

Saksnummer: 178-24

## NOTAT TIL BESTILLERFORUM

<b>Til:</b>	Bestillerforum
<b>Fra:</b>	Direktoratet for medisinske produkter (DMP)
<b>Dato:</b>	

### Hva saken omhandler i korte trekk

Finansieringsansvaret for deflazakort til behandling av Duchennes muskeldystrofi (DMD) er plassert hos de regionale helseforetakene fra 1. november 2024.

### Bakgrunn for saken

Deflazakort (Deflazacort XGX Pharma<sup>1</sup>) fikk markedsføringstillatelse i januar 2024 til Duchennes muskeldystrofi (DMD) hos pasienter fra 2 års alder. Fra før har deflazakort indikasjon for en rekke inflammatoriske sykdommer.

Pasienter med DMD har tidligere fått stønad av Helfo til uregistrert deflazakort (Calcort) via ordningen med individuell stønad på blå resept. Når det nå har kommet deflazakort med markedsføringstillatelse for DMD, blir søknader om godkjenningfritak for Calcort som hovedregel ikke lenger innvilget av DMP. Helfo innvilger ikke individuell stønad for Deflazacort XGX siden denne ikke er metodevurdert. Dette har medført at nye pasienter med DMD ikke har fått stønad til deflazakort.

Helsedirektoratet har besluttet at finansieringsansvaret for deflazakort (ATC-nr. H02AB13) plasseres hos de regionale helseforetakene fra 1. november 2024.

---

<sup>1</sup> Tidligere handelsnavn: Deflazacort Vital Pharma Nordic

Preparat	Deflazacort XGX
Virkestoff	deflazakort
ATC-nr.	H02AB13
Legemiddelfirma	XGX Pharma
Aktuell indikasjon	Duchennes muskeldystrofi (DMD) hos pasienter fra 2 års alder
Øvrige indikasjoner	<ul style="list-style-type: none"> <li>– Revmatiske og kollagene sykdommer - intensivering av behandling og/eller vedlikeholdsbehandling av revmatoid artritt og psoriasis artritt når konservative behandlinger har vist seg å være ineffektiv; polymyalgia revmatika; akutt revmatisk feber; systemisk lupus erythematosus; alvorlig dermatomyositt; polyarteritisnodosa og kranialartritt.</li> <li>– Dermatologiske sykdommer - generalisert eksfoliativ dermatitt; alvorlig erythema multiforme og erythema nodosum.</li> <li>– Allergiske sykdommer - anafylaksi, astma og alvorlige overfølsomhetsreaksjoner.</li> <li>– Lungesykdommer - eksogen allergisk alveolitis (pneumokoniose på grunn av organisk pulver).</li> <li>– Okulær patologi - koroiditt; koroidoretinitt; iritt og iridosyklitt.</li> <li>– Hepatisk og gastrointestinal patologi - Ulcerøs kolitt; Crohns sykdom og kronisk aktiv hepatitt.</li> <li>– Nyresykdommer - nefrotisk syndrom.</li> </ul>
MT legemiddel	02-09-2021. Markedsført i Norge fra 01-12-2022.
MT aktuell indikasjon	19-01-2024
Virkningsmekanisme	Deflazakort er et syntetisk glukokortikoid med antiinflammatoriske egenskaper som ligner på andre kortikoider.
Dosering og administrasjonsmåte	Tabletter til oral bruk. Den anbefalte dosen hos DMD-pasienter fra 2 års alder er ca. 0,9 mg/kg/dag administrert en gang daglig. Dosen skal alltid være den laveste dosen som er nødvendig for å kontrollere symptomene.
Klinisk effekt	<p>Deflazacort XGX fikk markedsføringstillatelse for DMD på bakgrunn av en artikkel 10a (<i>well-established use</i><sup>2</sup>)-søknad som ble sendt inn i Danmark, Sverige, Finland, Nederland og Norge. Søknaden er basert på bruk i klinisk praksis over tid samt dokumentasjon av effekt og sikkerhet fra publisert litteratur, ikke nye kliniske studier.</p> <p>Behandling med glukokortikoider (prednisolon eller deflazakort) kan forlenge gående fase og dermed bremse sykdomsutviklingen hos pasienter med DMD (2). Det ser også ut til at slik behandling reduserer utviklingen av skoliose, og det er holdepunkter for at sykdommens negative påvirkning på pustefunksjon og eventuelt også på hjertefunksjon bremses (2).</p>
Bivirkninger	Behandlingen har plagsomme og til dels alvorlige bivirkninger for mange av pasientene. Svært vanlige bivirkninger (kan forekomme hos flere enn 1 av 10 personer) er infeksjon i øvre luftveier, forkjølelse, vektøkning med hevelse i ansiktet ("månefjes"), ekstra kroppshår, økt appetitt, økt magefett, hodepine, hoste, forstoppelse, magesmerter, rødhet i huden, hyppig vannlating, og benbrudd.
Dagens behandling	<p>Glukokortikoider (prednisolon eller deflazakort) er etablert behandling ved DMD. Internasjonalt anbefales oppstart av behandling med glukokortikoider når motorisk utvikling flater ut, vanligvis fra fire- til sjuårsalder (2).</p> <p>Det medisinske fagmiljøet forteller at det er deflazakort som har blitt brukt de siste årene i Norge, og at de har gått bort fra å bruke prednisolon.</p>

