

**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:** 27. august 2021

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

### ID2018\_100: Pegvaliase (Palynziq) til behandling av Føllings sykdom (fenyktonuri)

#### Bakgrunn

Vi viser metodevurdering av 15.7.2020 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.

Vi viser til prisnotat av 10.3.2021.

Vi viser til beslutning i Beslutningsforum for nye metoder (31.05.2021)

1. Pegvaliase (Palynziq) innføres ikke til behandling av Føllings sykdom (fenyktonuri).
2. Det er mangelfull dokumentasjon i forhold til klinisk nytte av behandlingen.
3. Prisen er høy.

I metodevurderingen er behandling med pegvaliase i kombinasjon med diett, sammenlignet med diettbehandling alene og eventuelt tilleggsbehandling 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 16.8.2021 etter ny 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.

Til orientering var pris ved tidligere beslutning [REDACTED] pr pakning. Årskostnaden for Palynziq var da om lag [REDACTED] NOK første år og [REDACTED] NOK andre og påfølgende år med tilbudt LIS-AUP.

### **Kostnadseffektivitet**

Vi viser til metodevurderingen, 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.

Legemiddelverket har ikke utført kvantitative beregninger av alvorlighetsgrad.

Legemiddelverket har ikke vurdert nytt pristilbud av 16.8.2021, vi viser til metodevurderingen: 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.

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 1.64<sup>1</sup> sprøyter pr dag til grunn for effekt og kostnader, forklart som «average daily syringe use per patient maintenance phase». Årskostnaden ved denne doseringen er med tilbudt LIS-AUP [REDACTED] NOK inkl mva uten svinn. I praksis vil pasienten benytte 1 eller 2 sprøyter (årskostnad hhv [REDACTED] NOK og [REDACTED] NOK LIS-AUP 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**

Dersom Palynziq (pegvaliase) besluttes innført på møte i Beslutningsforum 27.09.2021, kan Palynziq forskrives fra 1.11.2021, da prisen kan være gyldig fra denne dato.

---

<sup>1</sup> Dosering sett i PRISM-2 studie.



### Informasjon om refusjon av pegvaliase (Palynziq) i andre land

Danmark: Medicinrådet anbefaler ikke pegvaliase til pasienter fra 16 år med fenyلكetonuri, fordi data ikke er gode nok til, at Medicinrådet kan uttale sig sikkert om lægemidlet. Pegvaliase ser ud til at være en bedre behandling end den behandling, man anvender i dag, men der er også væsentlige bivirkninger. Medicinrådet finder, at prisen er for høj set i forhold til usikkerheden om den dokumenterede effekt<sup>2</sup>. (26.5.2021)

Sverige: ingen informasjon

England (NICE/NHS): vurdering er utsatt i påvente av dokumentasjon til helseøkonomisk analyse<sup>3</sup>.

### 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.

Årskostnad for vedlikeholdsdosering er [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	-	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	31.5.2021	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp	16.8.2021	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp	27.8.2021	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp	89 dager hvorav 78 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemidelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 11 dager.	

<sup>2</sup> <https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/m-p/pegvaliase-palynziq-phenylketonuri-pku>

<sup>3</sup> <https://www.sps.nhs.uk/medicines/pegvaliase/>