

Beslut

Västra Götalandsregionen

Datum: December 2024

Samordningsråd Neurologi

RUTIN FÖR UNDANTAGSFÖRSKRIVNING AV PITOLISANT OCH NATRIUMOXIBAT PÅ INDIKATION NARKOLEPSI

(UPPDATERAD DEC 2024 MED ANPASSNING TILL ATT SOLRIAMFETOL ÄR TILLGÄNGLIGT PÅ SVENSK MARKNAD)

Bakgrund

Läkemedlen natriumoxibat och pitolisant har indikation narkolepsi, är registrerade i Sverige för denna indikation, men inte subventionerade i läkemedelsförmånen. Läkemedlen finns upptagna i NPO Nervsystemets "Riktlinje för behandling av narkolepsi hos barn och vuxna".

För att i VGR uppnå jämlikhet i vården gällande förskrivning för vuxna patienter med narkolepsi har Terapigrupp neurologi tagit fram rekommendationer till denna rutin på förfrågan från Samordningsråd neurologi.

Läkemedel som TLV inte har bedömt ska omfattas av högkostnadsskydd får vid förskrivning normalt betalas helt av patienten.

I undantagsfall och om särskilda skäl föreligger kan kostnaden i stället tas helt av förskrivande enhet. Kriterier för sådan undantagshantering har fastställts av Hälso- och Sjukvårdsstyrelsen (HS 2020-00227). För att undantagshantering ska vara aktuell ska läkemedlet i fråga innefattas i det allmännas hälso-och sjukvårdsåtagande och användningen ska vara kostnadseffektiv. Eftersom TLV inte gjort bedömningen att krav på kostnadseffektivitet är uppfyllda på gruppnivå behöver man säkerställa att läkemedlet är kostnadseffektivt på individnivå.

Kriterierna som ska vara uppfyllda för att använda sig av undantagshantering är:

1. enskilda patienter, dvs. endast undantagsfall
2. synnerligen angelägna medicinska behov
3. behandlingsalternativ inom förmånen saknas
4. behandlingen i det enskilda fallet bedöms som kostnadseffektiv
5. att det rör sig om läkemedel som innefattas i det allmännas hälso-och sjukvårdsåtagande

Den behandlande läkaren avgör tillsammans med verksamhetschefen om ett läkemedel som inte omfattas av läkemedelsförmånen ska subventioneras för enskild patient. *Skäl till subventionering enligt ovanstående punkter ska dokumenteras i journal.*

Narkolepsi drabbar få individer men kan vara förenat med stora funktionsnedsättningar och stort lidande. Läkemedlen pitolisant och natriumoxibat har värderats av TLV, men inte bedömts på gruppnivå ge bättre effekt än modafinil (i fallet pitolisant) eller modafinil och klomipramin (i fallet natriumoxibat).

Detta utesluter dock inte att läkemedlen i enstaka fall kan ha en effekt som ger kostnadseffektivitet om sedvanliga läkemedel prövats och haft otillräcklig effekt eller oacceptabla biverkningar.

Som underlag till rutinen finns bland annat bakgrundsmaterialet till TLVs beslut, två utredningar av Läkemedlesupplysning (LUPP), europeiska behandlingsrekommendationer, Riktlinje för behandling av narkolepsi hos barn och vuxna (NPO Nervsystemets sjukdomar) samt befintliga rutiner kring förskrivning av pitolisant och natriumoxibat i Region Stockholm och Uppsala.

För att i möjligaste mån säkerställa att individuell kostnadseffektivitet uppnås ska substansspecifika villkor tillämpas för undantagshantering av pitolisant respektive natriumoxibat i Västra Götalandsregionen.

SPECIFIKA REKOMMENDATIONER FÖR FÖRSKRIVNING AV PITOLISANT ELLER NATRIUMOXIBAT ENLIGT UNDANTAGSRUTIN INOM VUXENNEUROLOGI I VÄSTRA GÖTALANDSREGIONEN

Allmänt

Målet för symtomlindrande behandling av narkolepsi är att reducera dagsömnighet och i förekommande fall kataplexi så att patientens funktionsnivå dagtid förbättras.

I studier av narkolepsi används ofta Epworth Sleepiness Scale (ESS) för att mäta dagsömnighet. Responders har då definierats antingen som en förbättring av ESS med minst 3 poäng och/eller att ESS sjunker till under 11 poäng¹, alternativt att ESS

¹ Dauvilliers, Arnulf, Szakacs et al., "Long-term use of pitolisant to treat patients with narcolepsy: Harmony III study", Sleep, pp. 1-11, 2019.

minskar med mer än 20%². Minskad frekvens av kataplexier med 50% eller mer har också använts som cut-off för responders².

