

**Til:** Helse Nord RHF                      Fagdirektør                      Geir Tollåli  
Helse Vest RHF                      Fagdirektør                      Baard-Christian Schem  
Helse Sør-Øst RHF                      Fung. fagdirektør                      Lars Eikvar  
Helse Midt-Norge RHF                      Fagdirektør                      Björn Gustafsson  
Kopi: Sekretariat Bestillerforum v/ Gunn Fredriksen, Helse Midt-Norge RHF

**Fra:** Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler (LIS)

**Dato:** 10. september 2021

Unntatt offentligheten, ihht. forvaltningsloven § 13, 1. ledd

### **ID2017\_033 Cerliponase alfa (Brineura) til behandling av nevronal ceroid lipofuscinose type 2 (CLN2)- sykdom, også kjent som tripeptidyl-peptidase 1 (TPP1)-mangel.**

#### **Bakgrunn**

Vi viser til Legemiddelverkets rapport av 2. september 2021. Legemiddelverket har presentert resultater basert på innsendt dokumentasjon fra BioMarin. Legemiddelverket har ikke vurdert eller validert dokumentasjonen (gjelder både effektdata og innsendt helseøkonomisk analyse).

Legemiddelverket skriver at det ikke er kjente tilfeller av CLN2 i Norge nå. I Norge anslås nye tilfeller NCL til 2,5 pr 100.000 levende fødte, noe som tilsvarer ett til to nye tilfeller årlig.

Det er i dag ingen kurativ behandling for NCL.

#### **Pristilbud**

BioMarin har 23.4.2021 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP	LIS-AUP inkl. mva.
094586	Brineura, infusjonsvæske 30mg/ml 1 sett	307 125,90	

Dette tilsvarer en månedskostnad på [REDAKERT] NOK med tilbudt LIS-AUP. Månedskostnaden er beregnet med dosering 300 mg administrert en gang hver andre uke i henhold til SPC. Årskostnaden for Brineura er om lag [REDAKERT] NOK LIS-AUP.

#### **Kostnadseffektivitet**

Vi viser til Legemiddelverkets rapport, hvor BioMarin sin basecaseanalyse er oppdatert med aktuelt pristilbud.

Pris	Merkostnad per vunnet kvalitetsjusterte leveår (QALY)
Maks AUP uten mva.	7,9 millioner NOK/QALY
LIS pris mottatt 23.4.2021 uten mva	



Legemiddelverket vurderer at legemiddel kan oppfylle to av kriteriene for å kunne vurderes i henhold til ordning for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand, ved at det er en særskilt liten pasientgruppe, med en svært alvorlig tilstand. Legemiddelverket skriver at det er vanskelig å konkludere om nytten av behandling med cerliponase alfa tilfredsstillende kriteriet om forventet nytte uten å gjøre en mer grundig vurdering av de eksisterende data på klinisk effekt.

### Budsjettkonsekvenser

Vi viser til Legemiddelverkets rapport, hvor BioMarin sin budsjettberegning er oppdatert med aktuelt pristilbud.

Pris	Budsjettkonsekvenser
Maks AUP inkl. mva.	16 millioner NOK
LIS pris mottatt 23.4.2021 inkl. mva	

### Betydning for fremtidig anskaffelse

Ved en eventuell innføring i Beslutningsforum 25. oktober 2021, kan ny pris gjelde fra 15.11.2021.

### Informasjon om refusjon av cerliponase alfa (Brineura) i andre land

Sverige og Danmark: ingen informasjon

England (NICE/NHS): Cerliponase alfa is recommended as an option for treating neuronal ceroid lipofuscinosis type 2 (CLN2), also known as tripeptidyl peptidase 1 (TPP1) deficiency, only if the conditions in the managed access agreement are followed<sup>1</sup>. (27.11.2019)

Skottland (SMC): Scottish Government Medicines Policy Branch will notify Health Boards when this medicine is available for prescribing within the ultra-orphan pathway. Meantime any requests to access treatment should be considered through local non-formulary processes<sup>2</sup> (12.10.2020)

### Oppsummering

Legemiddelverket har behandlet pristilbudet fra BioMarin i sin rapport. Legemiddelverket skriver «for at cerliponase alfa skal kunne vurderes å oppfylle prioriteringskriteriene må legemiddelprisen for cerliponase alfa minst ned på at nivå som gjør at basecaseanalysen til BioMarin kan anses som kostnadseffektiv.»

Asbjørn Mack  
Fagsjef

Anne Marthe Ringerud  
Fagrådgiver

<sup>1</sup> <https://www.nice.org.uk/Guidance/HST12/chapter/1-Recommendations>

<sup>2</sup> <https://www.scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/cerliponase-alfa-brineura-ultra-orphan-pathway-smc2286/>



Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket	12.3.2021	Rapporten mottatt 3.9.2021
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	19.3.2021	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp	23.4.2021	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp	10.9.2021	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp	183 dager hvorav 36 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma, og hvorav 134 dager i påvente av endelig metodevurderingsrapport. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 14 dager.	