

# 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	Trude Basso

**Kopi:** Sekretariat Nye metoder**Fra:** Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler**Dato:** 27. september 2024

**ID2022\_099: Human alfa-1-proteinasehemmer (Respreeza) som vedlikeholdsbehandling for å bremse progresjonen av emfysem hos voksne med dokumentert alvorlig  $\alpha$ 1-proteinasehemmermangel (f.eks. genotypene PiZZ, PiZ(null), Pi(null,null), PiSZ). Pasienten skal være under optimal behandling og vise tegn på progressiv lungesykdom og være vurdert av helsepersonell med erfaring med behandling av  $\alpha$ 1-proteinasehemmermangel.**

## Bakgrunn

Det vises til metodevurderingsrapport fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) datert 24.06.2024 samt godkjent SPC. Metodevurderingen inneholder en forenklet metodevurdering der behandling med Human alfa-1-proteinasehemmer (Prolastina og Respreeza) er vurdert i en budsjettkonsekvensanalyse.

Det er per i dag to alfa1-proteinasehemmere som har godkjent markedsføringstillatelse. Prolastina fikk markedsføringstillatelse i 2008, og Respreeza i 2015.

Godkjent indikasjon:

*Vedlikeholdsbehandling for å bremse progresjonen av emfysem hos voksne med dokumentert alvorlig  $\alpha$ 1-proteinasehemmermangel (f.eks. genotypene PiZZ, PiZ(null), Pi(null,null), PiSZ). Pasienten skal være under optimal farmakologisk og ikke-farmakologisk behandling og vise tegn på progressiv lungesykdom (f.eks. lavere forsert ekspiratorisk volum pr. sekund (FEV1) enn forventet, svekket gangkapasitet eller økt antall eksaserbasjoner), vurdert av helsepersonell med erfaring med behandling av  $\alpha$ 1-proteinasehemmermangel.*



## Pristilbud

CSL Behring har 20.09.2024 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
064267	Respreeza, pulver og væske til infusjonsvæske, 1000 mg	3 940,90 NOK	
593419	Respreeza, pulver og væske til infusjonsvæske 4000 mg	16 553,50 NOK	
398309	Respreeza, pulver og væske til infusjonsvæske 5000 mg	22 466,80 NOK	

Dette tilsvarer en årskostnad på [redacted] med tilbudt RHF-AUP og 1 027 450 NOK med maks AUP. Årskostnaden er beregnet med dosering 60 mg/kg kroppsvekt 1 gang per uke i henhold til SPC. Månedskostnaden for Respreeza er [redacted] RHF-AUP. Beregningene tar utgangspunkt i en pasient med 75 kg kroppsvekt og inkluderer svinn.

## Kostnadseffektivitet

Det er ikke gjort beregning av kostnadseffektivitet i denne saken.

DMP skriver at i tillegg til legemiddelkostnad kommer kostnad forbundet med administrasjon av legemidlet på om lag 175 000 NOK pr år.

## Budsjettkonsekvenser

Basert på anslag fra medisinske fagekspertar antar DMP at om lag 80 pasienter vil være aktuelle for behandling med A1AT per år, og at det vil tilkomme rundt 8 nye pasienter per år, estimatene er svært usikre.

DMP har beregnet følgende budsjettkonsekvenser for spesialisthelsetjenestens legemiddelbudsjett

Pris	Budsjettkonsekvenser
Maks AUP inkl. mva.	114 759 008 NOK
Avtalepris mottatt 20.09.2024 inkl. mva.	[redacted]

Budsjettberegningene er usikre og forenklede, og vil være avhengig av antall pasienter som ender opp med å motta behandlingen

## Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom Respreeza blir besluttet innført av Beslutningsforum 21.10.2024 kan legemiddelet tas i bruk fra 01.12.2024 for denne indikasjonen, da ny pris kan gjelde fra denne datoen



## Informasjon om refusjon av Human alfa-1-proteinasehemmer (Respreeza) i andre land

Sverige: Under vurdering, datert 12.06.2024<sup>1</sup>

Danmark: Innført, datert 24.04.2020<sup>2</sup>: *Medicinerådet anbefaler human alfa-1-antitrypsin som mulig standardbehandling til alvorlig alfa-1-antitrypsinmangel. Medicinerådet vurderer, at der er et rimeligt forhold mellem lægemidlets værdi og omkostningerne ved behandlingen. Anbefalingen gælder for patienter, som opfylder følgende kriterier:*

- Progredierende emfysem\*
- Genotype PiZZ
- FEV1 35-70 % af forventet
- Dokumenteret rygeophør minimum seks måneder før behandlingsstart

*\*Progredierende emfysem betragtes som påvist, når CT-skanning har dokumenteret emfysem med samtidig nedsat lungefunktion (FEV1 35-70 %).*

Skottland (SMC): Ikke innført, datert 08.08.2016<sup>3</sup>

England (NICE/NHS): Saksbehandling avsluttet, datert 28.03.2024<sup>4</sup>: *NICE is unable to make a recommendation on human alpa1-proteinase inhibitor (Respreeza) for treating emphysema in adults. CSL Behring UK has confirmed that it does not intend to launch the product in England and Wales. The reasons for this decision are primarily related to the company's inability to offer the product at a price to meet the current threshold of cost effectiveness*

### Oppsummering

Metodevurderingen fra DMP inneholder en forenklet metodevurdering der behandling med Human alfa-1-proteinasehemmer (Prolastina og Respreeza) er vurdert i en budsjettkonsekvensanalyse.

Behandling med Respreeza har en årskostnad på [REDACTED] med tilbudt RHF-AUP og månedskostnaden er på [REDACTED] RHF-AUP.

Dersom Respreeza blir besluttet innført av Beslutningsforum 21.10.2023 kan legemiddelet tas i bruk fra 01.12.2024 for denne indikasjonen, da ny pris kan gjelde fra denne datoen.

Anne Marthe Ringerud  
Fagsjef

Lea Nga Tran  
Fagrådgiver

<sup>1</sup> <https://samverkanlakemedel.se/produktinfo/respreeza-alfa-1-proteinashammare>

<sup>2</sup> <https://medicineradet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/a/alfa-1-antitrypsin-respreeza-og-prolastina-alvorlig-alfa-1-antitrypsinmangel>

<sup>3</sup> <https://scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/human-alpha-1-proteinase-inhibitor-respreeza-fullsubmission-115716/>

<sup>4</sup> <https://www.nice.org.uk/guidance/ta965>



Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	17.06.2024	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	17.06.2024	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	20.09.2024	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	27.09.2024	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	103 dager hvorav 96 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 7 dager.	