<sup>2</sup> In cases where an active ingredient of a medicine has been used for more than 10 years and its efficacy and safety have been well established, application for marketing authorization may be based on results from the scientific literature.

Kostnader	<p>Deflazakort finnes som tablett i styrkene 6 mg og 30 mg. Det er bare 6 mg som er markedsført i Norge.</p> <p>Prisen per pakning (60 tablett á 6 mg) er 1 477,10 NOK (maks AUP inkl. mva.).</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>– For en pasient som veier 15 kg, er veiledende daglig dose 12 mg (2 tablett), og dette tilsvarer en årskostnad på om lag 18 000 NOK.</li> <li>– For en pasient som veier 70 kg, er veiledende daglig dose 60 mg (10 tablett), og dette tilsvarer en årskostnad på om lag 90 000 NOK.</li> </ul>										
Pasientgrunnlag i Norge	<p>I Norge er det anslått at det finnes godt over 100 gutter og menn med DMD (2).</p> <p>Antall brukere av deflazakort (H02AB13) har økt fra 64 i 2019 til 86 i 2023 ifølge tall fra Legemiddelregisteret, Folkehelseinstituttet (se tabell). Indikasjon er ikke spesifisert i disse tallene.</p> <table border="1" data-bbox="507 636 1385 694"> <thead> <tr> <th>År</th> <th>2019</th> <th>2020</th> <th>2021</th> <th>2022</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>Antall brukere</td> <td>64</td> <td>66</td> <td>72</td> <td>81</td> </tr> </tbody> </table>	År	2019	2020	2021	2022	Antall brukere	64	66	72	81
År	2019	2020	2021	2022							
Antall brukere	64	66	72	81							
Kilder	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. <a href="#">Preparatomtale Deflazacort XGX</a></li> <li>2. <a href="#">Duchennes muskeldystrofi - Helsenorge</a></li> <li>3. Birnkrant DJ, Bushby K, Bann CM, Apkon SD, Blackwell A, Brumbaugh D, et al. Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 1: diagnosis, and neuromuscular, rehabilitation, endocrine, and gastrointestinal and nutritional management. <i>The Lancet Neurology</i>. 2018;17(3):251-67.</li> <li>4. Birnkrant DJ, Bushby K, Bann CM, Alman BA, Apkon SD, Blackwell A, et al. Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 2: respiratory, cardiac, bone health, and orthopaedic management. <i>The Lancet Neurology</i>. 2018;17(4):347-61.</li> </ol>										

### Anbefaling til Bestillerforum

Det er behov for at RHF-ene beslutter om deflazakort skal kunne forskrives på H-resept til pasienter med DMD.

DMP har opplyst saken i dette notatet, og vurderer at en metodevurdering i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker.