

Til: Helse Nord RHF Fagdirektør Geir Tollåli
Helse Vest RHF Fagdirektør Baard-Christian Schem
Helse Sør-Øst RHF Fagdirektør Jan Frich
Helse Midt-Norge RHF Fagdirektør Björn Gustafsson
Kopi: Sekretariat Bestillerforum v/ Gunn Fredriksen, Helse Midt-Norge RHF

Fra: Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler (LIS)

Dato: 5. oktober 2021

Unntatt offentligheten, ihht. forvaltningsloven § 13, 1. ledd

ID2019_038: Tafamidis (Vyndaqel) Behandling av transtyretin amyloidose hos voksne med kardiomyopati – ny vurdering

Bakgrunn

Vi viser til Beslutningsforum 14. desember 2020 der det ble besluttet:

1. *Tafamidis (Vyndaqel) innføres ikke til behandling av voksne pasienter med transtyretinamyloidose og kardiomyopati (ATTR-CM).*
2. *Prisen for legemiddelet er altfor høy i forhold til den kliniske nytten.*

I etterkant av beslutningen har Sykehusinnkjøp forhandlet på ny med leverandøren. I interregionalt fagdirektørmøte 18. mars 2021 ble det gitt tilslutning til å forhandle videre om en pris-volum-avtale for Vyndaqel med gitte føringer:

Fagdirektørene gir tilslutning til å gå videre med en pris/ volum avtale for Vyndaqel med følgende føringer:

- *Prisen i trinn 1 reduseres ytterligere slik at den vurderes som kostnadseffektiv*
- *Innslagspunktet justeres slik at trinn 2 starter tidligere, jf. Pfizer sine egne vurderinger av pasientantall. En ev. avtale skal basere seg på antall pakninger.*
- *Pris til trinn 2 meldes inn i pris- og vareoppdateringssystemet slik at den sørger for at ny pris er oppdatert i forkant av innslagspunktet.*

Vi viser videre til Beslutningsforum 21. juni 2021:

1. *Tafamidis (Vyndaqel) innføres ikke til behandling av voksne pasienter med transtyretinamyloidose og kardiomyopati (ATTR-CM).*
2. *Prisen er for høy i forhold til den dokumenterte nytten, og budsjettkonsekvensene er store.*
3. *Sykehusinnkjøp bes gjenoppta forhandlingene med leverandøren.*

Sykehusinnkjøp har forhandlet videre med leverandøren i tråd med konseptgodkjenningen fra fagdirektørmøte 18. mars 2021 og beslutning i Beslutningsforum 21.6.2021



Pristilbud

Pfizer har 20.09.2021 gitt et pristilbud som innebærer en pris-volum-modell. Avtaleforslaget innebærer en to-trinns-modell

Prisnivået i trinn 2 blir da gjeldene som nytt pristak og

Varenummer	Pakning	Maks-AUP	LIS-AUP inkl. mva.
144490	Vyndaqel tab 61 mg, 30stk Trinn 1	195 058,40	
144490	Vyndaqel tab 61 mg, 30stk Trinn 2	195 058,40	

I trinn 1 tilsvarer dette en månedskostnad på NOK med tilbudt LIS-AUP. Månedskostnaden er beregnet med dosering 1 kapsel 1 gang daglig i henhold til SPC. Årskostnaden for Vyndaqel er om lag NOK LIS-AUP. I trinn 2 tilsvarer denne en månedskostnad på NOK LIS-AUP og en årskostnad på NOK LIS-AUP.

Kostnadseffektivitet

Resultatene fra analysen Legemiddelverket mener er mest sannsynlig er:

Pris	Merkostnad per vunnet kvalitetsjusterte leveår (QALY)
Maks AUP uten mva. - pasienter med wtATTR	3,02 millioner NOK/QALY
Maks AUP uten mva. - Pasienter med hATTR	2,92 millioner NOK/QALY
LIS pris mottatt 20.09.2021 uten mva - pasienter med wtATTR trinn 1	
LIS pris mottatt 20.09.2021 uten mva - pasienter med hATTR trinn 1	
LIS pris mottatt 20.09.2021 uten mva - pasienter med wtATTR trinn 2	
LIS pris mottatt 20.09.2021 uten mva - pasienter med hATTR trinn 2	

Tafamidis gis ved hjertesvikt forårsaket av restriktiv kardiomyopati. Indikasjonen omfatter behandling av pasienter med arvelig (hereditær) kardiomyopati, hATTR-CM og villtype (også kalt senil systemisk) kardiomyopati, wtATTR-CM. I metodevurderingen vurderer Legemiddelverket at APT er ca. 8,3-9 QALYs.

