



Tolvaptan användningen i Sverige

– data från SNRs modul för specialläkemedel

MÅRTEN SEGELMARK, PROFESSOR OCH ÖVERLÄKARE



Agenda

- Kort bakgrund
- Hur många får tolvaptan
- Följsamhet till riktlinjer
- Vilka patienter får tolvaptan
 - Ålder, kön, funktionsnivå
 - Följs riktlinjer för insättning?
 - Fördelning över landet
- Täckningsgrad – är data i registret valida?
- Vilken dos uppnås, står patienterna kvar på behandling
- Vad kostar det?
- Fungerar behandlingen?



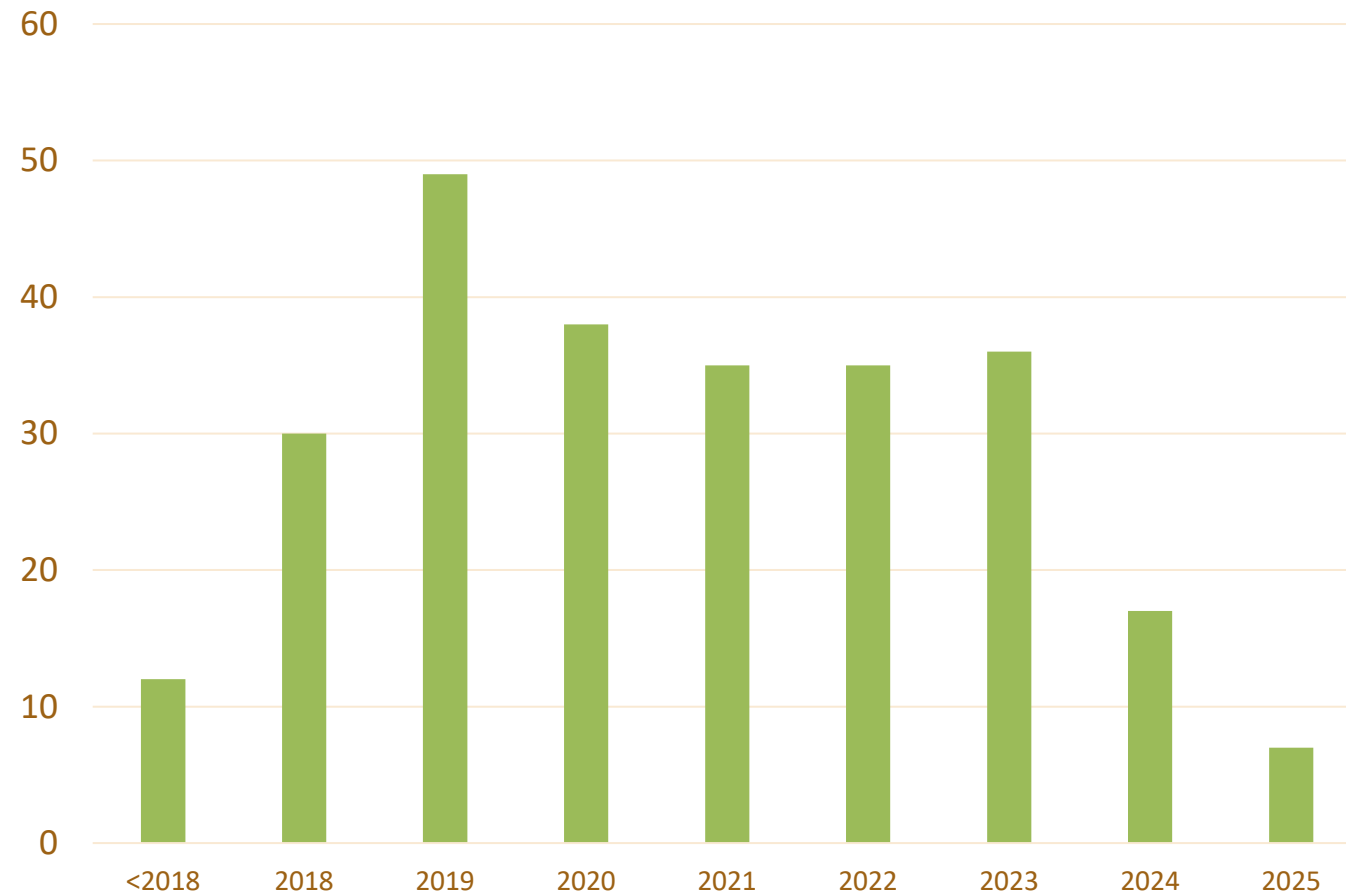
Bakgrund

- Polycystisk njursjukdom (ADPKD) är den vanligaste dödliga ärftliga sjukdomen i världen och står för runt 10 % av all NEB i Sverige (85 nya per år)
- Tolvaptan är ett läkemedel som är godkänt av Läkemedelsverket för minska progresstakten vid ADPKD
- Tolvaptan verkar genom att blockera receptorn för anti-diuretiskt hormon.
 - Stora urinmängder – 3-7 liter per dygn
 - Cystorna växer långsammare
- Tolvaptan är ifrågasatt för att:
