

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

Fra: Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler (LIS)

Dato: 19. november 2021

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

ID2020_018: Elosulfase alfa (Vimizim) enzymerstatningsterapi ved mukopolysakkaridose type IVA (Morquio A syndrom, MPS IVA) hos pasienter i alle aldre.

Bakgrunn

Vi viser til forenklet metodevurdering av 17.11.2021. Legemiddelverket har oppsummert effekt, sikkerhet og kostnader (Løp D) for elosulfase alfa (Vimizim) som enzymerstatningsterapi ved mukopolysakkaridose type IVA (Morquio A syndrom, MPS IVA) hos pasienter i alle aldre. Legemiddelverket har vurdert dokumentasjonen innsendt fra firma, og har i tillegg sett på bl.a. en metodevurdering gjort av svenske TLV, samt rapporter EMA har publisert i forbindelse med vurderinger som gjelder markedsføringstillatelsen.

I metodevurderingen er elosulfase alfa (Vimizim) sammenlignet med beste standard støttebehandling (BSC).

Vimizim fikk markedsføringstillatelse (MT) i april 2014. Da legemidlet fikk MT hadde folketrygden finansieringsansvaret. Metoden har ikke tidligere vært metodevurdert i Norge. Via ordningen med individuell stønad har legemidlet likevel vært i bruk hos norske pasienter. I februar 2019 ble finansieringsansvaret overført til de regionale helseforetakene.

Om lag 20 pasienter har MPS IVA i Norge. De tre siste årene har 10-12 pasienter hentet ut resept på Vimizim årlig¹.

Pristilbud

BioMarin har 15.10.2021 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP	LIS-AUP inkl. mva.
386702	Vimizim 1mg/ml, 5ml (5mg)	10 529,40	

¹ <http://www.reseptregisteret.no/>



Dette tilsvarer en månedskostnad på [redacted] og [redacted] NOK med tilbudt LIS-AUP for en pasient med kroppsvekt på hhv. 40kg og 70kg. Månedskostnaden er beregnet med dosering 2 mg/kg kroppsvekt én gang ukentlig i henhold til SPC. Årskostnaden for Vimizim er om lag [redacted] millioner og [redacted] millioner NOK LIS-AUP inkl. mva for en pasient med kroppsvekt på hhv. 40kg og 70kg.

Kostnadseffektivitet

Legemiddelverket har beregnet legemiddelkostnader pr år ved behandling med elosulfase alfa (Vimizim) fordelt etter kroppsvekt, vi viser til tabell 11 i metodevurderingen gjengitt under.

Kroppsvekt	Antall hetteglass per uke	Legemiddelkostnad (maks AUP uten mva)		Legemiddelkostnad (LIS AUP uten mva*)	
		Per uke	Per år	Per uke	Per år
10 kg	4	33 694	1 758 109		
20 kg	8	67 388	3 516 218		
30 kg	12	101 082	5 274 327		
40 kg	16	134 776	7 032 436		
50 kg	20	168 470	8 790 545		
60 kg	24	202 164	10 548 654		
70 kg	28	235 859	12 306 763		

Legemiddelverket oppgir at «Elosulfase alfa skal gis i tillegg til BSC. BSC består av bl.a. kirurgiske inngrep, ortopedi, fysioterapi og behandling av bivirkninger og andre sykdomsrelaterte hendelser, dette kan bl.a. være infeksjoner, inflammasjoner/smerter og respirasjonsstøtte. Det kan også være aktuelt med utgifter til personlig assistent.

Det er ikke kjent hvordan utgiftene til BSC påvirkes i et langtidsperspektiv dersom elosulfase alfa gis i tillegg. Man kan se besparelser på kort sikt dersom behovet avtar grunnet at legemidlet har god effekt på symptomer ved sykdommen. Dersom pasientene har det samme sykdomsforløpet, men med senere progresjon ved behandling med elosulfase alfa, kan de totale utgiftene til BSC øke på lang sikt. Det kan også tenkes at BSC utgiftene påvirkes av når i sykdomsforløpet behandling med elosulfase alfa starter.

I TLV sin metodevurdering er det beskrevet enhetskostnader for en rekke behandlinger og inngrep, disse er basert på svenske DRG-koder som er i samme størrelsesorden som de norske (se Tabell 12 og Tabell 13). I TLV sin metodevurdering er det også beskrevet at det er vanskelig å validere/anta noe om hvor ofte (eller om) pasientene har behov for de ulike BSC-behandlingene ved sykdomsforløp hvor elosulfase alfa gis eller ikke gis i tillegg til BSC. I TLV sin metodevurdering er de akkumulerte utgiftene til BSC i et livstidsperspektiv imidlertid 5-6 millioner svenske kroner høyere hos pasienter som også mottar elosulfase alfa enn hos pasienter som kun mottar BSC, jfr Tabell 8 og Tabell 9 på side 26 i rapporten. Vi vil påpeke at TLV vurderer at det er usikkerhet knyttet til disse kostnadsestimatene da ressursbruken er basert på uttalelser fra kliniske eksperter og ikke på publiserte data. I TLV rapporten er det også beskrevet at de totale utgiftene til BSC gitt både alene eller sammen med elosulfase alfa er relativt små, sammenlignet med utgiftene knyttet til elosulfase alfa.»

