

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: 30. august 2022

ID2019_61: Ekulizumab (Soliris) til behandling av pasienter med paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (PNH).

ID2020_003: Ekulizumab (Soliris) til behandling av atypisk hemolytisk uremisk syndrom (aHUS).

ID2019_043: Ekulizumab (Soliris) til behandling av relapserende neuromyelitis optica spectrum disorder (NMOSD) hos pasienter som er anti-akvaporin-4 (AQP4) antistoff positive.

ID2017_020 og ID2019_021: Ekulizumab (Soliris) til behandling av pasienter med behandlingsrefraktær generalisert myasthenia gravis.

Bakgrunn

Vi viser til Legemiddelverkets forenklede metodevurdering av 20.4.2022. Siden Alexion har valgt å ikke levere det nødvendige dokumentasjonsgrunnlag for metodevurdering for noen av indikasjonene og tilhørende bestillinger fra Bestillerforum RHF, har det ikke vært mulig å beregne inkrementell kostnadseffektivitet (IKER).

I den forenklede metodevurderingen beskriver Legemiddelverket behandling med ekulizumab, med en oppsummering av legemiddelkostnader og omsetningstall. I appendiks for hver av indikasjonene har Legemiddelverket oppsummert de aktuelle sykdommene, norske behandlingsretningslinjer, resultatene fra de pivotale kliniske studiene som lå til grunn for MT, vurderinger foretatt av andre land, og en overordnet vurdering knyttet til prioriteringskriteriene.

Ekulizumab (Soliris) er et legemiddel til behandling av ulike sykdommer:

- paroksysmal nattlig hemoglobinuri (PNH)
- atypisk hemolytisk uremisk syndrom (aHUS)
- neuromyelitis optica spectrum disorder (NMOSD)
- generalisert myasthenia gravis (gMG).

Dette er sykdommer hvor komplementsystemet er overaktivt, ekulizumab er et monoklonalt



antistoff som hemmer aktivering av komplementsystemet ved å binde seg til C5-komplementprotein.

Ekulizumab har vært markedsført i Norge fra 2009, finansieringsansvaret ble overført fra folketrygden til helseforetakene fra 1.2.2019. Noen pasienter har fått dekket ekulizumab via ordningen med individuell stønad på blå resept, men det forelå ingen vurdering av om Soliris er en kostnadseffektiv behandlingsmetode for noen av indikasjonene før det ble innvilget individuell stønad. Tall fra Farmalogg viser en omsetning på om lag 113 millioner NOK i 2021. (kilde: metodevurderingen)

Pristilbud

Alexion har 22.8.2022 etter prisforhandling bekreftet at fastsatte maksimalpriser skal legges til grunn:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP	LIS-AUP inkl.mva.
102268	Soliris, konsentrat til inf.væske, oppløsning 300 mg	53 835,90 NOK	n/a

Dette tilsvarer en årskostnad på for ett års vedlikeholdsbehandling på om lag 4,2 millioner NOK for PNH og om lag 5,6 millioner NOK for aHUS, NMOSD og gMG med Maks-AUP, første år er årskostnaden noe høyere grunnet oppstartsdosering. Årskostnaden er beregnet med dosering i henhold til SPC. Anbefalt dosering de første 4 ukene (startfase) er 600 mg hver uke ved PNH og 900 mg hver uke ved aHUS, gMG og NMOSD. Deretter er doseringen 900 mg hver 14. ± 2 dag ved PNH og 1200 mg hver 14. ± 2 dag ved aHUS, gMG og NMOSD (vedlikeholdsfase).

Månedskostnaden for Soliris i vedlikeholdsfase er om lag 350 895 NOK og 467 860 NOK med Maks-AUP for hhv PNH og aHUS, gMG og NMOSD.

Ved indikasjonene PNH og aHUS, har ekulizumab også MT til behandling av barn. Barn/ungdom ≥ 40 kg behandles med voksendosering. For barn < 40 kg, vil dosering og legemiddelkostnad avhenge av kroppsvekt. Legemiddelverket har beregnet at for pasienter mellom 30-40 kg, vil årskostnaden for ekulizumab være ca. 4,25 millioner NOK; mellom 20-30 kg ca. 2,9 millioner NOK; mellom 10-20 kg ca. 1,45 millioner NOK; og mellom 5-10 kg ca. 970 000 NOK. Dette er årskostnaden for første behandlingsår med en startfase med noe høyere dosering. De påfølgende årene vil årskostnaden ligge 200 000 - 500 000 NOK lavere avhengig av pasientens vekt.

I preparatomtalen er det anbefalt at behandlingen fortsetter livet ut, med mindre seponering av ekulizumab er klinisk indisert. Ved refraktær gMG er det i preparatomtalen nevnt at tilgjengelige data indikerer at klinisk respons vanligvis oppnås innen 12 ukers behandling, og at seponering av behandling bør vurderes hos pasienter uten tegn på terapeutisk effekt etter 12 uker.

For alle doseringsregimene vil administrasjonskostnader komme i tillegg. Ekulizumab gis ved i.v. infusjon over 25-45 minutter. Pasienten bør overvåkes i 1 time etter infusjon. Behandlingen må gis av helsepersonell. Hjemmebaserte infusjoner utført av kvalifisert helsepersonell kan vurderes hos pasienter som har tålt infusjoner godt på sykehus.



Ifølge preparatomtale skal også alle pasienter som mottar behandling med ekulizumab ha fått meningokokkvaksinering. Dette skal dokumenteres skriftlig før utlevering av legemiddelet.

Kostnadseffektivitet

Vi viser til Legemiddelverkets rapport, leverandøren har ikke levert dokumentasjon til en vurdering av kostnadseffektivitet. Legemiddelverket skriver at «med dagens pris for ekulizumab er det derimot lite sannsynlig at prioriteringskriteriene er oppfylt».

Budsjettkonsekvenser

Det er ikke gjort beregning av budsjettkonsekvenser.

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom ekulizumab (Soliris) besluttet innført i Beslutningsforum 26.9.2022, kan beslutningen tre i kraft umiddelbart. To biotilsvarende legemidler (ekulizumab) er for tiden under vurdering i EMA¹, det kan derfor være aktuelt med virkestoffkonkurranse på relativt kort sikt.

Informasjon om refusjon av ekulizumab (Soliris) i andre land

Vi viser til informasjon i appendix 1-4 i Legemiddelverkets metodevurdering. Ekulizumab er ikke innført i andre land, med unntak av at NHS England anbefaler ekulizumab til aHUS under gitte betingelser/vilkår.

Oppsummering

Vi viser til Legemiddelverkets forenklete metodevurdering, Alexion har ikke gitt et pristilbud, men har bekreftet at makspris fastsatt av Legemiddelverket skal legges til grunn. Dersom ekulizumab (Soliris) besluttet innført i Beslutningsforum 26.9.2022, kan beslutningen tre i kraft umiddelbart. Det er for tiden to biotilsvarende legemidler (ekulizumab) under vurdering i EMA, det kan derfor være aktuelt med virkestoffkonkurranse på relativt kort sikt.

Asbjørn Mack
Fagsjef

Anne Marthe Ringerud
Fagrådgiver

¹ <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/medicines-human-use-under-evaluation> (publisert 10.8.2022)



Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket	21.4.2022	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	26.4.2022	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	22.8.2022	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	30.8.2022	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	132 dager hvorav 119 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 13 dager.	