 - Effekten är klen – inga hårda fakta -4 års behandling för att skjuta NEB start 1 år
 - Mycket besvärande biverkningar
 - Högt pris
- 2018 startades en ny modul i SNR för att följa användningen av nya dyra läkemedel. Tolvaptan var länge det enda.

Mentimeter fråga 1

- Skulle du, om du hade ADPKD, vilja ha tolvaptan
- A. Ja, absolut
- B Ja, kanske
- C Vet ej
- D Tveksamt, tror inte det
- E Absolut inte

Antal nyregistrering av tolvaptan i SNR



Kliniska data vid insättning

	Kvinnor	Män	Alla
Antal (andel) <i>n</i> (%)	116 (45 %)	143 (55%)	260
Ålder <i>år</i>	41,0 (36-48)	40,1 (35-46)	40,3 (35-47)
eGFR <i>ml/min/1,73 m²</i>	56 (46-75)	55 (44-67)	56 (46-71)
U-alb/krea <i>g/mol</i>	<3 (<3 - 5)	4 (<3-11)	3 (<3 - 8)
Urat <i>μmol/L</i>	318 (286-367)	406 (372-465)	379 (319-436)
Njurlängd <i>cm</i>	18,5 (16-21)	20 (18-21)	19 (17-21)
Rökning Ja/ tidigare	10%/11%	6%/17%	8%/14%
Hypertoni	66%	86%	77%



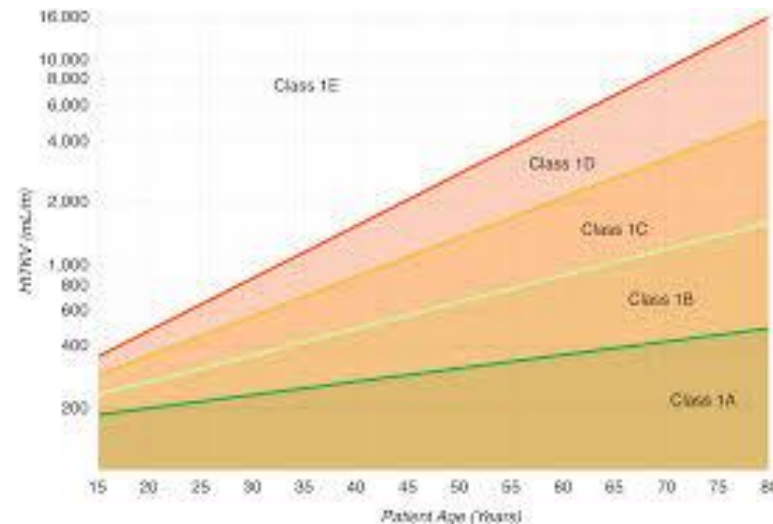
Riktlinjer: Till patienter med snabb progress

