

# 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:** 21. juni 2022

## ID2021\_076: Velmanase alfa (Lamzede) - Behandling av ikke-nevrologiske manifestasjoner hos pasienter med mild til moderat alfa-mannosidose - Revurdering

### Bakgrunn

Vi viser til Legemiddelverkets forenklede metodevurdering av 6.1.2022. Dette er en revurdering av ID2017\_119, som ble besluttet ikke innført i 2018. Chiesi har levert en ny kostnad per QALY-analyse som sammenligner effekt og kostnader av Velmanase alfa (VA) mot standard støttebehandling (BSC). Legemiddelverket har, etter en helhetsvurdering, konkludert med at det ikke er mulig å gjennomføre en kostnad per QALY-analyse på grunn av mangler i foreliggende effektdokumentasjon og helseøkonomisk modell. I tillegg viser en gjennomgang av saken at prioriteringskriteriene sannsynligvis ikke er oppfylt med dagens prisnivå (maksimal AUP) for VA.

Etter innledende prisforhandlinger mellom Sykehusinnkjøp HF og leverandør (heretter Chiesi), leverte Chiesi 4.3.2022 et forslag til en alternativ prisavtale. I tråd med rammeverk for prisavtaler, avklarte Fagdirektørene i RHF-ene videre prosess for prisforslaget i møte 25.4.2022.

### Pristilbud

Chiesi har 31.5.2022 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP (NOK)	LIS-AUP inkl.mva. (NOK)	Periode
191374	Lamzede, pulver til infusjon, 10 mg, 1 stk	12251,70		
464015	Lamzede, pulver til infusjon, 10 mg, 5 stk	55 847,50		
464015	Lamzede, pulver til infusjon, 10 mg, 5 stk	55 847,50		
464015	Lamzede, pulver til infusjon, 10 mg, 5 stk	55 847,50		



Dette tilsvarer en årskostnad med tilbudt LIS-AUP på

- Om lag [REDACTED]
- om lag [REDACTED]
- om lag [REDACTED]

Med maksimalpris er årskostnaden om lag 4,7 millioner NOK. Årskostnaden er beregnet med dosering 1 mg/kg kroppsvekt én gang i uken for en pasient 75 kg i henhold til SPC. Månedskostnaden for Lamzede er om lag [REDACTED] LIS-AUP.

### Kostnadseffektivitet

I rapporten av 6.1.2022 har Legemiddelverket utført utforskende beregninger av inkrementell kostnadseffektivitet til VA, gitt forutsetningene beskrevet i metodevurderingen, som resulterte i en IKER på omtrent 8,2 millioner NOK per QALY (maks. AUP ekskl. mva.) for barn og 7,3 millioner NOK per QALY (maks. AUP ekskl. mva.) for voksne med alfa-mannosidose.

Legemiddelverket har oppdatert de utforskende beregningene av IKER med tilbudt rabattstruktur og tilbudspris, disse resulterte i en IKER på omtrent [REDACTED] per QALY (LIS-AUP ekskl. mva.) for barn og [REDACTED] per QALY (LIS-AUP ekskl. mva.) for voksne med alfa-mannosidose. Utforskende IKER var om lag [REDACTED] per QALY (LIS-AUP eks mva) for samlet populasjon.

Legemiddelverket har vurdert de veiledende kriteriene for ordning for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand:

- Legemiddelverket vurderer at kriteriet for særskilt liten pasientgruppe er oppfylt. Pasientantallet med alfa mannosidose er ifølge norske klinikere estimert til å være omtrent 6-12 i Norge, og prevalenstall fra litteraturen angir 1-2 pasienter pr. million innbyggere.
- Legemiddelverket vurderer at datagrunnlaget for den helseøkonomiske analysen er av for lav kvalitet til å kunne belyse naturlig sykdomsforløp, samt QALY-gevinsten og kostnadseffektiviteten til VA på en troverdig måte. Følgelig er det ikke mulig å beregne om kriterium 2 (svært alvorlig tilstand) og 3 (stor forventet nytte av legemiddel) er oppfylt. I den forrige metodevurderingen av VA ble absolutt prognosetap beregnet til 49 QALYs. I denne revurderingen har Chiesi beregnet at forventet nytte av VA er over 2 vunnet QALYs. Legemiddelverket vurderer imidlertid at forventet overlevelse i modellen, og følgelig QALY-gevinsten, ikke er et troverdig estimat.

### Budsjettkonsekvenser

I rapporten av 6.1.2022 har Legemiddelverket beregnet legemiddelutgifter til 4 pasienter som er aktuelle for behandling. Dette tilsvarer en årlig budsjettkonsekvens for spesialisthelsetjenestens legemiddelbudsjett på snaut NOK 16 mill. i året.

