

# 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 for Nye metoder**Fra:** Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler**Dato:** 30.10.2024

**ID2024\_044: Ivakaftor (Kalydeco) som monoterapi til barn 1-4 måneder (fra 3 kg) med cystisk fibrose, som har en av følgende mutasjoner i CFTR-genet: R117H, G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N eller S549R**

## Bakgrunn

Det vises til møte i Bestillerforum 21.10.2024 der følgende oppdrag ble bestilt:

*Et prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF for ivakaftor (Kalydeco) som monoterapi til barn 1-4 måneder (fra 3 kg) med cystisk fibrose, som har en av følgende mutasjoner i CFTR-genet: R117H, G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N eller S549R.*

Aktuell indikasjon ble godkjent i EMA 25.04.2024.

Aktuell godkjent indikasjon:

*Kalydeco granulat er indisert som monoterapi til behandling av spedbarn fra minst 1 måneds alder, småbarn og barn, som veier fra 3 kg til mindre enn 25 kg med cystisk fibrose (CF), som har en R117H-mutasjon eller en av følgende regulerings (klasse III)-mutasjoner i CFTR-genet: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N eller S549R.*

Ivakaftor som monoterapi er tidligere besluttet innført ved følgende indikasjon:

- ID2018\_110: til behandling av barn over 5 kg, og voksne med cystisk fibrose (beslutningsdato 25.04.2022).

Den foreliggende metoden omfatter en utvidelse av tidligere innført bruksområde, til bruk hos barn fra 1 måneds alder som veier fra 3 kg, med tilhørende ny pakning/styrke tilpasset den nye pasientpopulasjonen.



## Pristilbud

Vertex har 24.10.2024 bekreftet at følgende priser skal ligge til grunn for beslutning:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
71022	Kalydeco granulater i dosepose, 13,4 mg, 56 doseposer	166 850,90 NOK	

Dette tilsvarer en årskostnad på [redacted] med tilbudt RHF-AUP for barn 1–2 måneder, og en årskostnad på [redacted] med tilbudt RHF-AUP for barn 2–4 måneder. Tilsvarende beregninger med maksimal AUP er henholdsvis 1 087 511 NOK og 2 175 021 NOK.

Årskostnadene er beregnet med dosering ivakaftor 13,4 mg én gang daglig for barn 1–2 måneder, og ivakaftor 13,4 mg to ganger daglig for barn 2–4 måneder, i henhold til SPC.

Månedskostnaden for Kalydeco er [redacted] NOK RHF-AUP (barn 1–2 måneder) og [redacted] NOK RHF-AUP (barn 2–4 måneder).

## Kostnadseffektivitet

Det er ikke beregnet kostnadseffektivitet ved bruk av ivakaftor som monoterapi til aktuell pasientpopulasjon.

## Budsjettkonsekvenser

Det er ikke beregnet budsjettkonsekvenser ved innføring av ivakaftor til aktuell indikasjon.

Dagens forbruk av ivakaftor som monoterapi ved innført indikasjon er svært lavt, og en utvidelse av godkjent bruk til pasienter 1–4 måneder over 3 kg vil kun medføre at pasienter kan starte behandling noen måneder tidligere enn de kan i dag.

## Alternativ prisavtale

I forbindelse med opprinnelig innføring av Kaftrio til behandling av cystisk fibrose ble det inngått en alternativ prisavtale. [redacted]

## Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom ivakaftor blir besluttet innført av Beslutningsforum 09.12.2024 kan legemiddelet tas i bruk fra 15.01.2025 for denne indikasjonen, da ny pris kan gjelde fra denne datoen.

## Informasjon om refusjon av ivakaftor (Kalydeco) i andre land

Sverige: Besluttet innført som monoterapi til behandling av barn fra 4 måneder og eldre<sup>1</sup>. Ingen beslutning identifisert vedr. barn 1–4 måneder.

<sup>1</sup> [https://www.tlv.se/download/18.6215663d1846202c22e7cc3f/1668779047414/bes221118\\_kalydeco\\_1913-2022.pdf](https://www.tlv.se/download/18.6215663d1846202c22e7cc3f/1668779047414/bes221118_kalydeco_1913-2022.pdf)



Danmark: 1.oktober 2018 ble det inngått en porteføljeavtale mellom Amgros og Vertex. Avtalen er 4-årig med mulighet til forlengelse, og innebærer at et fast årlig beløp uavhengig av hvor mange pasienter som behandles, og uavhengig av hvilke CFTR-modulatorer fra Vertex som forskrives<sup>2</sup>.

Skottland (SMC) og England (NICE/NHS): Det er inngått en avtale om interimtilgang til CFTRmodulatorer med samtidig datainnsamling. Som del av avtalen, har Vertex forpliktet seg til å sende dokumentasjon for Orkambi, Symkevi og Kaftrio til NICE innen en avtalt tidsramme. Avtalen gjelder frem NICE sin anbefaling basert på en metodevurdering av nye data er publisert eller terminering av tilgangsavtalen mellom NHSE&I og Vertex via NHS<sup>34</sup>.

## Oppsummering

Ivakaftor som monoterapi har vært innført til behandling av barn over 5 kg, og voksne med cystisk fibrose siden april 2022.

Dersom ivakaftor blir besluttet innført av Beslutningsforum 09.12.2024 kan legemiddelet tas i bruk fra 15.01.2025 for denne indikasjonen, da ny pris kan gjelde fra denne datoen.

Anne Marthe Ringerud  
Fagsjef

Morten Søndena  
Fagrådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	n.a.	Oppdrag bestilt i Bestillerforum 21.10.2024.
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	23.10.2024	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	24.10.2024	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	30.10.2024	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	8 dager hvorav 1 dag i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 7 dager.	

<sup>2</sup> <https://www.amgros.dk/om-amgros/nyheder/aftale-sikrer-pasienter-med-cystisk-fibrose-nyeste-behandling/>

<sup>3</sup> <https://scottishmedicines.org.uk/about-us/latest-update/joint-statement-nice-and-smchis-collaboration-on-mta-for-cystic-fibrosis/>

<sup>4</sup> <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance/data-collection-agreement>