

**Til:** Helse Nord RHF                      Fagdirektør   Geir Tollåli  
 Helse Vest RHF                         Fagdirektør   Baard-Christian Schem  
 Helse Sør-Øst RHF                      Fagdirektør   Jan Christian Frich  
 Helse Midt-Norge RHF                 Fagdirektør   Henrik Sandbu  
 Kopi: Fagdirektørsekretariatet v/ Hanne Husom Haukland, Helse Nord RHF

**Fra:** Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler (LIS)

**Dato:** 6. februar 2020

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

## **ID2016\_057: Vortigene Nepavovec (Luxturna) Genterapi ved Lebers medfødte synstap knyttet til mutasjoner i RPE65 genet**

### **Bakgrunn**

Vortigene nepavovec er et genterapiprodukt som inneholder en normal kopi av RPE65-genet som kan produsere manglende protein og dermed forbedrer funksjonelt syn ved Lebers medfødte synstap knyttet til mutasjoner i RPE65 genet. Hurtig metodevurdering av vortigene nepavovec til behandling av Lebers medfødte synstap knyttet til mutasjoner i RPE65 genet ble ferdigstilt 2.12.2019.

Novartis har 3.2.2020 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP	LIS-AIP	LIS-AUP inkl. mva.
554903	Luxturna, Konsentrat og væske til injeksjonsvæske, oppløsning. 1 sett	4 443 048.90		

En injeksjon tilsvarer behandling til ett øye, behandling av én pasient (to øyne) koster dermed omlag 8,9 millioner NOK. Med tilbudt LIS-AUP er kostnaden for behandling pr pasient snaut            millioner NOK.

### **Kostnadseffektivitet**

Legemiddelverket har oppdatert IKER-analysen med tilbudt LIS-AUP eks mva.

Pris	Merkostnad per vunnet kvalitetsjusterte leveår (QALY)
Maks AUP uten mva.	2 374 253 NOK
LIS pris mottatt 3.2.2020 uten mva	<span style="background-color: black; color: black;">          </span> NOK





livskvalitet i de ulike stadiene, for den mest alvorlige tilstanden var nyttevekten negativ, det betyr at pasientene vil foretrekke å være død framfor å være i live. Sykehusinnkjøp merker seg spesielt at modellen ikke hensyntar at livskvaliteten for mange av pasientene vil øke igjen en tid etter synstap/blindhet på grunn av adaptasjon til den nye tilstanden. Legemiddelverket skriver at adaptasjon til en livssituasjon med synstap/blindhet beskrives både av kliniske eksperter og i litteraturen.

Usikkerheten i dataene og de mange antagelsene som er lagt til grunn gjenspeiles i at i mange av Legemiddelverkets scenarioanalyser er merkostnaden per QALY høyere enn basecase. [REDACTED]

Ved en eventuell innføring vil behandlingen tilbys på ett eller to behandlingssentre i Norge (OUS og ev. Haukeland). Novartis har forhandlet med Sykehusapotekene og OUS om en distribusjonsavtale for Luxturna. En tilsvarende avtale vil kunne inngås med andre aktuelle Helseforetak. Luxturna kommer i dypfryser direkte fra Tyskland, holdbarheten til legemidlet samt størrelsen på beholder tillater ikke mellomlagring et eller flere steder i Norge. Luxturna vil derfor ikke kunne distribueres på vanlig måte via grossist, men leveres direkte fra Novartis til Sykehusapotekene. Sykehusapotekene istandgjør legemidlet før det sendes til øyeavdelingen der det administreres til pasient.

#### **Informasjon om behandling med Luxturna i andre land**

Både i Sverige og Danmark er det gjennomført forhandlinger om prisen på behandling med Luxturna. Ingen av landene har hittil innført behandlingen.

Sverige: NT-rådets rekommendation till regionerna är att inte använda Luxturna vid hereditär retinaldystrofi (14-10-2019)

[https://www.janusinfo.se/download/18.30896a3216dbdf9df5b3d397/1571053054129/Voretigene-neparvovec-\(Luxturna\)-191014.pdf](https://www.janusinfo.se/download/18.30896a3216dbdf9df5b3d397/1571053054129/Voretigene-neparvovec-(Luxturna)-191014.pdf)

Danmark: Medicinrådet anbefaler ikke voretigene neparvovec som mulig standardbehandling til patienter med arvelig RPE65-relateret nethindedystrofi. Medicinrådet vurderer, at prisen på voretigene neparvovec er urimeligt høj. Medicinrådet lægger i forbindelse med vurderingen af prisen vægt på, at der er væsentlig usikkerhed om langtidseffekt og eventuelle langtidsbivirkninger ved behandlingen. (25-9-2019)

<https://medicinraadet.dk/media/12226/medicinraadets-anbefaling-vedr-voretigene-neparvovec-til-arvelig-rpe65-relateret-nethindedystrofi-vers-10.pdf>

Asbjørn Mack  
Fagsjef

Anne Marthe Ringerud  
Rådgiver