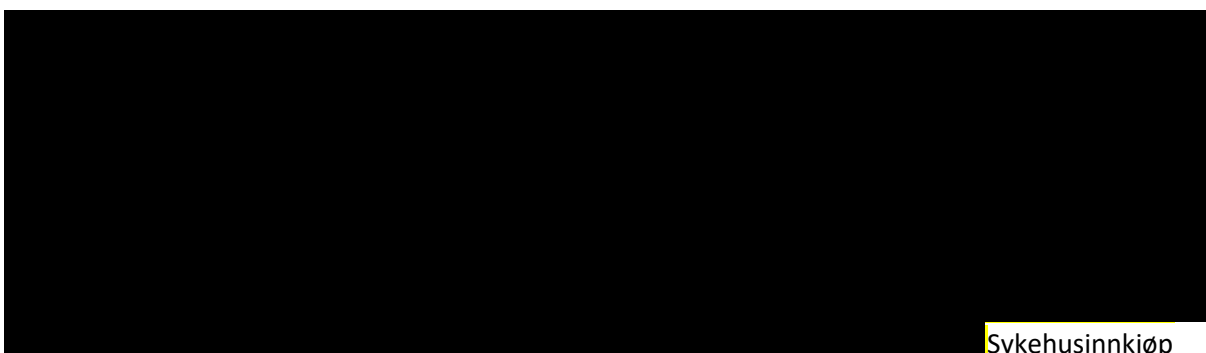


Legemiddelverket har vurdert legemiddelutgiftene for de fire pasientene med tilbudt rabattstruktur og legemiddelpris. Årlig legemiddelutgift vil være om lag [redacted] i år 1, synkende til [redacted] i år 5.

## Alternativ prisavtale

### Bakgrunn

Den tilbudte prisavtalen er en progressiv trinnbasert rabattstruktur med tre trinn, hvor trinn 1 inntreffer umiddelbart ved avtalestart, trinn 2 etter [redacted] år, og trinn 3 etter [redacted] år. Rabatten er foreslått å inntreffe ved bestemte datoer, slik at legemiddelpris synker over tid.



Sykehusinnkjøp

mener markeds- og konkurransesituasjonen fremover i tid er svært usikker, det kan komme medisinske nyvinninger og/eller oppdaterte effekt- og sikkerhetsdata for velmanase alfa (Lamzede) som gjør at behandling av ikke-nevrologiske manifestasjoner hos pasienter med mild til moderat alfa-mannosidose blir vesentlig endret. Dermed er det et risiko for at rabatten som tilbys frem i tid ikke lenger har særlig betydning. [redacted]

### Konseptgodkjenning

Vi viser til Interregionalt fagdirektørmøte 25.4.2022:

*Fagdirektørene ber Sykehusinnkjøp om å undersøke mulighetene for å gå videre med den foreslåtte fremtidige prisavtalen for Lamzede ved behandling av ikke-nevrologiske manifestasjoner hos pasienter med mild til moderat alfa-mannosidose med følgende føringer:*

- *Avtaleperioden kan ikke være lenger enn 6 år. (merknad: forslaget var [redacted] da det ble forelagt Interregionalt fagdirektørmøte)*
- *Forutsetning for inngåelse av avtale er at man i forhandlingene kommer fram til et kostnadseffektivt prisnivå.*

*Fagdirektørene oppfatter at dette er en pasientgruppe som er små og med alvorlig sykdommer. I vurderingen av kost-nytte vil dette tas i betraktning, men ønsker å se en progressiv avtale i noe kortere tid enn det det er lagt opp til.*

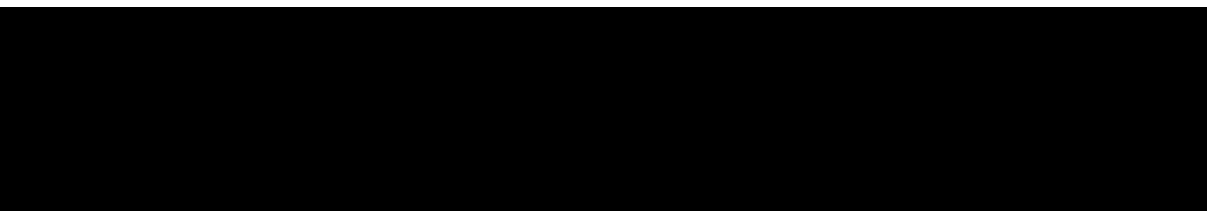
Avtaleforslaget imøtekommer føringer om avtaleperiodens varighet. Sykehusinnkjøp har ikke vurdert om avtaleforslag oppfyller føring om et kostnadseffektivt prisnivå, vi viser til Legemiddelverkets utforskende IKER oppdatert med tilbudt rabattstruktur og legemiddelpris.

