

Notat

Til:

Helse Nord RHF	Fagdirektør	Geir Tollåli
Helse Vest RHF	Fagdirektør	Bjørn Egil Vikse
Helse Sør-Øst RHF	Fagdirektør	Lars Eikvar
Helse Midt-Norge RHF	Fagdirektør	Bjørn Inge Gustafsson

Kopi: Sekretariat Bestillerforum v/Ingvild Klevan, Helse Midt-Norge RHF

Fra: Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler**Dato:** 16.01.2023

ID2020_039: Metreleptin (Myalepta) som tillegg til kosthold som erstatningsterapi for å behandle komplikasjoner ved leptinmangel hos pasienter med lipodystrofi (LD):

- med bekreftet medfødt generalisert LD (Berardinelli-Seip syndrom) eller ervervet generalisert LD (Lawrence syndrom) hos voksne og barn fra 2 år og eldre
- med bekreftet familiær partiell LD eller ervervet partiell LD (Barraquer-Simons syndrom), hos voksne og barn fra 12 år og eldre der standardbehandlinger har mislyktes i å oppnå adekvat metabolsk kontroll

Bakgrunn

Det vises til metodevurdering datert 15.11.2021 fra Legemiddelverket med en oppsummering av effekt, sikkerhet og kostnader av Myalepta i henhold til bestilling ID2020_039¹ og godkjent preparatomtale. Legemiddelverkets metodevurdering består av en oppsummering av Amryt Pharmaceuticals innsendelse til NICE, vurderingene utført av Evidence Review Group og konklusjoner av NICE-komiteen angående kostnadseffektivitet. Legemiddelverket har dermed ikke gjort egne vurderinger i metodevurderingen.

Myalepta ble behandlet i Beslutningsforum 23.05.2022, med følgende beslutning:

1. Metreleptin (Myalepta) innføres ikke som tillegg til kosthold som erstatningsterapi for å behandle komplikasjoner ved leptinmangel hos pasienter med lipodystrofi (LD):
 - med bekreftet medfødt generalisert LD (Berardinelli-Seip syndrom) eller ervervet generalisert LD (Lawrence syndrom) hos voksne og barn fra 2 år og eldre
 - med bekreftet familiær partiell LD eller ervervet partiell LD (Barraquer-Simons syndrom), hos voksne og barn fra 12 år og eldre der standardbehandlinger har mislyktes i å oppnå adekvat metabolsk kontroll

1

https://nyemetoder.no/Documents/Rapporter/ID2020_039_Metreleptin_Myalepta_tilleggsbehandling%20leptinmangel%20med%20lipodystrofi%20subgruppe%20-%20hurtig%20metodevurdering%20-%20offentlig%20versjon.pdf



2. Prisen er for høy i forhold til den dokumenterte nytten. Det er gjort en vurdering av at denne saken faller innenfor rammene av ordningen for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand, men på tross av økt betalingsvillighet som gjelder for denne gruppen, er kostnaden for høy sett i forhold til dokumentert nytte.
3. Sykehusinnkjøp bes gjenoppta forhandlingene med leverandør

Sykehusinnkjøp mottok et nytt pristilbud fra Amryt Pharmaceuticals 05.10.2022. Tilbudet ble ikke vurdert som godt nok til at Myalepta kunne innføres i spesialisthelsetjenesten, og Sykehusinnkjøp ble bedt om å fortsette prisforhandlingene med Amryt.

Den 16. desember 2022 ble det sendt inn forslag til Nye metoder om å vurdere subpopulasjonen av pasienter med generalisert LD separat². Basert på metodevurderingen fra Legemiddelverket er denne subpopulasjonen assosiert med høyere nytte og høyere alvorlighet enn totalpopulasjonen og subpopulasjonen med partiell LD. Kostnad per QALY for denne pasientpopulasjonen er derfor vesentlig lavere enn for både totalpopulasjonen og subpopulasjonen med partiell LD. Dette resulterer i at man kan akseptere en høyere pris på Myalepta dersom man kun legger subpopulasjonen med generalisert LD til grunn for beslutningen.

Den 12. januar 2023 mottok Sykehusinnkjøp et nytt pristilbud på Myalepta.

