

Til: Helse Nord RHF Fagdirektør Geir Tollåli
Helse Vest RHF Fagdirektør Baard-Christian Schem
Helse Sør-Øst RHF Fagdirektør Jan Christian Frich
Helse Midt-Norge RHF Fagdirektør Björn Gustafsson
Kopi: Sekretariat Bestillerforum v/ Gunn Fredriksen, Helse Midt-Norge RHF

Fra: Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler (LIS)

Dato: 10. Mars 2021

Unntatt offentligheten, ihht. forvaltningsloven § 13, 1. ledd

ID2018_100: Pegvaliase (Palynziq) til behandling av Føllings sykdom (fenyktonuri)

Bakgrunn

Vi viser metodevurdering av 15.7.2021 hvor Legemiddelverket har vurdert prioriteringskriteriene knyttet til nytte, ressursbruk og alvorlighetsgrad ved bruk av Palynziq i samsvar med bestilling ID2018_100 - Pegvaliase til behandling av Føllings sykdom (fenyktonuri) og godkjent preparatomtale.

I metodevurderingen er behandling med pegvaliase i kombinasjon med diett, sammenlignet med diettbehandling alene og eventuelt tilleggshandling med en kofaktor til PAH-enzymet, BH4 (tetrahydrobiopterin) i et livstidsperspektiv.

Legemiddelverket skriver at det trolig er om lag 50 voksne pasienter som lever med ukontrollert fenyktonuri i Norge. På grunn av bivirkninger som er forbundet med pegvaliase er antall pasienter som er aktuelle for behandling lavere, om lag 20 personer.

Pristilbud

BioMarin har 23.2.2021 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP	LIS-AUP inkl. mva.
169410	Palynziq, Inj.væske, oppl i ferdigfylt sprøyte 2.5 mg	3901,80	
111803	Palynziq, Inj.væske, oppl i ferdigfylt sprøyte 10 mg	3901,80	
187136	Palynziq, Inj.væske, oppl i ferdigfylt sprøyte 20 mg	3901,80	

Dette tilsvarer en månedskostnad på [REDACTED] NOK første år og [REDACTED] NOK andre og påfølgende år med tilbudt LIS-AUP. Månedskostnaden er beregnet med maksimal anbefalt dosering i henhold til SPC. Årskostnaden for Palynziq er om lag [REDACTED] NOK første år og [REDACTED] NOK andre og påfølgende år med tilbudt LIS-AUP.

Kostnadseffektivitet

BioMarin sin analyse estimerer at det ikke er noe nytte i form av forlenget levetid, når pegvaliase i



kombinasjon med diett sammenlignes med diett alene. BioMarin estimerer imidlertid at det er nokså stor nytte dersom en ser på kvalitetsjusterte leveår (forskjell er 5,83 QALY).

Legemiddelverket mener innsendt dokumentasjon ikke gir grunnlag for å etablere klinisk plausible estimat for livskvalitet i pasientpopulasjonen. Det er derfor heller ikke tilstrekkelig grunnlag for å beregne nytten av pegvaliasebehandling.

Forskjellen i kostnad mellom pegvaliasebehandling (i tillegg til diett) og diett alene i et livstidsperspektiv er 47,2 millioner NOK pr pasient i BioMarin sin analyse, og i BioMarin sin analyse er dermed merkostnad per vunnet kvalitetsjustert leveår i overkant av 8 millioner NOK. Legemiddelverket har ikke validert helseøkonomisk modell eller parametrene som inngår.

Legemiddelverket har ikke utført kvantitative beregninger av alvorlighetsgrad.

Sykehusinnkjøp har bedt om informasjon fra Legemiddelverket om hvilken legemiddelpris og hvilken gjennomsnittsdosering som er lagt til grunn i HTA. Legemiddelprisen som leverandøren har oppgitt i sin dokumentasjon er [redacted] eks mva pr sprøyte, altså høyere enn maks AUP de senere søkte om.

I metodevurderingen legges en vedlikeholdsdosering på 1.64¹ sprøyter pr dag til grunn for effekt og kostnader. Årskostnaden ved denne doseringen er med tilbudt LIS-AUP [redacted] NOK inkl mva. Preparatomtalen angir at vedlikeholdsdosering tilpasses individuelt, fra 20-60mg daglig (1-3 sprøyter daglig), som tilsvarer en årskostnad på [redacted] NOK inkl mva.

Budsjettkonsekvenser

Legemiddelverket har ikke beregnet budsjettkonsekvens. Det er anslått at om lag 20 pasienter er aktuelle for behandling. Gjennomsnittlig årskostnad, med gjennomsnittsdosering hentet fra metodevurderingen, er rundt [redacted] millioner NOK med tilbudt LIS-AUP, som gir en budsjettkonsekvens for legemiddelbudsjettet på [redacted] millioner kroner.

Betydning for fremtidig anskaffelse

Det er ingen faglig likeverdige legemidler til pegvaliase (Palynziq). Dersom pegvaliase besluttes innført på møte i Beslutningsforum 26.04.2021, kan Palynziq forskrives fra 1.6.2021, da prisen kan være gyldig fra denne dato.

Informasjon om refusjon av pegvaliase (Palynziq) i andre land

Danmark: Medicinrådet vurderer for tiden metoden².

Sverige: NT-rådet kommer til å gi en anbefaling til regionene om anvendelse³

England (NICE/NHS): vurdering er utsatt i påvente av dokumentasjon til helseøkonomisk analyse⁴.

¹ Dosering sett i klinisk studie. [redacted]

² <https://medicinraadet.dk/igangvaerende-vurderinger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/pegvaliase-palynziq-phenylketonuri-pku>

³

<https://janusinfo.se/nationelltinforandeavlakemedel/produktinfo/palynziqpegvalias.4.72e241c7168e09935e3be39f.html>

⁴ <https://www.sps.nhs.uk/medicines/pegvaliase/>



Oppsummering

Legemiddelverket kunne ikke beregne nytte av pegvaliasebehandling i kombinasjon med diett. Dermed kunne de ikke beregne alvorlighetsgrad. Det er derfor ikke mulig å vite om ressursbruken er rimelig i forhold til nytten ved behandlingen.

Årskostnaden for gjennomsnittlig vedlikeholdsdosering er [REDACTED] NOK med tilbudt pris når gjennomsnittsdosering fra metodevurdering legges til grunn. Når dosering fra preparatomtale legges til grunn er årskostnad for vedlikeholdsdosering [REDACTED] NOK med tilbudt pris. Om lag 20 voksne pasienter er aktuelle for behandling.

Asbjørn Mack
Fagsjef

Anne Marthe Ringerud
Fagrådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket	17.7.2020	SLV fastsatte maksimalpriser tilgjengelig fra 1.3.2021
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	20.1.2021	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp	23.2.2021	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp	10.3.2021	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp	130 dager hvorav 35 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 130 dager.	