### Sykehusinnkjøp HF sin vurdering

Sykehusinnkjøp mener selve prismodellen som er foreslått, og operasjonalisering av denne, er forholdsvis enkel og gjennomførbar. Rabatten foreslås å inntreffe ved bestemte datoer, slik at

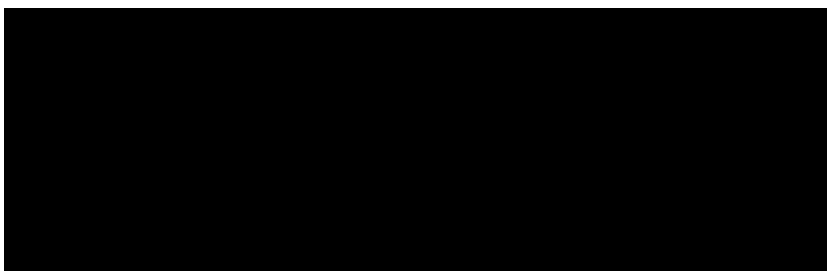


Sykehusinnkjøp ville kunne legge avtaleprisene inn i de relevante systemene for forskriving og oppgjør.



#### Utforming av foreslått avtale

Avtaleforslaget tar utgangspunkt i at Beslutningsforum behandler saken i møte 29.8.2022.



Det er ikke behov for å monitorere omsatt volum eller antall pasienter, ettersom rabattene vil inntreffe på avtalte tidspunkt. Sykehusinnkjøp vil varsle prisendring og legge inn nye priser slik at rabatten inntreffer på avtalt dato.

#### **Betydning for fremtidig anskaffelse**

Dersom velmanase alfa (Lamzede) besluttes innført på møte i Beslutningsforum 29.08.2022, kan legemiddelet tas i bruk fra 1.10.2022.

#### **Informasjon om refusjon av velmanase alfa (Lamzede) i andre land**

Sverige: ikke funnet informasjon

Danmark: Medicinrådet anbefaler ikke velmanase alfa som mulig standardbehandling til behandling af ikkeneurologiske manifestasjoner hos pasienter med mild til moderat alfa-mannosidose<sup>1</sup>. (28.6.2018)

Skottland (SMC): under vurdering<sup>2</sup>

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

#### **Oppsummering**

Sykehusinnkjøp har gjennomført prisforhandlinger for velmanase alfa (Lamzede). Leverandøren Chiesi har foreslått en alternativ avtale som er forelagt interregionalt Fagdirektørmøte, og forhandlingene er senere gjennomført med føringer fra Fagdirektørene. Den tilbudte prisavtalen er en progressiv trinnbasert rabattstruktur med tre trinn, hvor trinn 1 inntreer umiddelbart ved

<sup>1</sup> [https://medicinraadet.dk/media/xpwli2dl/medicinraadets-anbefaling-vedr-velmanase-alfa-alfa-mannosidose-10\\_adlegacy.pdf](https://medicinraadet.dk/media/xpwli2dl/medicinraadets-anbefaling-vedr-velmanase-alfa-alfa-mannosidose-10_adlegacy.pdf)

<sup>2</sup> <https://www.scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/velmanase-alfa-lamzede-ultra-orphan-smc2466/>

<sup>3</sup> <https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-hst10010>



avtalestart, trinn 2 etter [redacted] og trinn 3 etter [redacted] Rabatten er foreslått å inntreffe ved bestemte datoer, slik at legemiddelpris synker over tid.

Legemiddelverket har oppdatert de utforskende beregningene av IKER med tilbudt rabattstruktur og tilbudspris, disse resulterte i en IKER på omtrent [redacted] per QALY (LIS-AUP ekskl. mva.) for barn og [redacted] per QALY (LIS-AUP ekskl. mva.) for voksne med alfa-mannosidose. Utforskende IKER var om lag [redacted] per QALY (LIS-AUP eks mva) for samlet populasjon. Dersom velmanase alfa (Lamzede) besluttes innført på møte i Beslutningsforum 29.08.2022, kan legemiddelet tas i bruk fra 1.10.2022.

Asbjørn Mack  
Fagsjef

Anne Marthe Ringerud  
Fagrådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket	14.12.2021	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	14.1.2022	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	31.5.2022	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	21.6.2022	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	190 dager hvorav 138 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma og hvorav 46 dager i påvente av konseptgodkjenning. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 52 dager.	