

# Notat

**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: Sekretariat Bestillerforum v/Gunn Fredriksen, Helse Midt-Norge RHF

**Fra:** Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler**Dato:** 25.04.2022

## **ID2020\_039: Metreleptin (Myalepta) som tillegg til kosthold som erstatningsterapi for å behandle komplikasjoner ved leptinmangel hos pasienter med lipodystrofi (LD):**

- med bekreftet medfødt generalisert LD (Berardinelli-Seip syndrom) eller ervervet generalisert LD (Lawrence syndrom) hos voksne og barn fra 2 år og eldre
- med bekreftet familiær partiell LD eller ervervet partiell LD (Barraquer-Simons syndrom), hos voksne og barn fra 12 år og eldre der standardbehandlinger har mislyktes i å oppnå adekvat metabolsk kontroll

### **Bakgrunn**

Vi viser til metodevurdering datert 15.11.2021 fra Legemiddelverket med en oppsummering av effekt, sikkerhet og kostnader av Myalepta i henhold til bestilling ID2020\_039 og godkjent preparatomtale.

Legemiddelverket skriver om markedsføringstillatelsen: *Legemiddelet er tilkjent orphan drug status (legemiddel til en sjelden sykdom). Ved utstedelse av europeisk MT er det etablert et positivt nytte/risikoforhold ved behandling med metreleptin i henhold til godkjent indikasjon. Dette legemiddelet er blitt godkjent på særskilt grunnlag. Dette innebærer at det foreligger lav grad av evidens i dokumentasjonen grunnet lav sykdomsinsidens. Det europeiske legemiddelkontoret (EMA) vil årlig evaluere all ny tilgjengelig informasjon om legemiddelet.*

Legemiddelverkets metodevurdering består av en oppsummering av Amryt pharmaceuticals siste innsendelse til NICE, vurderingene utført av Evidence Review Group og konklusjoner av NICE-komiteen angående kostnadseffektivitet. Legemiddelverket har dermed ikke gjort egne vurderinger i denne metodevurderingen. De skriver: *Legemiddelverket mener at de vurderinger som er gjort av NICE som grunnlag for deres beslutning av metreleptin vil være tilstrekkelige for å belyse de tre prioriteringskriteriene i denne saken, og benytter derfor NICE sin analyse i denne metodevurderingen. Basert på dette er det åpenbart at behandling med metreleptin ikke tilfredsstill*



prioriteringskriteriene med dagens prisnivå. Beslutningsgrunnlaget fra NICE holder derfor i denne sammenheng.

Det kan være grunn til å vurdere om Myalepta oppfyller kriteriene for å vurderes innenfor Ordning for særskilt små pasientgrupper med særskilt alvorlig tilstand. Legemiddelverket skriver: LD er svært alvorlig (APT 35 QALYs for totalpopulasjonen, og hhv 44 og 29 QALYs for generalisert og partiell LD), og pasientgruppen er særskilt liten (4 pasienter i Norge). Forventet nytte av behandling med metreleptin er usikker, men er beregnet til over 2 vunnet QALYs i analysen som ble benyttet av NICE (3,5 QALYs for totalpopulasjonen, og hhv 4,4 og 2,8 QALYs for generalisert og partiell LD).

## Pristilbud

Amryt Pharmaceuticals har 11.04.2022 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP	LIS-AUP inkl.mva.
535732	3mg pulver til inj.væske (30 stk)	207 933,40	
090719	5,8mg pulver til inj.væske (30 stk)	414 144,40	
083492	11,3mg pulver til inj.væske (30 stk)	825 915,00	

Dette tilsvarer en årskostnad for kvinner på om lag [redacted] NOK, for menn på om lag [redacted] NOK med tilbudt LIS-AUP. Årskostnaden er beregnet med standarddosering i henhold til SPC for en pasient på 75 kg. For pasienter som har behov for oppjustering av dosen, vil årskostnad øke da en må kombinere hetteglass. For pasienter som har behov for høyeste dose er årskostnaden [redacted] NOK LIS-AUP. Månedskostnaden for Myalepta er om lag [redacted] og [redacted] NOK LIS-AUP for hhv kvinner og menn.

## Kostnadseffektivitet

Legemiddelverket har gjengitt hva IKER er med den engelske modellen.

Pasientgruppe	Merkostnad per vunnet kvalitetsjusterte leveår (QALY) (Offentlig listepriser England)	Merkostnad per vunnet kvalitetsjusterte leveår (QALY) (LIS AUP)
Totalpopulasjon: generalisert og partiell LD	9 926 348 NOK/QALY	
Generalisert LD	8 054 963 NOK/QALY	
Partiell LD	12 214 840 NOK/QALY	

## Budsjettkonsekvenser

Det finnes ingen pasienter som er diagnostisert med partiell LD i Norge i dag, men det er identifisert fire pasienter med generalisert LD, ifølge kliniske eksperter Legemiddelverket har hatt kontakt med. Budsjettbergingen er basert på disse fire pasientene, og basert på engelske listepriser.



Pris	Budsjettkonsekvenser
Offentlig listepriser England	25 000 000 NOK

Imidlertid har Amryt Pharmaceuticals oppgitt 5-6 identifiserte pasienter med generalisert LD til Sykehusinnkjøp i prisforhandlingene. Legemiddelkostnader med Myalepta det året 5 pasienter får full behandling med tilbudt avtalepris utgjør om lag [REDACTED] NOK med standarddosering.

### Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom Beslutningsforum beslutter å ta i bruk Myalepta 23.05.2022 kan legemiddelet anvendes til tilbudt avtalepris fra 01.07.2022.

### Informasjon om refusjon av metreleptin (Myalepta) i andre land

England (NICE/NHS): [Legemiddelet er innført 24.02.2021](#), med planlagt revurdering i 2024.

- *Metreleptin is recommended, within its marketing authorisation, as an option for treating the complications of leptin deficiency in lipodystrophy for people who are 2 years and over and have generalised lipodystrophy.*
- *Metreleptin is recommended as an option for treating the complications of leptin deficiency in lipodystrophy for people who are 12 years and over, have partial lipodystrophy, and do not have adequate metabolic control despite having standard treatments. It is only recommended if they have an HbA1c level above 58 mmol/mol (7.5%), or fasting triglycerides above 5.0 mmol/litre, or both.*
- *This recommendation is not intended to affect treatment with metreleptin that was started in the NHS before this guidance was published. People having treatment outside this recommendation may continue without change to the funding arrangements in place for them before this guidance was published, until they and their NHS clinician consider it appropriate to stop. This decision should be made jointly by the clinician, the child or young person and their parents or carers.*

### Oppsummering

Legemiddelverket har gjengitt innsendt modell til NICE og resultatene fra denne analysen.

[REDACTED]

Asbjørn Mack  
Fagsjef

Christina Sivertsen  
Fagrådgiver



Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket	04.10.2021	Endelig rapport mottatt: 16.11.2022
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	26.07.2021	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	11.04.2022	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	25.04.2022	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	260 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma og endelig rapport fra Legemiddelverket. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 14 dager.	