

Notat

Til:

| | | |
|----------------------|-------------|-----------------------|
| Helse Nord RHF | Fagdirektør | Geir Tollåli |
| Helse Vest RHF | Fagdirektør | Bjørn Egil Vikse |
| Helse Sør-Øst RHF | Fagdirektør | Jan Christian Frich |
| Helse Midt-Norge RHF | Fagdirektør | Bjørn Inge Gustafsson |

Kopi: Sekretariat Bestillerforum v/Gunn Fredriksen, Helse Midt-Norge RHF

Fra: Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler**Dato:** 03. august 2022

ID2019_041: Fostamatinib (Tavlesse) til behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni hos voksne pasienter som er refraktære overfor annen behandling

Bakgrunn

Vi viser til metodevurdering datert 05.07.2022 hvor Legemiddelverket har vurdert prioriteringskriteriene knyttet til nytte, ressursbruk og alvorlighet ved bruk av Tavlesse i henhold til bestilling ID2019_041 og godkjent preparatomtale.

Pasienter med immunologisk trombocytopeni (ITP) danner antistoffer mot egne trombocytter med påfølgende destruksjon og trombocytopeni med risiko for blødninger. Ved behov for behandling er dagens praksis førstelinjebehandling med kortikosteroider, andrelinjebehandling med trombopoietinreseptoragonister (TPO-RA) og tredjelinjebehandling med rituksimab. Klinikere Legemiddelverket har konsultert mener at 10-20 pasienter årlig vil være aktuelle for behandling med fostamatinib dersom de ikke responderer tilstrekkelig på disse behandlingene. Alvorlighetsgraden ved ITP varierer, Legemiddelverket har beregnet et absolutt prognosetap på ca 14 QALYs for pasienter med kronisk ITP omfattet av aktuell indikasjon.

Fostamatinib fikk europeisk markedsføringstillatelse (MT) i januar 2020. Studiene som ligger til grunn for MT er FIT1 og FIT2 som begge er randomiserte, placebokontrollerte, dobbeltblinde fase III-studier og som rapporteres samlet. Det primære endepunktet var andel pasienter som oppnådde stabil trombocyttesrespons på $\geq 50\ 000/\mu\text{l}$ etter 24 uker, og dette ble oppnådd hos 18% av pasientene som fikk fostamatinib og 2% av pasientene som fikk placebo. Det ble post-hoc også gjort en analyse av overall response, definert som minst *en* måling av trombocytter $\geq 50\ 000/\mu\text{l}$ og dette ble oppnådd hos 43 % av pasientene som fikk fostamatinib mot 14 % av pasientene som fikk placebo. I tillegg er det gjort en enarmet forlengelsesstudie, FIT3, der alle pasientene fra FIT1 og FIT2 fikk videre behandling med fostamatinib. Her var det totalt ████ av pasientene som oppnådde stabil platerespons og ████ som oppnådde overall respons. Studien viste også at noen pasienter beholder effekten over flere år, men Legemiddelverket konkluderer med at det er vanskelig å anslå forventet varighet av effekt.



Pristilbud

Grifols har 23.05.2022 etter prisforhandlinger tilbudt følgende priser for Tavlesse:

| Varenummer | Pakning | Maks-AUP inkl. mva. | LIS-AUP inkl. mva. |
|------------|----------------|---------------------|--------------------|
| 106565 | 100 mg, 60 tbl | 49 875,80 NOK | |
| 084928 | 150 mg, 60 tbl | 74 532,30 NOK | |

Dette tilsvarer en årskostnad på om lag [redacted] og en månedskostnad på [redacted] med tilbudt pris (AUP). Med maks-AUP vil årskostnaden være 907 000 NOK. Kostnadene er beregnet med dosering 150 mg x 2 i henhold til SPC. Det er anbefalt å bruke laveste dosering som opprettholder adekvat trombocyttnivå, men i studiene som ligger til grunn for MT var det bare en liten andel pasienter som ble stående på den laveste dosen 100 mg x 2. Ved bruk av denne doseringen vil kostnadene bli lavere, med årskostnad på om lag [redacted] med tilbudt pris (AUP).