Snabb progress

- Njurstorlek enligt Mayo-class 1C-1E
- GFR tapp >2,5 ml/min senaste 3-5 åren
- 1:a grads släkting med NEB start <58 års ålder
- Svår mutation i PKD1 genen

Långsam progress

- >40 och GFR >90
- >45 och GFR >75
- >50 och GFR >60
- >55 (alla)



Följsamhet till regler (obs ändrade över tid)

Angiven indikation snabb progress

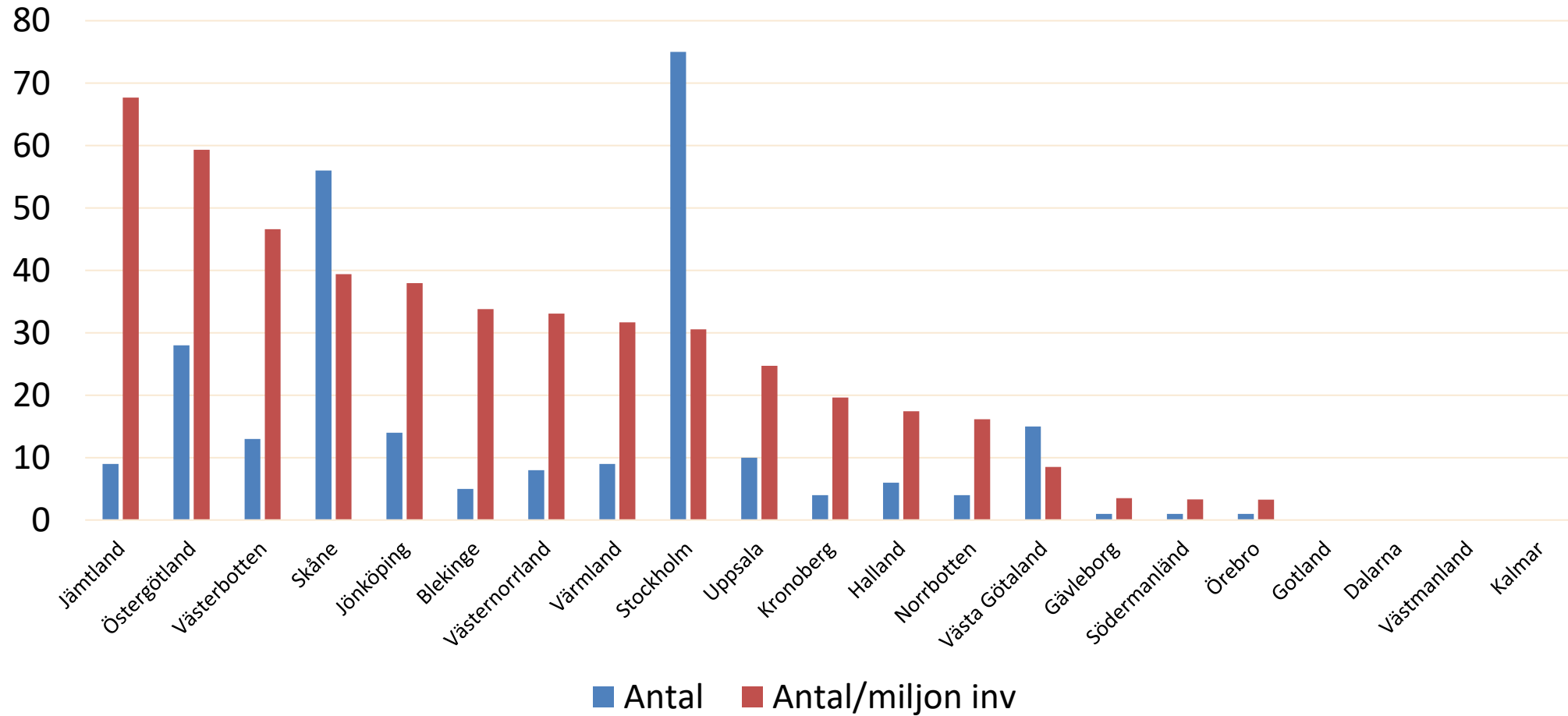
- $>2,5$ ml/år i 5 år – 39 %
- Släkting med NEB start <58 år – 27 %
- Njurlängd $>16,5$ cm + <45 år – 39 %