Pristilbud

Amryt Pharmaceuticals har 12.01.2023 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP	LIS-AUP inkl.mva.
535732	3mg pulver til inj.væske (30 stk)	207 933,40 NOK	
090719	5,8mg pulver til inj.væske (30 stk)	414 144,40 NOK	
083492	11,3mg pulver til inj.væske (30 stk)	825 915,00 NOK	

Dette tilsvarer en årskostnad på [redacted] for henholdsvis kvinner og menn, med tilbudt LIS-AUP. Månedskostnaden for Myalepta blir da om lag [redacted] for kvinner og [redacted] for menn med LIS-AUP. Kostnadene er beregnet med standarddosering i henhold til SPC for en pasient på 75 kg. Årskostnad med maks AUP er om lag 5 millioner NOK for kvinner og 2,5 millioner NOK for menn. Dette gir månedskostnader på ca. 420 000 NOK og ca. 210 000 NOK for henholdsvis kvinner og menn.

For pasienter som har behov for oppjustering av dosen vil årskostnadene øke. For pasienter som har behov for høyeste dose er årskostnaden [redacted] med LIS-AUP og 10 048 633 NOK med maks AUP.



Kostnadseffektivitet

Legemiddelverket har oppdatert IKER med det nye pristilbudet i den engelske modellen.

Pasientgruppe	Merkostnad per vunnet kvalitetsjusterte leveår (QALY) (maks AUP)	Merkostnad per vunnet kvalitetsjusterte leveår (QALY) (LIS AUP)
Totalpopulasjon: generalisert og partiell LD	8 010 561 NOK/QALY	
Generalisert LD	6 493 107 NOK/QALY	
Partiell LD	9 866 231 NOK/QALY	

Budsjettkonsekvenser

Oppdaterte beregninger³ fra Legemiddelverket ga følgende budsjettkonsekvenser:

Pris	Budsjettkonsekvenser
Maks AUP inkl. mva.	20,2 millioner NOK
Avtalepris mottatt 12.01.2023 inkl. mva	

Kliniske eksperter har identifisert 4 pasienter med generalisert LD i den norske barnepopulasjonen.

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom Myalepta får positiv beslutning i Beslutningsforum 23. januar, kan det tas i bruk fra 01.03.2023 gitt at Myalepta da er markedsført i Norge.

Informasjon om refusjon av metreleptin (Myalepta) i andre land

England (NICE/NHS): Legemiddelet ble innført 24.02.2021, med planlagt revurdering i 2024.

- *Metreleptin is recommended, within its marketing authorisation, as an option for treating the complications of leptin deficiency in lipodystrophy for people who are 2 years and over and have generalised lipodystrophy.*
- *Metreleptin is recommended as an option for treating the complications of leptin deficiency in lipodystrophy for people who are 12 years and over, have partial lipodystrophy, and do not have adequate metabolic control despite having standard treatments. It is only recommended if they have an HbA1c level above 58 mmol/mol (7.5%), or fasting triglycerides above 5.0 mmol/litre, or both.*
- *This recommendation is not intended to affect treatment with metreleptin that was started in the NHS before this guidance was published. People having treatment outside this recommendation may continue without change to the funding arrangements in place for them before this guidance was published, until they and their NHS clinician consider it*

³ Beregningene er basert på fire pasienter og følgende fordeling av hetteglass basert på Addenbrooke's Hospital Early Access Program og innspill fra britiske klinikere: 13,0 % av pasienter får 11,3 mg, 60,9 % av pasienter får 5,8 mg, og 26,1 % av pasienter får 3 mg.



appropriate to stop. This decision should be made jointly by the clinician, the child or young person and their parents or carers.

Sverige: ingen informasjon

Danmark: ingen informasjon

Skottland: pågående vurdering.

Oppsummering

Legemiddelverket har oppdatert metodevurderingen av Myalepta fra 2021 med nytt pristilbud fra Amryt Pharmaceuticals. Resultatene fra de oppdaterte analysene vedrørende kostnadseffektivitet og budsjettkonsekvenser er gjengitt i dette notatet. Beslutningsforum har tidligere vurdert at Myalepta faller innenfor rammene av ordningen for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand. Kliniske eksperter i Norge har sendt forespørsel til Nye metoder om at subgruppen av pasienter med generalisert LD bør vurderes separat.

Asbjørn Mack
Fagsjef

Kristian Samdal
Fagrådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket	N/A	Fikk nei i Beslutningsforum 23.05.2022. Sykehusinnkjøp har ikke mottatt ny dokumentasjon utover nytt pristilbud.
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	23.05.2022	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	12.01.2023	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	16.01.2023	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	239 dager hvorav 169 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 70 dager.	