Kostnadseffektivitet

Legemiddelverket bemerker at IKER er svært sensitiv for endringer i responsvarighet, og at dersom en andel av pasientene med effekt ved 24 uker mister effekten over tid, vil IKER bli høyere. Siden det ikke foreligger dokumentasjon på hvor mange pasienter det gjelder er antakelsen om varig effekt beholdt i hovedanalysen.

| Pris | Merkostnad per vunnet kvalitetsjusterte leveår (QALY) |
|---|---|
| Maks-AUP uten mva. | 1 810 000 NOK/QALY |
| Tilbudspris mottatt 23.05.2022 AUP uten mva. | |

Budsjettkonsekvenser

Legemiddelverket har beregnet følgende budsjettkonsekvens i år 5. Det er antatt en noe større budsjettkonsekvens første år etter innføring [redacted] pga eksisterende pasienter som vil være aktuelle for behandlingen. Budsjettkonsekvensene vil deretter falle noe i år 2, men så gradvis øke. Budsjettkonsekvensene er basert på at omtrent 20 % av pasientene som forsøker fostamatinib vil oppleve respons mens 80 % vil forsøke behandling, men avslutte grunnet manglende respons.

| Pris | Budsjettkonsekvenser |
|---|----------------------|
| Maks AUP inkl. mva. | 16 000 000 NOK |
| Avtalepris mottatt 23.05.2022 inkl. mva | |

Betydning for fremtidig anskaffelse

Anbudskonkurransen 2299L ITP med avtalestart 01.09.2022 rangerer forskjellige TPO-RA til behandling av ITP. Selv om indikasjonordlyden for fostamatinib er overlappende med indikasjonen for TPO-RA, har både EMA og norske klinikere som Legemiddelverket har konsultert med vurdert at fostamatinib pr i dag ikke er aktuelt i andrelinjebehandling, men først ved tilbakefall etter



behandling med steroider, TPO-RA og rituksimab. Det er altså pr i dag ingen faglig likeverdige alternativer til fostamatinib.

Informasjon om refusjon av fostamatinib (Tavlesse) i andre land

Sverige: Har ikke subvention¹.

Danmark: Under vurdering i Medicinrådet pr 01.08.2022².

Skottland (SMC): Fostamatinib (Tavlesse®) is accepted for restricted use within NHS Scotland. 18.01.2021³.

England (NHS/NICE): Fostamatinib is not recommended, within its marketing authorisation, for treating refractory chronic immune thrombocytopenia in adults. 07.01.2022⁴.

Oppsummering

Dersom Tavlesse innføres til bruk i spesialisthelsetjenesten i møte i Beslutningsforum 29.08.2022, kan medikamentet tas i bruk til avtalt pris fra 01.10.2022.

Asbjørn Mack
Fagsjef

Sara Reinvik Ulimoen
Medisinsk rådgiver

| Prosess | | |
|--|--|-----------------------------|
| Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket | 06.05.2022 | Endelig rapport: 05.07.2022 |
| Henvendelse til leverandør om prisopplysninger | 09.05.2022 | |
| Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF | 23.05.2022 | |
| Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF | 03.08.2022 | |
| Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF | 90 dager hvorav 15 dager i påvente av prisopplysninger fra legemiddelfirma og 43 dager i påvente av endelig metodevurderingsrapport. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 32 dager. | |

¹ [TAVLESSE - FASS Vårdpersonal](#)

² [Søg i Medicinrådet \(medicinraadet.dk\)](#)

³ [fostamatinib \(Tavlesse\) \(scottishmedicines.org.uk\)](#)

⁴ [1 Recommendations | Fostamatinib for treating refractory chronic immune thrombocytopenia | Guidance | NICE](#)

