

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: 25.09.2023

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

Bakgrunn

Det vises til notat fra Legemiddelverket datert 12.07.2023, samt til prisnotat datert 02.08.2023 og til påfølgende beslutning i Beslutningsforum 28.08.2023:

1. Pegunigalsidase alfa (Elfabrio) innføres ikke til langsiktig enzymerstatningsbehandling hos voksne pasienter med en bekreftet diagnose av Fabrys sykdom (mangel på alfa-galaktosidase)
2. Det er ikke dokumentert at nytten står i et rimelig forhold til prisen på legemidlet.
3. Sykehusinnkjøp bes gjenoppta forhandlingene med leverandør

Etter videre forhandlinger er det mottatt et nytt pristilbud for Elfabrio som presenteres her.

Godkjent indikasjon for Elfabrio (pegunigalsidase alfa):

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.

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

Det er nylig utlyst en ny anbudskonkurranse, 2399b Fabry, med planlagt oppstart 01.11.2023 og varighet 24 mnd. 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 22.09.2023 etter ny 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 (uten svinn) 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 beregnet på denne måten.

Det er tidligere gitt inn tilbud for det aktuelle bruksområdet (ID2022_124). Dette lå til grunn for negativ beslutning 28.08.2023:

Prisnotat	Datert	Månedskostnad RHF-AUP inkl. mva.	Årskostnad RHF-AUP inkl. mva.
1*	02.08.2023	[redacted]	[redacted]

*Dosering 3x 20 mg + 3x 5 mg

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 tilbud av 22.09.2023	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

*Inkludert svinn



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 23.10.2023, kan legemiddelet tas i bruk fra 01.12.2023, 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 4. oktober 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 konkurransesettes i sammenligningsgruppe med de mer velkjente legemidlene agalsidase alfa og agalsidase beta.. [REDACTED]

[REDACTED] Dersom pegunigalsidase alfa blir besluttet innført på møte i Beslutningsforum 23.10.2023, kan legemiddelet tas i bruk fra 01.12.2023, da prisen kan gjelde fra denne dato.

Anne Marthe Ringerud
Fagsjef

Christina Kvalheim
Fagrådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket	n.a.	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	28.08.2023	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	22.09.2023	

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

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



Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	25.09.2023	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	3 dager	