

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 Henrik Sandbu
Kopi: Fagdirektørsekretariatet v/ Hanne Husom Haukland, Helse Nord RHF

Fra: Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler (LIS)

Dato: 5. november 2020

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

ID2019_046: betaglobin (Zynteglo) Genterapi til behandling av betatalassemi

Bakgrunn

I Bestillerforum RHF 29.04.2019 ble det bestilt (ID2019_046): *Hurtig metodevurdering gjennomføres ved Statens legemiddelverk for Lentiviral genterapi til behandling av betatalassemi. Firma oppfordres til å sende inn dokumentasjon gjennom nordisk samarbeid i FINOSE.*

SLV sin analyse er basert på FINOSE-rapporten, hvor relativ effekt, helseøkonomisk modell og ressursbruk er diskutert. SLV har gjennomført en analyse med norske kostnader for de viktigste kostnadene og diskontering ifølge de norske retningslinjene. Alvorlighet og norske budsjettvirkninger er blitt beregnet nasjonalt. Det er også etablert nordisk samarbeid for forhandlinger av Zynteglo, jf. sak 042-2020 som ble behandlet i Beslutningsforum 27. april 2020.

Zynteglo er en engangsbehandling med offentlig listepreis på om lag 17 mill. kroner (1,575.000 €).

Kostnadseffektivitet

I dokumentasjonen som ble levert til FINOSE-rapporten presenterte Blue Bird Bio ulike scenarier for betalingsmodeller til selve metodevurderingen:

- Scenario 1: modell uten betalingsmodell
- Scenario 2: modell basert 100% betaling av prisen for «behandlingssuksess» tilsvarende 83,3 % og 20% betaling av prisen for de resterende 16,7 %.
- Scenario 3: 5 delbetalinger hver 12 måned for fire år

I scenario 2 er behandlingssuksess knyttet til effektdokumentasjonen. Om effektdokumentasjonen skriver SLV: *Dokumentasjonen for effekten og sikkerheten til Zynteglo i behandlingen av β -talassemi er basert på:*

- to fase 1/2 studier (HGB-204 and HGB-205)

- to pågående fase 3-studier (HGB-207 and HGB-212)

- En langtidsoppfølgingsstudie (LTF-303), der alle pasientene som hadde fullført 24 måneders postZynteglo-infusjonsbesøket i studiene (HGB-204, HGB-205, HGB-207 and HGB-212) vil bli inkludert. Firmaet har vist Zynteglos evne til å gi transfusjonuavhengighet eller redusert transfusjonsbehov i tre enarmede studier, hvor de sammenslåtte resultatene viste at 20 av 24 pasienter oppnådde transfusjonuavhengighet og de fire andre fikk redusert transfusjonsvolum og –frekvens. Ingen resultater for sykdom knyttet til høye jernnivåer eller overlevelse var tilgjengelige grunnet den begrensede oppfølgingstiden i de kliniske studiene.



I FINOSE-rapporten ble det presisert at det ikke var innenfor mandatet til arbeidet å vurdere ulike betalingsmodeller. Rapporten presenterer kun analyser etter scenario 1 over (dvs. kun «flat rabatt»). Ut fra denne ble det presentert to scenarier, med og uten en effekt på overlevelse for Zynteglo. Resultatene fra analysen Legemiddelverket mener er mest sannsynlig viser at merkostnad for Zynteglo sammenliknet med standardbehandling ved å bruke LIS-priser for alle legemidler i analysen er:

2,6 millioner NOK per vunnet kvalitetsjusterte leveår (QALY).

I scenariet hvor en antar at Zynteglo ikke har en effekt på overlevelse, mener SLV at merkostnaden for Zynteglo, sammenliknet med standardbehandling er:

3,3 millioner NOK per vunnet kvalitetsjusterte leveår (QALY).

Om de ulike scenariene skriver SLV:

Nytten av Zynteglo er basert på antagelsen om at komplikasjonene knyttet til høye jernnivåer blir redusert. Selv om den innsendte dokumentasjonen viser at de fleste pasientene som blir behandlet med Zynteglo oppnår trasfusjonsuavhengighet, er data på langtidseffekt inkludert langtidsoverlevelse få, eller manglende. På grunn av dette presenteres det scenarier med og uten overlevelsesgevinst.

Basert på antagelsene i analysen har SLV beregnet at det absolutte prognosetapet mellom 20 og 24,4 QALYs.

Budsjettkonsekvenser

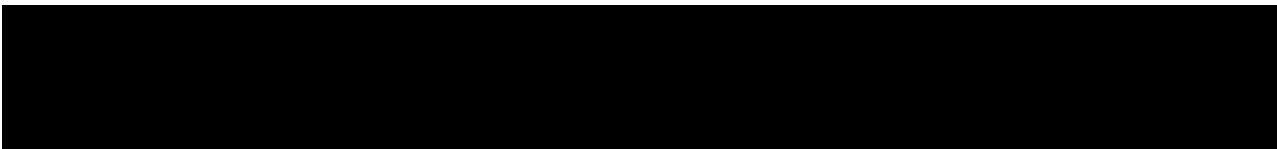
Basert på antagelsene fra FINOSE-rapporten, antas det at det er omtrent 10 norske pasienter som vil få Zynteglo initialt. SLV har beregnet at en legemiddelkostnad på omtrent 170 millioner for disse pasientene.

SLV skriver videre: Kostnaden kan bli spredt over flere år, avhengig av hvor mange pasienter som behandles per år. Når disse pasientene er behandlet, antas det at omtrent 1 ny pasient tilkommer hvert annet til tredje år, noe som gir en årlig gjennomsnittlig legemiddelkostnad på 6-9 millioner. En vellykket behandling med Zynteglo vil gi en innsparing på omtrent 200 000 kroner i året for hver pasient.

Budsjettberegningene er usikre og forenklete.

Nærmere om forhandlingene

Det var flere forhold ved dette produktet som ble vurdert som hensiktsmessige å samarbeide om mellom de nordiske landene. FINOSE-rapporten ga et felles forhandlingsgrunnlag for landene. Videre var det behov for å se på samarbeid på tvers av landegrensene, fordi det var aktuelt at det kun ville bli etablert behandlingssenter i Sverige og Danmark for denne behandlingen. Det er knyttet spesielle forhold rundt behandlingsteknikken og at det er få pasienter som er aktuelle for behandling i de ulike landene. Målet med samarbeidet var å sikre en lik og tidsmessig synkronisert tilgang i de nordiske landene. Det var også behov for en akseptabel pris.





Tilbudet ble vurdert som substansielt langt unna hva landene vanligvis aksepterer.

Informasjon om refusjon av virkestoff (handelsnavn) i andre land

England: The National Institute for Health and Care Excellence (NICE) I planla publisering av sin rapport juni 2020. I april ble imidlertid vurderingen ikke definer som "therapeutically critical" og satt på vent i mai grunnet COVID-19. I september ble saken satt til «under vurdering».

<https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-ta10334>

Mottatt underlag til forhandlingen fra Legemiddelverket	15-06-2020	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	23-06-2020	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt	19-10-2020	
Prisnotat ferdigstilt:	05-11-2020	
Saksbehandlingstid:	143 dager hvorav 118 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 25 dager.	

Oppsummering

Asbjørn Mack
Fagsjef

Iselin Dahlen Syversen
Rådgiver