- *För att undantagshantering ska tillämpas krävs att patienten rapporterar minst ESS, EQ5D-5L och i förekommande fall kataplexi i neuroregister före insättning, efter 6 och 12 månader och därefter årligen. Patienter i yrkesaktiv ålder förväntas också rapportera arbetsförmåga.*

Beslut om förskrivning av pitolisant eller natriumoxibat enligt undantagshantering ska fattas av patientansvarig specialistläkare i neurologi och dokumenteras i journalanteckning där det framgår vilka de synnerligen angelägna medicinska behoven är och varför dessa inte kan tillgodoses med subventionerat läkemedel. Beslutet förankras hos verksamhetschef genom att denna förses med journalkopia av dokumentationen.

Nyförskrivning

Nyförskrivning av natriumoxibat enligt undantagshantering kan ske till patient med fastställd diagnos narkolepsi om något av villkoren nedan uppfylls (se också Behandlingsalgoritm nedan):

- Patient med uttalade besvär av dagsömnighet kombinerat med uppsplittrad nattsömn där minst tre vakenhetshöjande läkemedel prövats.
- Patient med uttalade besvär av kataplexier och dagsömnighet där minst en kombination av vakenhetshöjande läkemedel och SSRI/SNRI prövats utan att meningsfull reduktion av symtomen uppnåtts.

Nyförskrivning av pitolisant enligt undantagshantering kan ske till patient med fastställd diagnos narkolepsi om något av villkoren nedan uppfylls (se också Behandlingsalgoritm nedan):

- Patienten uppfyller villkor för förskrivning av natriumoxibat enligt undantagsrutin och sådan behandling har prövats utan att meningsfull reduktion av symtomen uppnåtts.
- Patienten uppfyller villkor för förskrivning av natriumoxibat enligt undantagsrutin men natriumoxibat är kontraindicerat/olämpligt eller tolereras inte.

² Bogan et al., "Time to Response with Sodium Oxybate for the Treatment of Excessive Daytime Sleepiness and Cataplexy in Patients with Narcolepsy" J Clin Sleep Med 2015;11(4):427–432.

Kombinationsbehandling med pitolisant och natriumoxibat bör inte erbjudas inom undantagsförskrivning, men kombination av en av substanserna och andra narkolepsiläkemedel inom förmån är möjlig och ofta rimlig.

Vid nyförskrivning ska förskrivare dokumentera i journal att villkoren för undantagshantering är uppfyllda och meddela budgetansvarig chef beslutet.

Uppföljning

För förskrivning av pitolisant eller natriumoxibat med undantagshantering krävs att patienten regelbundet rapporterar i neuroregister enligt överenskommelse med PAL. Effekt av behandling ska efter nyinsättning utvärderas efter 6 månaders behandling och vid fortsatt förskrivning minst årligen.

För fortsatt förskrivning krävs att läkemedlet haft tydligt bättre effekt än tidigare behandling avseende ESS/Kataplexi och att förbättrad funktionsnivå/livskvalitet jämfört behandlingsstart kan konstateras.

Att effekten är stor nog att motivera fortsatt förskrivning är en klinisk värdering. Som stöd för denna kan föreslagna gränser för "responders" användas, dvs ESS förbättras med minst 20% eller minst 3 poäng eller till under 11 poäng, samt att förekommande kataplexier reduceras med 50% eller mer.

Ställningstagande till fortsatt förskrivning ska motiveras och dokumenteras av PAL vid varje förskrivningstillfälle eller av PAL så snart som möjligt efter förskrivning som gjorts av annan än PAL.

Utsättning av pitolisant eller natriumoxibat

Behandling ska avslutas om:

- Behandlingen inte har dokumenterat bättre effekt än subventionerade läkemedel eller om förskrivaren tvivlar på att effekten har betydelse för patientens funktion.
- Biverkningar begränsar eller hindrar behandlingens effekt.
- Patienten trots påstötning inte rapporterar symtom enligt överenskommelse.

Rekommendationerna har utarbetats av Terapigrupp Neurologi

Filip Bergquist, ordförande

Dokumentet har granskats av

Johan Bjellvi, överläkare i neurologi, Sahlgrenska Universitetssjukhuset

Peter Puhlmann, överläkare i neurologi, NU-sjukvården

Ulla Söderberg, överläkare i neurologi, Södra Älvsborgs sjukhus

Referenser

Bassetti et al. 2021, European guideline and expert statements on the management of narcolepsy in adults and children, Eur J Neurol, 2021;28:2815–2830.