Budsjettkonsekvenser

Legemiddelverket skriver følgende i budsjettkonsekvensene i metodevurderingen

Konklusjon budsjettkonsekvenser for spesialisthelsetjenestens totale budsjett:

Dersom om lag 400 pasienter behandles vil utgiftene i år fem være rundt 657 millioner NOK (AUP inkl. mva), og om disse pasientene avslutter behandling ved progresjon til NYHA klasse III vil de årlige utgiftene være 518 millioner NOK. Dersom 3000 pasienter behandles i år fem vil de årlige utgiftene være 5,3 milliarder NOK (AUP inkl. mva), og om disse pasientene avslutter behandling ved progresjon til NYHA klasse III vil de årlige utgiftene være 4,3 milliarder NOK.

Alternativ prisavtale

Den foreslåtte avtalen er en volumbasert avtale, der det tilbys to ulike priser. Prisen i trinn 1 (den høyeste prisen) gjelder opptil et visst antall pakninger solgt per måned ()



som gjenspeiler [redacted] Når et månedsvolum på [redacted] er nådd, settes prisen ned til trinn 2.

Føringene fra interregionalt fagdirektørmøte var

- *Prisen i trinn 1 reduseres ytterligere slik at den vurderes som kostnadseffektiv*
- *Innslagspunktet justeres slik at trinn 2 starter tidligere, jf. Pfizer sine egne vurderinger av pasientantall. En ev. avtale skal basere seg på antall pakninger.*
- *Pris til trinn 2 meldes inn i pris- og vareoppdateringssystemet slik at den sørger for at ny pris er oppdatert i forkant av innslagspunktet.*

Pristilbudet oppfylder kun delvis føringene gitt fra interregionalt fagdirektørmøte.

- *Prisen i trinn 1* [redacted]
- *Innslagspunktet* [redacted]
- Når det gjelder *oppdatering av pris i pris- og vareoppdateringssystemet* er partene enige om at utvikling mht. pakninger solgt fra grossist til apotek skal følges tett. Trinn 2 iverksettes dersom følgende oppfylles:

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

Sykehusinnkjøp mener at den foreslåtte avtalestrukturen kan håndtere noe av usikkerheten knyttet til en potensiell meget stor budsjettkonsekvens. I avtaleforslaget er det lagt til grunn at trinn 2 inntreffer [redacted]. Dette tilsvarer at [redacted] er satt på behandlingen. Gitt den store usikkerheten knyttet til pasientantall og hvordan opptak av pasienter vil forløpe, er det krevende å finne et korrekt tidspunkt for når [redacted] behandles med Vyndaqel 61 mg. Prisnivået i trinn 2 blir da gjeldene som nytt pristak og prisen settes ikke opp igjen dersom antall pasienter skulle gå ned i en periode. Når det nye trinnet er nådd, gjelder den nye prisen for alle pasienter, dvs. det etableres ikke kohorter av pasienter med ulike rabatter. Når trinn 2 er nådd, vil dette tilsvare legemiddelets nye maksimalpris.

Sykehusinnkjøp vurderer at det er usikkerhet knyttet til om antall pasienter vil overstige [redacted]. Legemiddelverket skriver i metodevurderingen at «*Det er vanskelig å anslå pasientgrunnlag i Norge, men det er grunn til å anta at antallet ligger mellom 400 og noen tusen pasienter i år fem*». Pfizer sitt anslag i innsendt dokumentasjon til Legemiddelverket var om lag 400 pasienter i år fem. Tidspunktet for når trinn 2 eventuelt trer i kraft er usikkert og vil avhenge av hvor raskt behandlingen tas i bruk til nye pasienter. De totale legemiddelutgiftene ved behandling med Vyndaqel for de første [redacted]. Etter [redacted] vil all behandling med Vyndaqel skje til prisen i trinn 2. Dersom 3000 pasienter behandles vil dette tilsvare [redacted]. Dersom kun 400 pasienter behandles med Vyndaqel vil de totale legemiddelutgiftene være [redacted].



