

# 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:** 09. desember 2024

## ID2024\_068: Deflazakort (Deflazacort XGX) til behandling av Duchennes muskeldystrofi (DMD) hos pasienter fra 2 års alder.

### Bakgrunn

Det vises til møte i Bestillerforum 18.11.2024 der følgende oppdrag ble bestilt:

*Et prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF for deflazakort til behandling av Duchennes muskeldystrofi (DMD) hos pasienter fra 2 års alder.*

Det vises dessuten til notat fra DMP<sup>1</sup> knyttet til sak 178-24 i Bestillerforum.

Legemiddelet fikk første gang markedsføringstillatelse i Norge 02.09.2021, og ble markedsført i Norge 01.12.2022. Legemiddelet har flere godkjente indikasjoner, og aktuell indikasjon ble godkjent i Norge 19.01.2024.

I følge notatet fra DMP er glukokortikoider (prednisolon eller deflazakort) etablert behandling ved DMD. Deflazakort har blitt brukt de siste årene i Norge, og klinikerne har gått bort fra å bruke prednisolon. Tidligere har pasienter med DMD fått stønad av Helfo til uregistrert deflazakort (Calcort) via ordningen med individuell stønad på blå resept. Finansieringsansvaret for deflazakort ble overført til helseforetakene fra 01. 11.2024.

Relevant godkjent indikasjon<sup>2</sup>:

*Duchennes muskeldystrofi (DMD) hos pasienter fra 2 års alder.*

Den anbefalte dosen hos DMD pasienter fra 2 års alder er ca. 0,9 mg/kg/dag administrert en gang daglig i hht. preparatomtalen.

<sup>1</sup> <https://www.nyemetoder.no/4acf71/contentassets/50f38d84c9ac4bebb4c8bd6deff23f9f/sak-178-24.-deflazacort-ved-duchenne--notat-til-bestillerforum.pdf>

<sup>2</sup> Deflazacort XGX har flere godkjente indikasjoner.



Notatet fra DMP beskriver at det totalt var 86 brukere av (ureg.) deflazakort, uspesifisert indikasjon, i 2023.

## Pristilbud

XGX Pharma har 04.12.2024 etter prisforhandling bekreftet at følgende pris skal ligge til grunn for beslutning:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
388631	Deflazacort tabl 6 mg, 60 stk	1 477,1 NOK	
Ikke markedsført p.t.	Deflazacort tabl 6 mg, 20 stk		
Ikke markedsført p.t.	Deflazacort tabl 30 mg, 10 stk		

Deflazacort XGX 30 mg er planlagt markedsført på et senere tidspunkt.

Årskostnaden er avhengig av pasientens vekt, som illustrert i tabellen under.

Pasientvekt	Dosering	Årskostnad Maks-AUP inkl. mva.	Årskostnad RHF-AUP inkl. mva.
13-20 kg	2 x 6 mg daglig	17 971 NOK	
40-47 kg	6 x 6 mg daglig	53 914 NOK	
68-75 kg	10 x 6 mg daglig	89 857 NOK	

## Kostnadseffektivitet

Det er ikke beregnet kostnadseffektivitet ved bruk av deflazakort til aktuell indikasjon.

## Budsjettkonsekvenser

Det er ikke beregnet budsjettkonsekvenser for innføring av aktuell indikasjon.

Dersom 50 pasienter med gjennomsnittsvikt 45 kg blir behandlet med Deflazacort XGX, innebærer dette årlige legemiddelutgifter på [REDACTED]

## Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom deflazakort blir besluttet innført på møte i Beslutningsforum 20.01.2025, kan legemiddelet tas i bruk til aktuell indikasjon fra 01.03.2025, da ny pris kan gjelde fra denne dato.

## Informasjon om refusjon av deflazakort (Deflazacort XGX) i andre land

Sverige<sup>3</sup>: Førmånsstatus: samtlige forpackningar av läkemedlet saknar subvention.

Danmark<sup>4</sup>: Har ikke tilskud.

Skottland (SMC): Ingen relevant informasjon tilgjengelig.

England (NICE/NHS): Ingen relevant informasjon tilgjengelig.

## Oppsummering

Uregistrert deflazakort har tidligere blitt benyttet i behandlingen av DMD, og pasienter med DMD har fått stønad av Helfo via ordningen med individuell stønad på blå resept. Finansieringsansvaret for deflazakort ble overført til helseforetakene 01.11.2024. Det er behov for en beslutning om

<sup>3</sup> <https://www.fass.se/LIF/product?userType=0&nplId=20190102000092>

<sup>4</sup> <https://pro.medicin.dk/Medicin/Praeparater/10229>



deflazakort skal kunne forskrives på H-resept til pasienter med DMD. Dersom deflazakort blir besluttet innført til DMD på møte i Beslutningsforum 20.01.2025, kan legemiddelet tas i bruk til aktuell indikasjon fra 01.03.2025, da ny pris kan gjelde fra denne dato.

Anne Marthe Ringerud  
Fagsjef

Christina Kvalheim  
Fagrådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	n.a.	Oppdrag bestilt i Bestillerforum: 18.11.2024
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	21.11.2024	
Fullstendige opplysninger (pris og SPC) fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	04.12.2024	
Aktuell indikasjon godkjent	19.01.2024	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	09.12.2024	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	22 dager hvorav 14 dager i påvente av ytterligere opplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 8 dager.	