Riktlinje för behandling av narkolepsi hos barn och vuxna NPO Nervsystemets sjukdomar

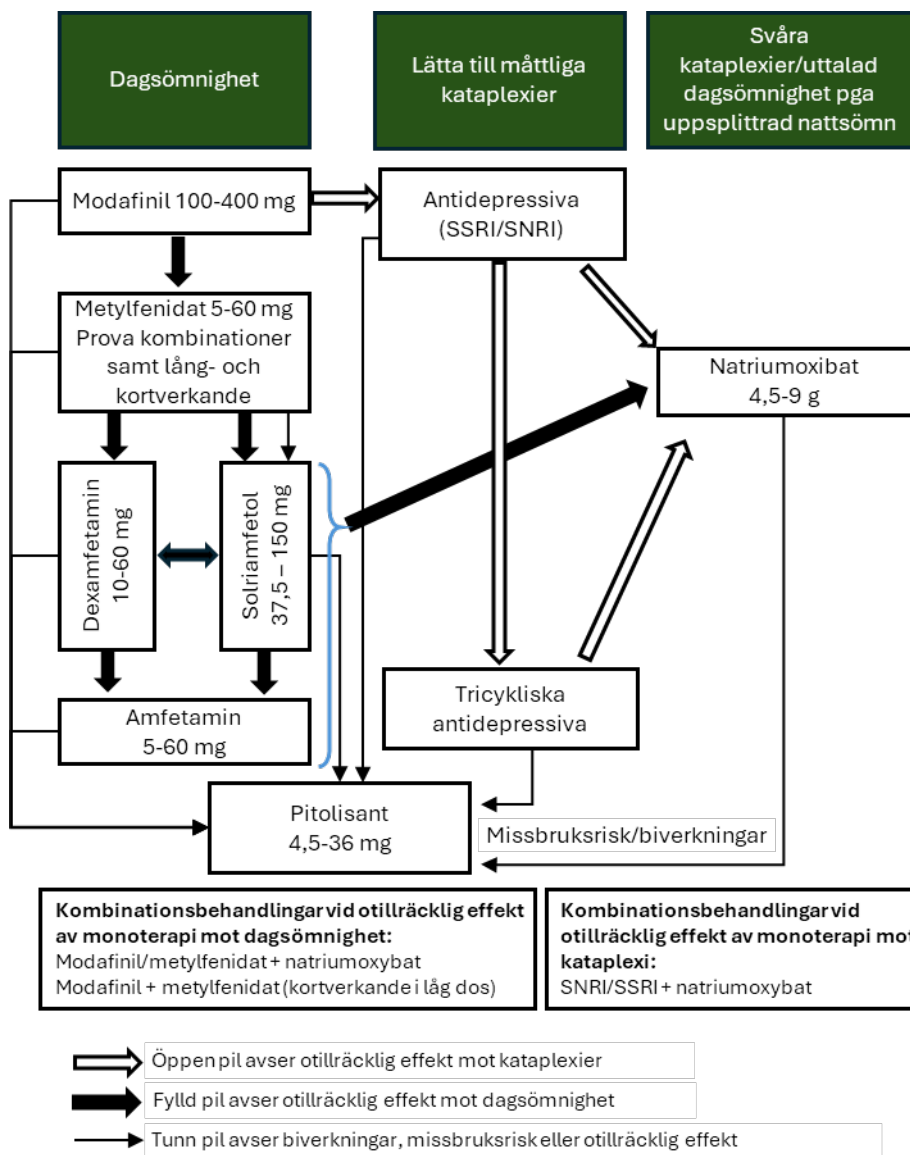
7431 – Utredning om pitolisant och natriumoxibat (LUPP 2023-01-26)

7110 – Utredning pitolisant (LUPP 2022-07-14)

För Samordningsråd Neurologi

Mikael Edsbagge, ordförande

Algoritm för läkemedelsbehandling hos vuxna med narkolepsi



Förskrivning enligt undantagsrutin kan i VGR övervägas för natriumoxibat vid uttalade besvär med otillräcklig symptomlindring eller biverkningar av centralstimulantia eller kombination centralstimulantia/SNRI och för pitolisant om det därutöver är otillräcklig effekt, biverkningar eller påtaglig biverkningsrisk av natriumoxibat.

För fortsatt förskrivning krävs dokumenterad effekt