

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: 30.04.2024

ID2024_013: Elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor (Kaftrio) i kombinasjonsregime med ivakaftor til behandling av cystisk fibrose hos pasienter 2-5 år som har minst én F508del-mutasjon i cystisk fibrose transmembran konduktansregulator (CFTR)-genet.

Bakgrunn

Det vises til møte i Bestillerforum 22.04.2024 der følgende oppdrag ble bestilt:

Et prisnotat utarbeides ved Sykehusinnkjøp HF for elexakaftor/tezakaftor/ ivakaftor (Kaftrio) granulat-kombinasjonsregime med ivakaftor til behandling av cystisk fibrose hos pasienter i alderen 2 til 6 år som har minst én F508del-mutasjon i cystisk fibrose transmembran konduktansregulator (CFTR)-genet.

Det vises dessuten til egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP), datert 09.04.2024.

Indikasjonsutvidelsen ble godkjent i EMA 22.11.2023.

Godkjent indikasjon:

Kaftrio granulat er indisert i et kombinasjonsregime med ivakaftor til behandling av cystisk fibrose (CF) hos pediatriske pasienter i alderen 2 til 6 år som har minst én F508del-mutasjon i cystisk fibrose transmembran konduktansregulator (CFTR)-genet.

Elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor er tidligere besluttet innført til:

- Kombinasjonsbehandling med ivakaftor 150 mg tabletter til behandling av cystisk fibrose hos pasienter fra 12 års alder som har minst én F508del-mutasjon i CFTR-genet (ID2020_029, beslutningsdato 25.04.2022).
- Behandling av cystisk fibrose hos barn fra 6 til og med 11 år som har minst én F508del-mutasjon i CFTR-genet (ID2021_134, beslutningsdato 25.04.2022).



Foreliggende indikasjon omfatter en utvidet bruk til barn fra 2 års alder, med tilhørende nye pakninger/styrker tilpasset den nye pasientpopulasjonen. Av egnethetsvurderingen til DMP fremgår det at det er tidligere antatt det tilkommer 7–10 nye pasienter hvert år som er aktuelle for behandling med elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor, og DMP antar at dette estimatet også er relevant per i dag. DMP skriver videre at en utvidet bruk med hensyn på yngre pasienter vil kunne føre til at man ser et fire ganger høyere antall nye pasienter det første budsjettåret, for deretter å se 7-10 nye pasienter de påfølgende årene.

Pristilbud

Vertex har 25.04.2024 bekreftet at følgende pris skal ligge til grunn for beslutning:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
371301	Kaftrio, granulat i dosepose, 75 mg/50 mg/100 mg, 28 doseposer	124 239 NOK	
535868	Kaftrio, granulat i dosepose, 60 mg/40 mg/80 mg, 28 doseposer	124 239 NOK	
463741	Kalydeco, granulat i dosepose, 59,5 mg, 28 doseposer	69 605 NOK	
430569	Kalydeco, granulat i dosepose, 75 mg, 28 doseposer	69 605 NOK	

Dette tilsvarer en årskostnad på [redacted] med tilbudt RHF-AUP og 2 526 662 NOK med maks AUP. Årskostnaden er beregnet med dosering 1 dosepose elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor (uansett styrke) og 1 dosepose ivakaftor (uansett styrke) daglig i henhold til SPC. Månedskostnaden for Kaftrio i kombinasjon med Kalydeco er [redacted] RHF-AUP. Legemiddelkostnadene for Kaftrio i kombinasjon med Kalydeco for aktuell pasientpopulasjon [redacted]

Kostnadseffektivitet

Det er ikke beregnet kostnadseffektivitet ved bruk av elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor til aktuell indikasjon.

Av egnethetsvurderingen fremgår følgende vurdering:

«Med forbehold om at årskostnadene for Kaftrio kombinasjonsbehandling for barn mellom 2 og 6 år er sammenlignbare med årskostnadene for eldre pasienter, vurderer DMP at kostnadseffektiviteten av behandlingen også er sammenlignbar.»

Budsjettkonsekvenser

Det er ikke beregnet budsjettkonsekvenser for innføring av aktuell indikasjon.

Egnethetsvurderingen angir at om lag 28–40 pasienter i alder 2–6 år kan forventes å ta i bruk behandlingen det første året etter eventuell innføring, og at 7–10 nye pasienter kan forventes å tilkomme årlig etter dette – tilsvarende som i dag.

Dersom 28–40 nye pasienter blir behandlet med elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor i kombinasjon med ivakaftor, innebærer dette årlige økte legemiddelutgifter på om lag [redacted] NOK (RHF-AUP).



Alternativ prisavtale

I forbindelse med opprinnelig innføring av Kaftrio til behandling av cystisk fibrose ble det inngått en alternativ prisavtale. [REDACTED]

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor i kombinasjon med ivakaftor blir besluttet innført på møte i Beslutningsforum 27.05.2024, kan legemiddelet tas i bruk til aktuell indikasjon fra 01.07.2024 da ny pris kan gjelde fra denne dato.

Informasjon om refusjon av elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor (Kaftrio) i andre land

Sverige: Besluttet innført til barn i alder 2–6 år, 22.02.2024¹

Danmark: 1.oktober 2018 ble det inngått en porteføljeavtale mellom Amgros og Vertex. Avtalen er 4-årig med mulighet til forlengelse, og innebærer at et fast årlig beløp uavhengig av hvor mange pasienter som behandles, og uavhengig av hvilke CFTR-modulatorer fra Vertex som forskrives².

Skottland (SMC) og England (NICE/NHS): Det er inngått en avtale om interimtilgang til CFTR-modulatorer med samtidig datainnsamling. Som del av avtalen, har Vertex forpliktet seg til å sende dokumentasjon for Orkambi, Symkevi og Kaftrio til NICE innen en avtalt tidsramme. Avtalen gjelder frem NICE sin anbefaling basert på en metodevurdering av nye data er publisert eller terminering av tilgangsavtalen mellom NHSE&I og Vertex via NHS³⁴.

Oppsummering

Elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor i kombinasjon med ivakaftor har vært innført til behandling av pasienter fra 6 år og oppover siden april 2022. [REDACTED]

Dersom Elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor i kombinasjon med ivakaftor blir besluttet innført til aktuell pasientpopulasjon på møte i Beslutningsforum 27.05.2024, kan de nye legemiddelpakningene tas i bruk til behandling av barn fra 2–6 år fra 01.07.2024.

¹ <https://www.tlv.se/beslut/beslut-lakemedel/generell-subvention/arkiv/2024-02-23-kaftrio-och-kalydeco-ingar-i-hogkostnadsskyddet-for-en-ny-patientgrupp.html?query=kaftrio>

² <https://www.amgros.dk/om-amgros/nyheder/aftale-sikrer-patienter-med-cystisk-fibrose-nyeste-behandling/>

³ <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance/data-collection-agreement>

⁴ <https://www.scottishmedicines.org.uk/about-us/latest-update/joint-statement-nice-and-smchis-collaboration-on-mta-for-cystic-fibrosis/>



Anne Marthe Ringerud
Fagsjef

Morten Søndena
Fagrådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	n.a.	Oppdrag bestilt i Bestillerforum: 22.04.2024
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	25.04.2024	
Fullstendige opplysninger (pris og SPC) fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	25.04.2024	
Aktuell indikasjon godkjent	22.11.2023	Dato for Kommissjonsvedtak
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	30.04.2024	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	9 dager hvorav 1 dager i påvente av ytterligere opplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 8 dager.	