

# 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:** 03. mai 2024

## **ID2022\_016: Luspatercept (Reblozyl) Behandling av voksne med transfusjonsavhengig anemi knyttet til betatalassemi. Revurdering og oppdeling av ID2019\_127**

### **Bakgrunn**

Det vises til metodevurderingsrapporten fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) datert 08.04.2024 samt godkjent SPC for Reblozyl. Metodevurderingen inneholder en kostnad-per-QALY analyse der behandling med luspatercept sammenlignes med støttebehandling (BSC). I BSC inngår transfusjoner med røde blodceller (RBC) og jernkelerende behandling.

Betatalassemi er en genetisk sykdom som medfører redusert eller manglende syntese av hemoglobins beta-kjeder, og som dermed forårsaker anemi. Fageksperten DMP har vært i kontakt med anslår at det er ca. 57 voksne pasienter i Norge i dag med transfusjonsavhengig anemi knyttet til betatalassemi. Dagens standardbehandling er livslang, regelmessig transfusjon av RBC.

Luspatercept fikk markedsføringstillatelse av det Europeiske legemiddelbyrået (EMA) 25.06.2020 for to indikasjoner:

- Behandling av voksne med transfusjonsavhengig anemi pga. svært lav, lav og middels risiko myelodysplastisk syndrom (MDS) med ringsideroblaster, som har hatt utilfredsstillende respons til, eller ikke er kvalifisert for erythropoietinbasert behandling.
- Behandling av voksne med transfusjonsavhengig og ikke-transfusjonsavhengig anemi knyttet til betatalassemi.



## Pristilbud

Bristol Myers Squibb (BMS) har 23.04.2024 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
045053	Reblozyl, pulver til injeksjonsvæske 25mg 1 stk hetteglass	17 677,80 NOK	
434057	Reblozyl, pulver til injeksjonsvæske 75mg 1 stk hetteglass	52 462,90 NOK	

Dette tilsvarer en årskostnad på [REDACTED] med tilbudt RHF-AUP og 911 855 NOK med maks AUP. Årskostnaden er beregnet med anbefalt startdose 1mg/kg 1 gang hver 3. uke i henhold til SPC. Hos pasienter som ikke oppnår respons, definert som minst 1/3 reduksjon i RBC-transfusjonsbyrde etter  $\geq 2$  påfølgende doser (6 uker) på 1 mg/kg startdose, skal dosen økes til 1,25 mg/kg. Månedskostnaden for Reblozyl er [REDACTED] RHF-AUP. Legemiddelkostnadene er beregnet for en pasient på 75 kg.

## Kostnadseffektivitet

DMP har i metodevurderingen beregnet kostnad per QALY for Luspatercept (Reblozyl) + BSC sammenlignet med BSC alene, vist nedenfor:

Pris	Merkostnad per vunnet kvalitetsjusterte leveår (QALY)
Maks AUP uten mva.	3 059 228 NOK/QALY
Avtalepris mottatt 11.04.2024 uten mva.	

Usikkerheten i DMPs hovedanalyse vurderes å være svært høy, særlig fordi det er mangelfull dokumentasjon på sammenhengen mellom transfusjonsbyrde og helse relatert livskvalitet. Det ble ikke vist forskjeller i livskvalitet mellom luspatercept- og placeboarmen i løpet av oppfølgingstiden i BELIEVE studien.

Beregning av alvorlighetsgrad ut ifra dagens behandling tilsier et absolutt prognosetap på ca. 23 QALYs.

## Budsjettkonsekvenser

DMP har beregnet budsjettkonsekvenser for spesialisthelsetjenestens legemiddelbudsjett. Innføring av Luspatercept (Reblozyl) vil ha en total årlig budsjettkonsekvens på 35 millioner NOK inkludert mva. [REDACTED] inkludert mva. med tilbudt pris) i det året med høyest budsjettkonsekvens, som her betyr det første budsjettåret. Dette er grunnet en stor initiell opphentingpopulasjon, som betyr at det i dag er pasienter som venter på å kunne forsøke behandling. Påfølgende år vil det trolig kun tilkomme en ny pasient som er aktuell for behandling med Reblozyl.

Pris	Budsjettkonsekvenser i det første budsjettåret
Maks AUP inkl. mva.	35 274 545 NOK
Avtalepris mottatt 11.04.2024 inkl. mva.	



## Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom luspatercept (Reblozyl) blir besluttet innført av Beslutningsforum 27.05.2024 kan legemiddelet tas i bruk fra 01.07.2024 for denne indikasjonen, da ny pris kan gjelde fra denne datoen.

## Informasjon om refusjon av luspatercept (Reblozyl) i andre land

Sverige: Pågående utredning<sup>1</sup>

Danmark: Saksbehandlingsprosessen er avbrutt:

*«Virksomheden har den 9. marts 2022 trukket sin ansøgning, og Medicinrådet ønsker ikke at fortsætte vurderingen af egen drift. Derfor er sagsbehandlingen afbrudt.»<sup>2</sup>*

Skottland (SMC): Ingen beslutning identifisert.

England (NICE/NHS): Ingen vurdering<sup>3</sup>:

*«NICE is unable to make a recommendation about the use in the NHS of luspatercept for treating anaemia caused by beta-thalassaemia in adults. This is because BMS has confirmed that it does not intend to make an evidence submission for the appraisal. BMS considers that there is not enough evidence to provide a submission for this appraisal.»*

## Oppsummering

Betatalassemi er en genetisk sykdom som medfører redusert eller manglende syntese av hemoglobins beta-kjeder, og som dermed forårsaker anemi. Det anslås ca. 57 voksne pasienter i Norge i dag med transfusjonsavhengig anemi knyttet til betatalassemi.

DMP har i metodevurderingen beregnet kostnad per QALY for Luspatercept (Reblozyl) + BSC sammenlignet med BSC alene. [Redacted]

Anne Marthe Ringerud  
Fagsjef

Lea Nga Tran  
Fagrådgiver

<sup>1</sup><https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartside/produktinfo/reblozyluspatercept.4.d7dd17917250a74628cbdb0.html>

<sup>2</sup> <https://medicinraadet.dk/tilbage trukket/laegemidler-og-indikationsudvidelser/i-l/luspatercept-reblozyl-benign-haematologi>

<sup>3</sup> <https://www.nice.org.uk/guidance/ta843>



Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	01.03.2024	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	05.03.2024	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	23.04.2024	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	03.05.2024	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	64 dager hvorav 50 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma, hvorav 39 dager i påvente av endelig metodevurderingsrapport. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 10 dager.	