Långsam progress

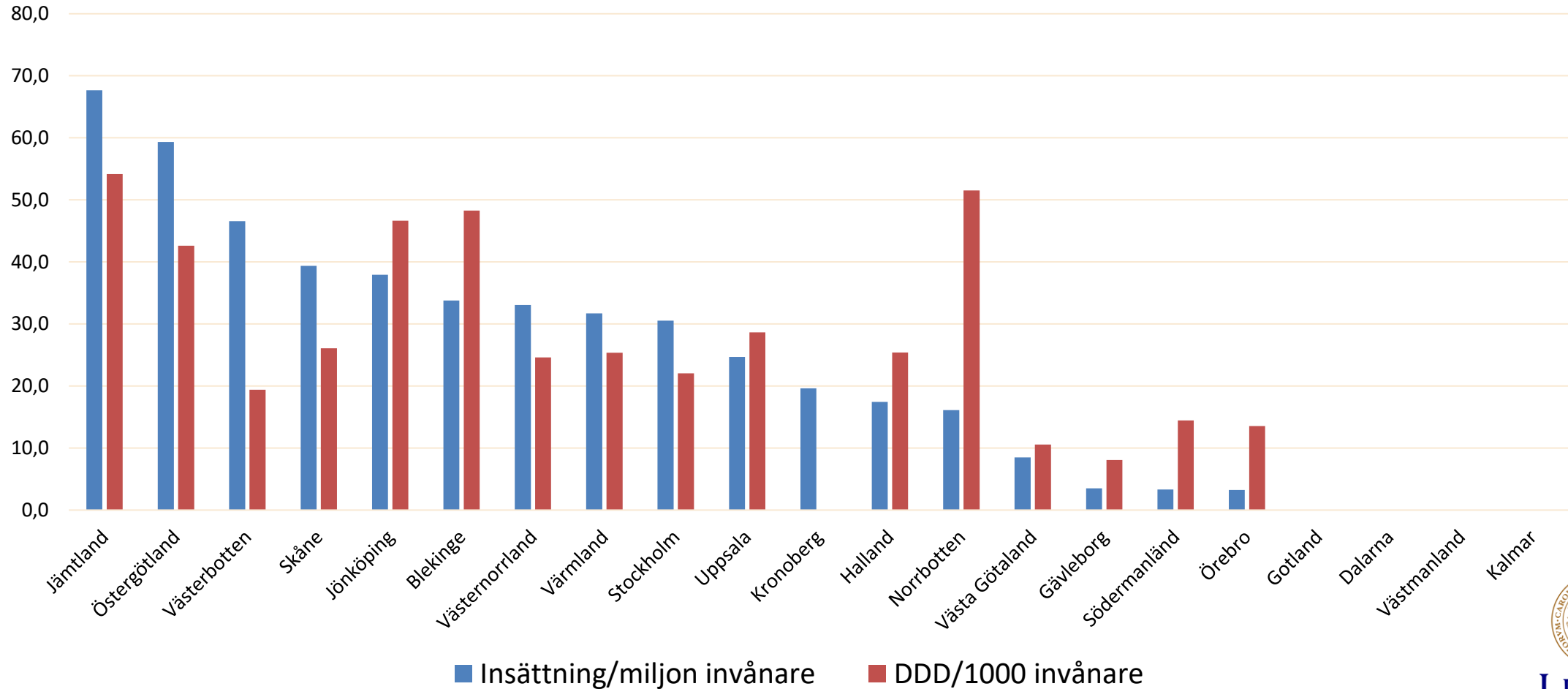
	GFR gräns	Antal
40-45	>90	2
45-50	>75	2
50-55	>60	5
>55	alla	8