Legemiddelverket viser til den ene av TLV sine analyser, som gjelder nye pasienter som starter på Vimizin fra de er tre år gamle. I dette TLV scenarioet vinner pasientene 12,6 kvalitetsjusterte leveår (QALYs) ved Vimizim behandling (i kombinasjon med BSC) sammenlignet med BSC alene. TLV har



beregnet en merkostnad for Vimizim sammenlignet med BSC på 12,8 millioner svenske kroner per vunnet QALY for disse pasientene.

Legemiddelverket har utført en forenklet metodevurdering, og det er dermed ikke utført tentative beregninger av alvorlighetsgrad. Legemiddelverket vurderer at sykdommen er alvorlig, og at prognosetapet er svært høyt hos de aller sykeste pasientene.

Legemiddelverket vurderer at behandlingen med elosulfase alfa trolig oppfyller de tre veiledende kriteriene for å kunne inngå i ordningen for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand, og at det dermed kan aksepteres et lavere krav til dokumentasjon og en høyere ressursbruk sammenlignet med andre tiltak.

Budsjettkonsekvenser

Vi viser til metodevurderingen, der Legemiddelverket har estimert at å fortsette behandling av aktuelle pasienter med elosulfase alfa vil ha en total årlig budsjettkonsekvens i det femte budsjettåret på henholdsvis 73,6 millioner NOK inkl. mva. hvis også nye pasienter kan starte behandling og 61,3 millioner NOK inkl. mva. hvis nye pasienter ikke kan starte behandling. Det nye pristilbudet innebærer om lag [redacted] lavere pris enn maksimalpris, det er ikke utført nye budsjettanalyser.

Betydning for fremtidig anskaffelse

Elosulfase alfa benyttes i dag, etter overføring av finansiering fra Folketrygden, og er inkludert i anskaffelsen LIS2199g Sjeldne sykdommer. Det er to leverandører med markedsføringstillatelse i Norge, BioMarin og parallellimportør Orifarm. Dersom Vimizim blir besluttet innført på møte i Beslutningsforum 13.12.2021 vil tilbudt pris kunne gjelde fra 15.1.2022.

Informasjon om refusjon av elosulfase alfa (Vimizim) i andre land

Sverige (24.6.2020²): NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att inte använda Vimizim för behandling av patienter med mukopolysackaridos typ IVA (Morquio A-syndrom)

England (NICE/NHS): Under revurdering³. NICE has today (12 November 2021) published draft guidance for public consultation which does not recommend elosulfase alfa (also called Vimizin and made by BioMarin) for the treatment of mucopolysaccharidosis type 4A (also known as MPS 4A and Morquio A syndrome)⁴.

Oppsummering

Legemiddelverket har oppsummert effekt, sikkerhet og kostnader for elosulfase alfa (Vimizim) som enzymerstatningsterapi ved mukopolysakkaridose type IVA (Morquio A syndrom, MPS IVA) hos pasienter i alle aldre. Legemiddelverket vurderer at behandlingen med elosulfase alfa trolig oppfyller de tre veiledende kriteriene for å kunne inngå i ordningen for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand, og at det dermed kan aksepteres et lavere krav til dokumentasjon og en høyere ressursbruk sammenlignet med andre tiltak. Legemiddelkostnad per pasient pr år er med tilbudt LIS-AUP inkl mva hhv [redacted] millioner NOK og [redacted] millioner NOK for pasienter med kroppsvekt på 40 kg og

² [https://janusinfo.se/download/18.6a82b95a172be1bb00bd3713/1592990944130/Elosulfas-alfa-\(Vimizim\)-200624.pdf](https://janusinfo.se/download/18.6a82b95a172be1bb00bd3713/1592990944130/Elosulfas-alfa-(Vimizim)-200624.pdf)

³ <https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-hst10027>

⁴ <https://www.nice.org.uk/News/Article/nice-does-not-recommend-elosulfase-alfa-for-nhs-use-following-evaluation-of-new-evidence>



70 kg. Dersom Vimizim blir besluttet innført på møte i Beslutningsforum 13.12.2021 vil tilbudt pris kunne gjelde fra 15.1.2022.

Asbjørn Mack
Fagsjef

Anne Marthe Ringerud
Fagrådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket	3.9.2021	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	7.9.2021	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp	15.10.2021	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp	19.11.2021	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp	78 dager hvorav 39 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma, og hvorav 34 dager i påvente av endelig metodevurderingsrapport. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 6 dager.	