

«MOTTAKERNAVN»  
«ADRESSE»  
«POSTNR» «POSTSTED»  
«UTLANDSADRESSE»  
  
«KONTAKT»

**Deres ref.:** «REF»  
**Vår ref.:** 2023/461 - 6974/2023

**Saksbehandler:**  
Bjørn Egil Vikse

**Dato:**  
29.06.2023

## Oppstart ny metodevurdering av ekulizumab ved PNH

Patentet på ekulizumab (Soliris) til bruk ved paroksysisk nattlig hemoglobinuri (PNH) indikasjonen utløper, og derfor har Sykehusinnkjøp gjennomført en anbudskonkurranse. I konkurransen har det kommet inn pristilbud med en vesentlig redusert pris. Det gir grunnlag for en revurdering av beslutningen som ble tatt 26. september 2022 i Beslutningsforum om at ekulizumab ikke skal brukes til nye pasienter med PNH:

<https://nyemetoder.no/metoder/eculizumab-soliris-indikasjon-iii>

I møte i Bestillerforum 28.06.2023 ble det besluttet å be Statens legemiddelverk (SLV) om å gjøre en kostnad-nytte-analyse for ekulizumab til behandling av pasienter med PNH. De andre indikasjonene for Soliris er ikke omfattet av patentutløpet på dette tidspunktet, og derfor heller ikke omfattet av denne saken.

Nå når det startes en ny metodevurdering åpnes det for at det kan gjøres unntak for enkeltpasienter etter unntaksordningen i påvente av ny beslutning. I vurdering av unntak for enkeltpasienter må det gjøres en vurdering i hvert enkelt tilfelle. Kostnaden for behandling er fortsatt svært høy og det bør kun gis unntak for behandling til pasienter med den mest alvorlige fenotypen av sykdommen, som beskrevet i «Norske retningslinjer for diagnostikk og behandling av pasienter med paroksysisk nattlig hemoglobinuri». Dette er i retningslinjen spesifisert til å gjelde følgende pasienter:

- Pasienter med kronisk anemibetinget tretthet som er så alvorlig at den har store sosiale konsekvenser, inkludert arbeids- og utdanningsmessige konsekvenser.
- Pasienter med vedvarende og regelmessig transfusjonsbehov.
- Pasienter med hyppige og smertepregede paroksysmer, typisk i form av abdominalsmerter.
- Pasienter med dokumentert tromboemboli uten annen betydelig trombofili.
- Pasienter med organdysfunksjon, f.eks. pulmonal hypertensjon, nyreskade og/eller alvorlig dysfagi som skyldes PNH.

Alle pasienter som bruker ekulizumab for PNH skal årlig gjennomføre benmargsundersøkelse for å bekrefte at tilstanden ikke er gått i remisjon. Pasienter som har gått i remisjon kan stoppe bruk av eculizumab.

Den nye anbudskonkurransen vil være gjeldende fra 01.10.2023. Det vil bli kommunisert i egen anbefaling fra Sykehusinnkjøp hvilket produkt som har lavest pris og fra dette tidspunktet bør pasienter skiftes til billigste alternativ.

Vennlig hilsen  
Fagavdeling

Bjørn Egil Vikse på vegne av de regionale fagdirektørene  
fagdirektør

Dokumentet er elektronisk godkjent

**Digital kommunikasjon**

Vi har elektronisk saksbehandling og er opptatt av at informasjon, også taushetsbelagt, skal kunne sendes på en rask og sikker måte. Vi ber derfor om at et eventuelt svar på denne henvendelsen sendes gjennom en av disse kanalene:

- Privatpersoner og private virksomheter: [eDialog](#)
- Offentlige virksomheter: eFormidling (via eget sak-/arkivsystem)

Mottakere

HELSE SØR-ØST RHF

Geir Tollåli

Bjørn Inge Gustafsson

HELSE NORD RHF

Nyemetoder

HELSE MIDT-NORGE RHF

Ulrich Johannes Spreng