

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: 02.08.2023

ID2022_124: Pegunigalsidase alfa (Elfabrio) til behandling av Fabrys sykdom

Bakgrunn

Det vises til notat fra Legemiddelverket datert 12.07.2023, der Legemiddelverket har oppsummert offentlig tilgjengelig dokumentasjon om pegunigalsidase alfa til Fabry sykdom.

Godkjent indikasjon:

Elfabrio er indisert for langsiktig enzymerstatningsbehandling hos voksne pasienter med en bekreftet diagnose av Fabrys sykdom (mangel på alfa-galaktosidase).

Godkjent dosering: 1 mg/kg hver annen uke ved intravenøs infusjon.

Det foreligger en studie der effekt og sikkerhet av pegunigalsidase alfa er sammenlignet med agalsidase beta (Fabrazyme) i en fase 3, dobbeltblindet studie som inkluderte 78 voksne pasienter med Fabry sykdom. Pasientene hadde fått behandling med agalsidase beta i minst 1 år, og hadde nedsatt nyrefunksjon. Begge legemidlene ble administrert 1 mg/kg hver annen uke ved intravenøs infusjon. Legemiddelverket har oppsummert resultatene. EMA konkluderer med at studiens størrelse og design gjør at det ikke kan vurderes om pegunigalsidase alfa er non-inferior ift. agalsidase beta.

Pågående anskaffelse, 2199b Fabry, inkluderer to andre enzymerstatningslegemidler til behandling av Fabry; Replagal (agalsidase alfa) og Fabrazyme (agalsidase beta), samt Galafold (miglastat).

Det er nylig utlyst en ny anbudskonkurranse, 2399b Fabry, med planlagt oppstart 01.11.2023 og varighet 24 mnd. Chiesi har levert inn tilbud i denne anskaffelsen. I den aktuelle konkurransen vil (de øvrige) tilbudene bli sammenlignet og rangert mot hverandre, men spesialistgruppen har vurdert at pegunigalsidase alfa foreløpig skal stå utenfor rangeringen. Enzymerstatningslegemidlene agalsidase alfa og agalsidase beta administreres som hjemmeinfusjon. Hjemmeadministrasjon er mulig for også for pegunigalsidase alfa.



Finansiering av de øvrige legemidlene i anskaffelsen ble overført til helseforetakene 01.02.2019, og de har ikke vært gjennom beslutningsprosess i Nye metoder.

Det antas at eventuell innføring av pegunigalsidase alfa ved Fabry sykdom ikke vil påvirke antallet pasienter som får behandling. Legemiddelverket har ikke anslått pasientantall som er aktuelle for behandling av alfa-glukosidasemangel.

Pristilbud

Chiesi har 15.06.2023 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

| Varenummer | Pakning | Maks-AUP inkl. mva. | RHF-AUP inkl. mva. |
|----------------|---------------------------------|---------------------|--------------------|
| Ikke publisert | Elfabrio inf.kons. 5 mg, 1 hgl | Ikke publisert | |
| 055489 | Elfabrio inf.kons. 20 mg, 1 hgl | 21 025,30 NOK | |
| 049386 | Elfabrio inf.kons. 20 mg, 5 hgl | 104 978,85 NOK | |

Dette tilsvarer en årskostnad på [redacted] med tilbudt RHF-AUP og om lag 2 055 709 NOK med maks AUP (godkjent maksimalpris foreligger ikke for 5 mg pakningen p.t.). Årskostnaden er beregnet med dosering 1 mg/kg hver 2. uke i henhold til SPC. Det er tatt utgangspunkt i kroppsvekt 75 kg, og eksakt dosering (3x 20 mg + 3x 5 mg ved hver dosering). Månedskostnaden for Elfabrio er om lag [redacted] RHF-AUP. [redacted]

Kostnadseffektivitet

Kostnadseffektivitet er ikke beregnet.

Kostnadene i tabellen under viser øvrige legemidler i Fabry anskaffelsen med dagens priser (2199b, gjeldende tom. 31.10.2023) og med priser som vil gjelde i 2 år fra 01.11.2023 (2399b). Årskostnadene er beregnet for kroppsvekt 75 kg.

| Legemiddel | Årskostnad 2199b | Årskostnad 2399b | Dosering benyttet i beregning |
|-----------------------------|------------------|------------------|--------------------------------|
| Fabrazyme (agalsidase beta) | [redacted] | [redacted] | 2x 35 mg + 1x 5 mg hver 2. uke |
| Replagal (agalsidase alfa) | [redacted] | [redacted] | 17,5 mg hver 2. uke |
| Galafold (miglastat) | [redacted] | [redacted] | 1 kapsel hver 2. dag |

*Inkludert svinn

| Legemiddel | Årskostnad 2199b | Årskostnad 2399b | Dosering benyttet i beregning |
|---------------------------------|------------------|------------------|--------------------------------|
| Elfabrio (pegunigalsidase alfa) | n.a. | [redacted] | 3x 20 mg + 3x 5 mg hver 2. uke |
| Elfabrio (pegunigalsidase alfa) | n.a. | [redacted] | 4x 20 mg hver 2. uke |

Budsjettkonsekvenser

Det er ikke beregnet budsjettkonsekvenser for evt. innføring av pegunigalsidase alfa. Dersom legemiddelet innføres til tilbudt pris, [redacted]

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom pegunigalsidase alfa blir besluttet innført på møte i Beslutningsforum 28.08.2023, kan legemiddelet tas i bruk fra 01.10.2023, da prisen kan gjelde fra denne dato.



Informasjon om refusjon av pegunigalsidase alfa (Elfabrio) i andre land

Sverige: Ingen informasjon.

Danmark: Prosess pågår (søknad mottatt)¹.

Skottland (SMC): Ingen informasjon.

England (NICE/NHS): Metodevurdering pågår. Forventet beslutning september 2023².

Oppsummering

Legemiddelverket har oppsummert offentlig tilgjengelig dokumentasjon om pegunigalsidase alfa til Fabry sykdom basert på EPAR (European Public Assessment Report). Det foreligger ingen vurdering av kostnadseffektivitet. Det eksisterer en anskaffelse for legemidler til behandling av Fabry sykdom, hvor annen enzymerstatningsterapi for alfa-galaktosidasemangel inngår. Spesialistgruppa har i den nylig gjennomførte anskaffelsen 2399b Fabry foreløpig ikke ønsket at pegunigalsidase alfa skal konkurransenutsettes i sammenligningsgruppe med de mer velkjente legemidlene agalsidase alfa og agalsidase beta. Det er gitt inn tilbud på Elfabrio i den aktuelle anskaffelsen. [REDACTED]

[REDACTED] Dersom pegunigalsidase alfa blir besluttet innført på møte i Beslutningsforum 28.08.2023, kan legemiddelet tas i bruk fra 01.10.2023, da prisen kan gjelde fra denne dato.

Anne Marthe Ringerud
Fagsjef

Christina Kvalheim
Fagrådgiver

| Prosess | |
|--|------------|
| Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket | 12.07.2023 |
| Henvendelse til leverandør om prisopplysninger | 01.06.2023 |
| Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF | 15.06.2023 |
| Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF | 02.08.2023 |
| Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF | 21 dager |

¹ <https://medicinraadet.dk/igangvaerende-vurderinger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/pegunigalsidase-alfa-elfabrio-fabrys-sygdom>

² <https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-ta10790>