Insättning fördelade per region



Täckningsgrad – apotekens försäljning 2024



Uppnådd dos och avbrott

- 2024 – prevalenta fall
 - 120 mg -95%
 - 90 mg – 2,9%
 - 60 mg – 1,9%
- Insättning 256 – uppföljning – 206
 - Registrerade avbrott 55 st efter 15 mån (IQR 4-31)
 - » Biverkningar - 25
 - Allvarlig – 4 st (5-14 mån)
 - Besvärande 21 st – 10 mån (2-18)
 - » NEB -14
 - Total uppföljningstid 28,2 (12-52)
 - 75 % står kvar på behandlingen

Kostnader

- En DDD (definierad daglig dos) är 30 mg –
- Totalt i Sverige 2024 – 239 000 DDD för 15 116 000 SEK
 - Varav Samsca® circa 968 000 SEK
 - Varav behandling mot cystnjurar 238 000 DDD motsv. 163 patienter
 - » Jinarc® - 127 000 DDD för 8 295 000 SEK
 - » Generiskt tolvaptan – 111 000 DDD för 4 316 000
- En DDD kostade 2024 lägst i Skåne och Jönköping 35 SEK
- En årsförbrukning blir då $35 \cdot 4 \cdot 365 = 51\,100$

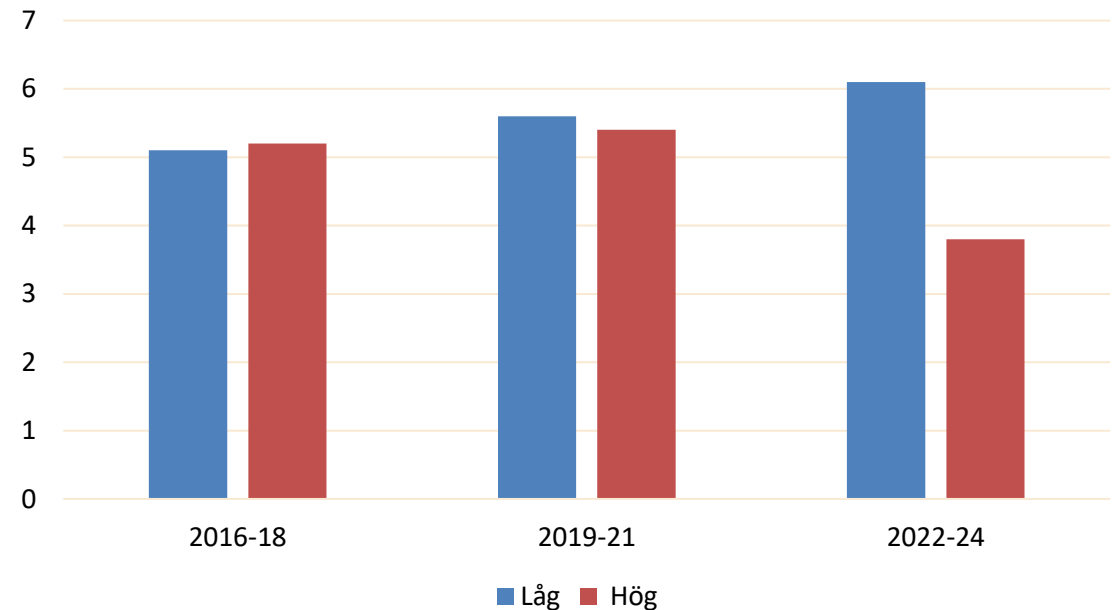
GFR förlust med och utan tolvaptan

- Av 260 patienter fanns kreatininvärden från 2 uppföljningsbesök hos 162
- eGFR försluten 3,0 ml/min/år (1,0-5,3), uppföljningstid median 32 mån (16-57)
- Motsvarande siffror i en matchad obehandlad kontrollgrupp från SNR-CKD var 3,5 (1,6-5,8)

eGFR vid insättning	Behandlade	Obehandlade kontroller
>60 ml/min	2,2 (-0,4 – 5,3)	2,8 (0,7-5,5)
45-60 ml/min	2,9 (1,3 – 4,9)	3,5 (1,7-5,8)
<45 ml/min	4,8 (2,6 – 6,3)	4,9 (2,6-6,4)

