

Til: Helse Nord RHF Fagdirektør Geir Tollåli
Helse Vest RHF Fagdirektør Baard-Christian Schem
Helse Sør-Øst RHF Fung. fagdirektør Lars Eikvar
Helse Midt-Norge RHF Fagdirektør Björn Gustafsson
Kopi: Sekretariat Bestillerforum v/ Gunn Fredriksen, Helse Midt-Norge RHF

Fra: Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler (LIS)

Dato: 26. mai 2021

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

ID2019_076: Tagraksofusp til behandling av blastisk plasmacytoid dendrittisk-celle neoplasi (BPDCN)

Bakgrunn

Legemiddelverket har oppsummert effekt, sikkerhet og ressursbruk ved bruk av tagraksofusp i henhold til bestilling ID2019_076: Tagraksofusp til behandling av blastisk plasmacytoid dendrittisk-celle neoplasi og godkjent preparatomtale. Vi viser til forenklet metodevurdering av 12.5.2021.

Fra metodevurderingen fremgår:

I CHMPs vurdering av MT fremkommer det at det er usikkerhet knyttet til nytte/risiko-balansen for tagraksofusp, og legemidlet har blitt godkjent på særskilt grunnlag, da det grunnet lav insidens av BPDCN ikke har vært mulig å få fullstendig dokumentasjon for legemidlet.

BPDCN er en svært sjelden og aggressiv hematologisk krefttype. Prognosen er dårligere jo eldre pasienten er, med en median overlevelse på 12-16 måneder. Median alder ved diagnose er om lag 65-67 år. Stemline Therapeutics estimerer at om lag 4 pasienter er aktuelle for behandling med Elzonris hvert år i Norge. Legemiddelverket har utført en forenklet metodevurdering, og ikke utført tentative beregninger av alvorlighetsgrad.

Behandling av BPDCN er ikke beskrevet i nasjonale behandlingsretningslinjer. Behandling med ulike kombinasjoner av kjemoterapeutika basert på behandlingsregimer brukt ved bl.a akutt lymfatisk leukemi, og valgt utfra pasientens alder og tilstand, er vanlig. Stamcelletransplantasjon anbefales i første remisjon for voksne pasienter som er friske nok, da dette anses avgjørende for langtidsoverlevelse.

Pristilbud

Menarini group/Stemline B.V. har 21.4.2021 meddelt at de på nåværende tidspunkt ikke har planer om å markedsføre legemidlet og dermed ikke vil initiere prisforhandling.

Varenummer	Pakning	Maks-AUP	LIS-AUP inkl. mva.
530082	Elzonris, Konsentrat til infusjonsvæske, oppløsning, 1mg/ml. 1 hetteglass 1ml	n/a*	n/a

*Ingen maks-AUP på legemiddelsok.no pr 25.5.2021



Anbefalt dose er 12 mikrogram/kg tagraksofusp, administrert som en intravenøs infusjon over 15 minutter, en gang daglig, på dag 1–5 i en 21-dagers syklus. Doseringsperioden kan utvides for doseforsinkelser frem til dag 10 i syklusen. Behandlingen bør fortsette til sykdomsprogresjon eller uakseptabel toksisitet.

Sykehusinnkjøp har ikke hatt grunnlag for å beregne kostnader til behandling.

Kostnadseffektivitet

Vi viser til metodevurderingen hvor Legemiddelverket skriver:

Det er usikkerhet knyttet til størrelsen på effekten av behandlingen, grunnet svakheter i kliniske studiedata. Behandlingen er assosiert med flere alvorlige bivirkninger, og i MT-utredningen var det usikkerhet knyttet til om det er et positivt forhold mellom nytten og risikoen forbundet med behandling med tagraksofusp.

Dersom Stemline Therapeutics sine antakelser legges til grunn, estimeres det at legemiddelkostnaden per pasient som behandles med tagraksofusp er om lag 1 millioner NOK (maksimal AUP eksklusiv mva.), mens legemiddelkostnaden av dagens behandling anslås å være rundt 480 000 NOK (maksimal AUP eksklusiv mva.). Legemiddelverket har ikke utført egne beregninger, og bemerker at de er forenklede og usikre, og ikke inkluderer kostnader forbundet med administrasjon, sykehusinnleggelse under behandling med tagraksofusp, assosiert legemiddelbehandling eller eventuelle avtalepriser (LIS-priser) for komparator.

Budsjettkonsekvenser

Det er ikke beregnet budsjettkonsekvenser.

Betydning for fremtidig anskaffelse

For tiden ikke aktuelt.

Informasjon om refusjon av tagraksofusp (Elzonris) i andre land

England (NICE/NHS) har metoden til vurdering¹

Sykehusinnkjøp har ikke funnet relevant informasjon fra øvrige land.

Oppsummering

Legemiddelverket skriver: *Tatt i betraktning usikkerheten rundt effektdata, nytte/risiko-balanse og den høye legemiddelkostnaden, fremstår det åpenbart for Legemiddelverket at prioriteringskriteriene knyttet til nytte og ressursbruk ikke er oppfylt for tagraksofusp ved førstelinjehandling av BPDCN. Leverandøren har på nåværende tidspunkt ikke planer om å markedsføre legemidlet og ønsker dermed ikke å initiere prisforhandling med Sykehusinnkjøp.*

Asbjørn Mack
Fagsjef

Anne Marthe Ringerud
Fagrådgiver

¹ <https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-ta10482>



Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket	13.4.2021	Mottatt endelig rapport 18.5.2021
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	20.4.2021	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp	21.4.2021	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp	26.5.2021	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp	44 dager hvorav 2 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma, og hvorav 28 dager i påvente av endelig metodevurderingsrapport. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 15 dager.	