Det er enighet mellom Pfizer og Sykehusinnkjøp om avtaletext som beskriver den praktiske gjennomføringen av avtalen og at dette vil inngå som et bilag til rammeavtalen.

Informasjon om refusjon av tafamidis (Vyndaqel) i andre land

Danmark: Medicinrådet har revurdert anbefalingen fra oktober 2020 på grunn av ny prisavtale. Ny anbefaling fra februar 2021 lyder:

MEDICINRÅDET ANBEFALER tafamidis til behandling af voksne patienter med arvelig transthyretin-medieret amyloidose med kardiomyopati, som er skrevet op til levertransplantation. Medicinrådet vurderer, at udgifterne til behandling er rimelige i forhold til den effekt, der forventes i perioden frem til levertransplantation. Anbefalingen gælder kun patienter i NYHA-klasse I og II.

MEDICINRÅDET ANBEFALER IKKE tafamidis til behandling af øvrige voksne patienter med arvelig og vildtype transthyretin-medieret amyloidose med kardiomyopati, fordi udgifterne til behandling er for høje i forhold til effekten. Desuden er der usikkerhed om patientpopulationens størrelse, blandt andet fordi det kan forventes, at patienterne diagnosticeres tidligere i fremtiden, samt at flere patienter vil få diagnosen. Konsekvenserne for sundhedsvæsnets samlede budget kan derfor blive uforholdsmæssigt store. Medicinrådet inddrager derfor forsigtighedsprincippet i sin beslutning. Forsigtighedsprincippet skal bl.a. sikre, at ibrugtagning af et nyt lægemiddel ikke vil indebære, at en uforholdsmæssig stor andel af sundhedsvæsenets økonomiske midler allokeres i retning af én medicinsk behandling.

https://medicinraadet.dk/media/wrqjxwkp/medicinr%C3%A5dets-anbefaling-vedr-tafamidis-til-atr-cm-vers-2-0_adlegacy.pdf

England: I NICE sin rapport datert 16. oktober 2020 er det gitt følgende anbefaling:

Tafamidis is not recommended, within its marketing authorisation, for treating wild-type or hereditary transthyretin amyloidosis with cardiomyopathy (ATTR-CM) in adults.

<https://www.nice.org.uk/guidance/gid-ta10451/documents/final-appraisal-determination-document>

Sverige: På fass.se står det:

Subventioneras endast vid behandling av vuxna med kardiomyopati samt: 1) ATTRwt (förvärvad sjukdom) eller 2) ATTRv (ärfvlig sjukdom) utan betydande amyloidosymtom från andra organ än hjärtat. Dessa patienter med ATTRwt eller ATTRv ska ha symtomgivande hjärtsvikt, ventrikulär septumtjocklek >12 mm på ekokardiografi eller tecken på ökad volymsbelastning i hjärtat som lett till behov av diuretika. Ovan nämnda användning subventioneras endast vid förskrivning av specialist inom kardiologi med särskild kunskap inom området.

<https://fass.se/LIF/product?userType=2&nplId=20190109000057&docType=3&scrollTop=651.3333129882812>

Oppsummering

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text] Sykehusinnkjøp vurderer at det kan være grunnlag for en pris-volum-modell for å kunne håndtere noe av usikkerheten rundt antall pasienter og potensielt store budsjettkonsekvenser. Avtalen vurderes også som relativ enkel å håndtere og innebærer liten grad av administrativt merarbeid. Ved en ev. positiv beslutning i Beslutningsforum 25. oktober 2021, kan legemiddelet først tas i bruk fra 1. desember 2021

Asbjørn Mack
Fagsjef

Iselin Dahlen Syversen
Fagrådgiver



Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket	NA	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	21.06.2021	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp	20.09.2021	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp	05.10.2021	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp	107 dager hvorav 92 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemidelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 15 dager.	