland: NCPE: Ingen publicerad SMC-rekommendation identifierad

NO: HTA Statens legemiddelverket metodevurderingar: Ej infört enligt beslut 16 juni 2025; omprövning begärd. Nye metoder anger att Beslutningsforum beslutade att metoden inte införs, och att leverantören därefter begärt omvärdering; tidigare beslut gäller tills nytt beslut föreligger. Bedömningen bygger på JNHB-rapport och norsk delrapport/prisnotat

DK: Behandlingsrådet, Health Technology Assessment Consultancy, Medicinrådet: Rekommenderas inte som tillägg till standardbehandling. Medicinrådet beslutade 26 mars 2025 att inte rekommendera tofersen till vuxna med ALS och SOD1-mutation. Skälen var mycket osäker effekt, att VALOR inte kunde påvisa effekt på funktionsnivå mätt med ALSFRS-R, kort uppföljningstid, frekventa och ibland allvarliga biverkningar samt oacceptabelt höga kostnader i relation till dokumenterad effekt.

Gemensam bedömning av ovan HTA-enheter är alltså: Begränsad eller avvaktande hållning p.g.a. osäker evidens och hög kostnad.

Om läkemedlet: Qalsody (tofersen) är en antisense-oligonukleotid som minskar produktionen av SOD1-protein och ges intratekalt via lumbalpunktion.

Indikation: vuxna patienter med ALS med verifierad SOD1-mutation.

Huvudkonklusion:

Effekt på kliniska utfall i registreringsstudien är inte statistiskt säkerställd. Biomarkörpåverkan talar för möjlig bromsande effekt hos selekterade patienter med snabb progression. Stor osäkerhet.

Avtal finns (Ja/Nej): JA. Avtalet ger sekretessbelagd återbäring.

Uppskattad kostnadskonsekvens för norra regionen

Kostnaderna nedan har tagits fram på listprisnivå innan rabatt och avser behandling med standarddoser under 1:a behandlingsåret där kostnaden är c:a x,x Mkr per patient och år. Underhållsbehandling har en årskostnad på c:a x,x Mkr. På listprisnivå. Återbäringsavtalet ger sekretessbelagd rabatt och totalt lägre behandlingskostnader

	<u>Antal pat</u>	<u>Mkr / 12 mån</u>
RJH	0-1	0
RVN	0-1	x,x
RVB	2-3	x
RNB	2-3	x
Total	5-6	Xx,x Mkr

Ersätter annan läkemedelsbehandling

Nej

Sammanfattande bedömning

Qalsody är ett läkemedel för en mycket liten undergrupp av den totala ALS-populationen (1-2%) som har SOD1-mutation. C:a 50 patienter i Sverige har SOD1-mutationen. Tillståndet är livshotande med stort medicinskt behov.

Den kliniska nyttan är osäker, och studier har inte visat statistiskt säkerställd förbättring av funktion, men biomarkördata och långtidssignaler indikerar möjlig effekt i selekterade fall med snabb progression, men fortfarande bra funktionsstatus vid behandlingsstart.

Behandlingen är förenad med betydande kostnader och potentiella allvarliga biverkningar.

ARIL bedömer att införande bör ske på ett ordnat sätt och i början mycket restriktivt, i linje med NT-rådets rekommendation och krav om ställingstagande av nationellt behandlingsråd och med strukturerad uppföljning i Svenska Neuroregistret.

Kontaktpersoner ARIL

Jörn Schneede, ordförande ARIL

Bilaga

Anmälan Anders Bergström, Region Norrbotten