

Notat til Beslutningsforum

Til:	Beslutningsforum
Fra:	Direktoratet for medisinske produkter
Dato:	12. februar 2024

Hva saken omhandler i korte trekk

Metodevurdering av ID2021_045 vosoritid (Voxzogo) til behandling av akondroplasi hos pasienter som er 2 år og eldre, der epifysen ikke er lukket (publisert 09-11-2023). BioMarin (leverandør) og Norsk Interesseforening for Kortvokste (NiK) har i etterkant gitt innspill til Nye Metoder om beregningen av alvorlighet i metodevurderingen fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP). Dette notatet svarer på innspillene.

Bakgrunn for saken

DMP mener at beregningen av alvorlighet i [den norske metodevurderingsrapporten](#) er riktig utført. DMP har beregnet at akondroplasi for denne populasjonen behandlet med dagens støttebehandling har et absolutt prognosetap (APT) på ca. 12 QALY. Personer med akondroplasi har omtrent normal forventet levetid, men lavere helserelatert livskvalitet enn den generelle befolkningen. De fleste med akondroplasi lever vanlige liv, men kortvokstheten og det å være synlig annerledes gir utfordringer i dagliglivet. Akondroplasi medfører også forsinket motorisk utvikling og økt risiko for medisinske komplikasjoner.

DMP har beregnet antall tapte QALYs (APT) som følge av akondroplasi basert på den helseøkonomiske modellen som ligger til grunn for FINOSE hovedanalyse. BioMarin og NiK mener at APT er underestimert fordi modellering av komplikasjoner er ekskludert i FINOSE hovedanalyse.

I FINOSE hovedanalyse er modellert livskvaliteten i tråd med livskvaliteten som er målt for personer med akondroplasi i observasjonsstudien LIAISE: [Lifetime impact of achondroplasia study in Europe \(LIAISE\): findings from a multinational observational study \(nih.gov\)](#). LIAISE-studien er sendt inn av BioMarin til FINOSE som en del av dokumentasjonspakken til metodevurderingen. Denne studien samlet inn data fra 186 europeiske personer med akondroplasi i alderen 5 – 84 år. Flertallet av personene hadde komplikasjoner og hadde gjennomgått kirurgi. Livskvaliteten til personene ble målt i studien, og det ble funnet at studiedeltagerne hadde lavere livskvalitet enn generell befolkning. Konklusjonen i studien er: "The findings of this study suggest that, across an individual's lifetime, achondroplasia is associated with multisystem complications, reduced QoL and functionality, and increased pain".

FINOSE har altså lagt til grunn livskvalitet som er målt hos personer som lever med akondroplasi, det vil si personer som i ulik grad opplever komplikasjoner, smerter, redusert mobilitet, utfordringer med daglig fungering etc. **Påvirkningen av komplikasjoner på livskvalitet (QALY) er dermed inkludert i beregningene av alvorlighet.**

I en metodevurdering er det viktig å vurdere «face validity» (umiddelbar troverdighet) av resultatene fra de helseøkonomiske beregningene. DMP vurderer at resultatet av alvorlighetsberegningen i denne metodevurderingen har god «face validity». Et absolutt prognosetap på 12 QALY er en forholdsvis høy verdi som ikke kan forklares av tapt høydevekst alene. BioMarin har i sitt innspill

beregnet et absolutt prognosetap i området 25 – 29 QALYs. Så høy alvorlighet har DMP tidligere sett kun for tilstander som medfører betydelig redusert levetid i tillegg til redusert livskvalitet.

DMP har beregnet alvorlighet både ved behandlingsstart 7 år (APT 11,6), og ved behandlingsstart 2 år (APT 12,02), se kapittel 2 i den norske tilleggssrapporten. Dokumentasjon for barn 0-2 år var ikke inkludert i innsendt dokumentasjon fra BioMarin som ble vurdert i FINOSE.