

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	Bjørn Inge Gustafsson

Kopi: Sekretariat Bestillerforum v/ Karianne Johansen, Helse Sør-Øst RHF

Fra: Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler

Dato: 26. januar 2024

ID2021_045: Vosoritid (Voxzogo) - Behandling av akondroplasi hos pasienter som er 2 år og eldre, der epifysen ikke er lukket

Bakgrunn

Det vises til metodevurdering gjennomført av FINOSE, rapport datert 21.09 2023, og til rapport fra Legemiddelverket (norsk del), datert 02.11.2023, der Legemiddelverket har vurdert prioriteringskriteriene knyttet til nytte, ressursbruk og alvorlighet, samt usikkerhet i dokumentasjonen og budsjettkonsekvenser.

Da metodevurderingen ble gjennomført, hadde Voxzogo indikasjon for behandling av akondroplasi hos pasienter som er 2 år og eldre, der epifysen ikke er lukket. Indikasjonen er i ettertid utvidet til:

Voxzogo er indisert for behandling av akondroplasi hos pasienter som er 4 måneder og eldre, der epifysen ikke er lukket. Diagnosen akondroplasi skal bekreftes ved hensiktsmessig genetisk testing.

Aldersutvidelsen ned til 4 måneder er ikke en del av ID2021_045.

Metodevurderingen tar utgangspunkt i effekten på høydevekst som vosoritid har vist i studie 11-301 etter 52 ukers behandling (1,57 cm økt vekst sammenlignet med placebo), og resultatet er brukt til å modellere vedvarende effekt av vosoritid på høydevekst gjennom hele behandlingstiden. Resultater fra pågående langtidsstudier tyder på at vosoritid fortsetter å forbedre høydeveksten, men da disse studiene ikke har kontrollarm, er det ukjent hvor stor den relative effekten er over tid. Foreløpig finnes det ikke dokumentasjon fra kliniske studier på om behandling med vosoritid kan redusere komplikasjoner relatert til akondroplasi, og komplikasjoner er derfor utelatt fra FINOSE hovedanalyse.

Legemiddelverket har beregnet alvorlighetsgraden av akondroplasi til om lag 12 QALYs.

Legemiddelverket har estimert at 30 pasienter vil få behandling med vosoritid årlig om fem år dersom vosoritid innføres i Norge.



Legemiddelverket har vurdert de veiledende kriteriene for om et legemiddel er til behandling av en «særskilt liten pasientgruppe med svært alvorlig tilstand». Legemiddelverket vurderer at kriterium 1 om særskilt liten pasientgruppe og kriterium 3 om stor forventet nytte er oppfylt, men at kriterium 2 om svært alvorlig sykdom sannsynligvis ikke er oppfylt.

Pristilbud

BioMarin har 22.01.2024 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
483922	Voxzogo 0,4 mg injeksjonssett, 10 stk	87 183,90 NOK	
134083	Voxzogo 0,56 mg injeksjonssett, 10 stk	87 183,90 NOK	
377159	Voxzogo 1,2 mg injeksjonssett, 10 stk	87 183,90 NOK	

Dette tilsvarer en årskostnad på [redacted] med tilbudt RHF-AUP og 3 182 212 NOK med maks AUP. Årskostnaden er beregnet med dosering 1 hetteglass som subkutan injeksjon per dag i henhold til SPC. Månedskostnaden for Voxzogo er om lag [redacted] RHF-AUP.

Kostnadseffektivitet

Legemiddelverket har tatt utgangspunkt i hovedanalyse fra FINOSE (som er utført med svenske kostnader og diskonteringsrate og iht. svenske retningslinjer), og gjort tilpasninger til norske forhold i sin hovedanalyse:

Pris	Merkostnad per vunnet kvalitetsjusterte leveår (QALY)
Maks AUP uten mva.	7 559 170 NOK/QALY
Avtalepris mottatt 22.01.2024 uten mva.	[redacted]

Legemiddelverket har dessuten gjort en rekke scenarioanalyser, se metodevurderingen. Scenarioet der behandling starter er ved 2 års alder (i motsetning til ved alder mellom 2 og 12 år) er representativt for fremtidig pasientpopulasjon dersom vosoritid blir innført. I modellen gir tidligere behandlingsstart økt voksehøyde sammenlignet med senere behandlingsstart. Både QALY-gevinsten og behandlingskostnaden øker når startalder endres til 2 år. Totalt sett reduseres IKER sammenlignet med Legemiddelverkets hovedanalyse i tabellen over, til 5 982 324 NOK/QALY med maksimalpris og til [redacted] med tilbudt pris.

Budsjettkonsekvenser

Legemiddelverket har presentert de estimerte budsjettvirkningene for spesialisthelsetjenestens legemiddelbudsjett ved innføring av metoden. I det femte året etter innføring gir dette (30 pasienter):

Pris	Budsjettkonsekvenser
Maks AUP inkl. mva.	94 380 931 NOK
Avtalepris mottatt 22.01.2024 inkl. mva.	[redacted]



Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom vosoritid blir besluttet innført til behandling av akondroplasi på møte i Beslutningsforum 18.03.2024, kan legemiddelet tas i bruk 15.04.2024, da prisen kan gjelde fra denne dato.

Informasjon om refusjon av vosoritid (Voxzogo) i andre land

Sverige: Voxzogo (vosoritid) för behandling av akondroplasi kommer inte att ingå i högkostnadsskyddet. Företaget som står bakom produkten har inte visat att kostnaden vid användning av Voxzogo motsvarar nytta (21. 09.2023)¹. Vurderingen er basert på FINOSE utredningen.

Danmark: Metodevurdering pågår (clock-stop siden 29.11.2023)².

Skottland (SMC): Ingen informasjon tilgjengelig.

England (NICE/NHS): ingen informasjon tilgjengelig³.

Oppsummering

FINOSE og Legemiddelverket har utført en metodevurdering for bruk av vosoritid til behandling av akondroplasi. Med tilbudt pris, er IKER om lag [redacted] avhengig av alder for behandlingsstart, og budsjettvirkningene det femte året etter innføring av metoden på om lag [redacted]

Den medisinske fageksperten som har bistått Legemiddelverket i denne metodevurderingen, vurderer at det vil være relevant å fastsette start- og stoppkriterier ved en eventuell innføring av vosoritid.

Dersom legemiddelet blir innført på møte i Beslutningsforum 18.03.2024, kan vosoritid tas i bruk 15.04.2024.

Anne Marthe Ringerud
Fagsjef

Christina Kvalheim
Fagrådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket	27.09.2023	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	28.09.2023	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	22.01.2024	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	26.01.2024	

¹ <https://www.tlv.se/beslut/beslut-lakemedel/avslag-och-uteslutningar/arkiv/2023-09-22-voxzogo-ingar-inte-i-hogkostnadsskyddet.html?query=voxzogo>

² <https://medicinraadet.dk/igangvaerende-vurderinger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/vosoritide-voxzogo-akondroplasi>

³ <https://www.nice.org.uk/guidance/awaiting-development/gid-ta10700>



Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	122 dager hvorav 117 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 5 dager.
--	--