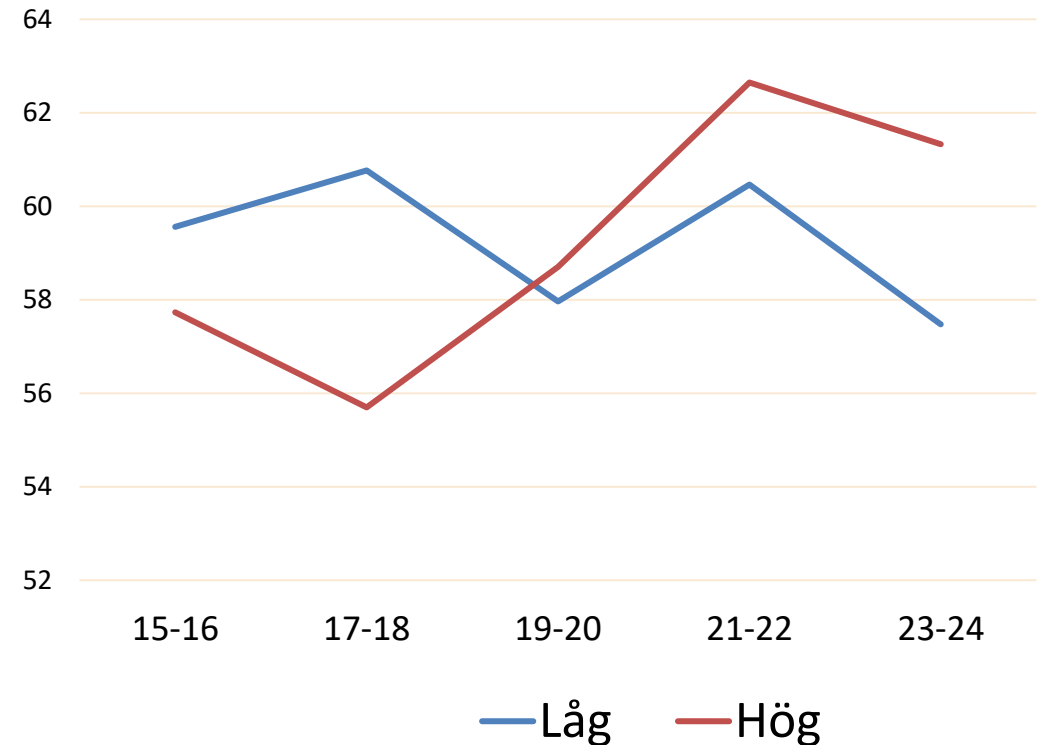
Påvisbar effekt av tolvaptan behandling?

- Antal nystarter i NEB hos patienter under 65, per miljoninvånare
- Sverige uppdelat baserat på om regionen registrerat
 - få eller inga starter av tolvaptan (<10 per miljon=låg)
 - Gotland, Kalmar, Södermanland, Gävleborg, Västra Götaland, Örebro, Dalarna
 - Högt antal, >10 per miljon invånare (=hög), övriga regioner



Ålder vid start av NEB

- Median ålder vid start av NEB under åren 2015-2024 baserat på om regionen registrerat
 - få eller inga starter av tolvaptan (<10 per miljon=låg)
 - mer än 10 per miljon invånare (=hög)



Sammanfattning

- Drygt 250 patienter har startat tolvaptan behandling i Sverige sedan 2015
- Drygt 150 behandlades under 2024
- Riktlinjerna för insättning följs
- Enorm geografisk variation, används knappt alls i en tredjedel av landet
- God täckningsgrad för data i SNR – (apotekens försäljning)
- Totala kostnaden förra året runt 14 MSEK
- Kostnaden per patienter sjönk förra året till hälften – nu 50 000
- Data i SNR är förenliga med att färre startar i dialys i regioner där drogen används och att patienterna där startar i dialys i högre ålder





LUNDS
UNIVERSITET