

Regional samverkansgrupp läkemedel,  
Sydöstra Sjukvårdsregionen

2023-03-31

## **Siklos (hydroxikarbamid) som förebyggande behandling av återkommande smärtsamma vasookklusiva kriser hos patienter med symtomatisk sicklecellsyndrom vars dagliga behov understiger 500 mg hydroxikarbamid.**

Denna bedömning gäller Sydöstra sjukvårdsregionen (Region Jönköpings län, Region Kalmar län och Region Östergötland).

Regional samverkansgrupp läkemedel tillstyrker användning av Siklos (hydroxikarbamid) som förebyggande behandling av återkommande smärtsamma vasookklusiva kriser hos patienter med symtomatisk sicklecellsyndrom vars dagliga behov understiger 500 mg hydroxikarbamid.

Regionalt programområde (RPO) barns och ungdomars hälsa har förmedlat regionernas gemensamma hållning i kontakt med Regional arbetsgrupp ordnat införande av läkemedel 2023-03-31. RPO bedömer att Siklos främst är ett alternativ till barn som inte sväljer kapslar eller där kapslar behöver öppnas.

### **Uppskattat antal patienter**

Ett mycket litet antal patienter: Region Jönköpings län; har i dagsläget ingen patient, Region Kalmar län; har idag ett barn med behandling, Region Östergötland; har idag två barn på behandling.

### **Kostnad**

100 mg 60 st tabletter kostar 673,55 kr  
1000 mg 30 st tabletter kostar 3177,65 kr

Doseringen är vanligtvis mellan 15-30 mg/kg kroppsvikt en gång dagligen.

Siklos ingår i läkemedelsförmånen med begränsad förmån

### **Bakgrund**

Alla hydroxikarbamids verkningsmekanismer är inte helt klarlagda. En av mekanismerna är ökning av koncentrationerna av fosterhemoglobin (HbF) hos sicklecellpatienter. HbF stör polymeriseringen av HbS och hindrar därför att röda blodkroppar i sin tur minskar blodkärlsblockering och hemolys. Utöver sambandet mellan minskad krisfrekvens och ökad HbF-halt, var hydroxikarbamids cytoreduktiva effekt, särskilt det minskade antalet neutrofiler, den faktor som hade starkast korrelation med minskningen av krisfrekvens.

Läkemedlet omfattas inte av Läkemedelsförsäkringen.