

Notat

Til:

Helse Nord RHF	Fagdirektør	Geir Tollåli
Helse Vest RHF	Fagdirektør	Bjørn Egil Vikse
Helse Sør-Øst RHF	Fagdirektør	Ulrich Spreng
Helse Midt-Norge RHF	Fagdirektør	Trude Basso

Kopi: Sekretariat for Nye metoder**Fra:** Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler**Dato:** 16. desember 2024

ID2022_038: Fosdenopterin (Nulibry) til behandling av pasienter med molyben kofaktormangel (MoCD) type A

Bakgrunn

Det vises til metodevurderingsrapport fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) datert 08.10.2024 samt godkjent SPC for Nulibry. Metodevurderingen er en forenklet vurdering med vurdering av effekt, sikkerhet og ressursbruk (legemiddelkostnad per pasient).

DMP har også vurdert om kravene for ordningen for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand er oppfylt. DMP konkluderer at alle de tre kriteriene er sannsynligvis oppfylt på gruppenivå.

Markedsføringstillatelsen for Nulibry er gitt på særskilt grunnlag (exceptional circumstances) som følger Artikkel 14(8) av forordning (EF) 726/2004

Det finnes trolig kun [REDAKERT] med MoCD type A i Norge i dag. Reell insidens av MoCD type A i Norge er usikker, men det estimeres én ny pasient med diagnosen ca. hvert 7.-8. år.

Godkjent indikasjon:

NULIBRY er indisert for behandling av pasienter med molybden kofaktormangel (MoCD) type A



Pristilbud

Sentylnl har 09.12.2024 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
545742	Nulibry, 9,5 mg, pulver til injeksjon, Hetteglass 1 stk	21 489,50 NOK	

Behandling med fosdenopterin antas å være livslang og doseringen baseres på vekt. Under følger en tabell som illustrerer årskostnad med tilbudt RHF-AUP og maks AUP ved gitte kroppsvekter.

Kroppsvekt (kg)	Antall hetteglass	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
Inntil 10,5 kg	1	Ca 7,9 millioner NOK	
Inntil 21 kg	2	Ca 15,7 millioner NOK	
Inntil 31,5 kg	3	Ca 23,5 millioner NOK	
Inntil 42 kg	4	Ca 31,4 millioner NOK	
Eks. voksen (72 kg)	7	Ca 54,9 millioner NOK	

Årskostnaden er beregnet med dosering 0,9 mg/kg daglig (vedlikeholdsdose¹) i henhold til SPC.

Kostnadseffektivitet

Det er ikke gjort beregning av kostnadseffektivitet i denne saken. I DMPs metodevurderingsrapport er prioriteringskriteriene alvorlighet, nytte og ressursbruk, samt usikkerhet i dokumentasjonen vurdert. DMP har presentert kostnadsberegninger av legemiddelkostnader per pasient.

DMP skriver at Legemiddelkostnaden for Nulibry er ekstremt høy og vil resultere i en betydelig ressursbruk ved en eventuell innføring av legemiddelet. Med mindre leverandøren velger å redusere prisen vesentlig, er denne ressursbruken langt høyere enn det som vanligvis aksepteres for tilsvarende sjeldne og alvorlige tilstander.

Budsjettkonsekvenser

Det er ikke gjort beregning av budsjettkonsekvens. DMP skriver i metodevurderingsrapporten at det er usikkert hvordan behandling med Nulibry påvirker ressursbruken til pleie og omsorg. DMP skriver videre at budsjettkonsekvensene vurderes å være betydelige basert på foreliggende maks AUP priser.

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom fosdenopterin (Nulibry) blir besluttet innført av Beslutningsforum 20.01.2025 kan legemiddelet tas i bruk fra 01.03.2025, da ny pris kan gjelde fra denne dato.

Informasjon om refusjon av fosdenopterin (Nulibry) i andre land (per 12.12.2024)

Sverige:

Ingen relevant informasjon identifisert.

Danmark:

Ingen relevant informasjon identifisert.

Skottland (SMC):

¹ Dosen skal trappes opp i løpet av 3 mnd. det er ikke tatt hensyn til dette i beregningene av årskostnad.



Vurdering pågår²

England (NICE/NHS):

Under vurdering³

Oppsummering

DMP har utført en forenklet metodevurdering av fosdenopterin (Nulibry) til behandling av pasienter med molyben kofaktormangel (MoCD) type A. Prisnotatet presenterer årskostnadene ved behandling med fosdenopterin med tilbudt RHF-AUP og maks AUP. Legemiddelet har vektbasert dosering, men selv for behandling av de minste barna er ressursbruken [REDACTED]

Dersom fosdenopterin (Nulibry) blir besluttet innført til bruk i spesialisthelsetjenesten i Beslutningsforums møte 20.01.2025, kan legemiddelet tas i bruk fra 01.03.2025, da ny pris kan gjelde fra denne dato.

Anne Marthe Ringerud
Fagsjef

Hana Mikami Salyga
Fagrådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	10.09.2024	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	16.09.2024	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	09.12.2024	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	16.12.2024	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	98 dager hvorav 85 dager i påvente av prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 13 dager.	

² <https://scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/?active-tab=0&node-id=6990&keywords=nulibry&filter-3561=&filter-3567=&filter-3803=&from=&to=&total-results-0=1933¤t-page-0=1&max-page-0=97&total-results-1=37¤t-page-1=1&max-page-1=2>

³ [Project information | Fosdenopterin for treating molybdenum cofactor deficiency type A \[ID6264\] | Guidance | NICE](#)