

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

Fra: Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler (LIS)

Dato: 23.02.2022

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

ID2021_072: Hydrokortison (Efmody) Behandling av medfødt binyrebarkhyperplasi hos ungdom ≥12 år og voksne

Bakgrunn

Vi viser til forenklet metodevurdering datert 28.01.2022, der Legemiddelverket har vurdert effekt og sikkerhet ved behandling med hydrokortison (Efmody) i henhold til bestilling ID2021_072 og godkjent preparatomtale.

Behandling med hydrokortison er etablert praksis med andre formuleringer, styrker og indikasjoner. Valg av behandling styres av pasientens alder. Aktuelle behandlingsalternativer til pasienter med medfødt binyrebarkhyperplasi (CAH) i dag er Alkindi og Plenadren.

Legemiddelverket skriver:

Studien som primært danner dokumentasjonsgrunnlaget for denne forenklete metodevurderingen, er fase III-studien DIUR-005. I denne studien ble Efmody sammenliknet med annen standardbehandling som gis til den aktuelle pasientpopulasjonen (CAH) (ulike typer glukokortikoider, inkl. kombinasjonsbehandlinger). Behandlingen i studien ble gitt i 6 måneder. Det primære effektendepunktet var endring fra baseline til 24 uker i gjennomsnittet av profilen for 24-timers standardavviksscore (SDS) for 17-hydroksyprogesteron (17-OHP). Studien oppfylte ikke kriteriet for mereffekt (klinisk superioritet) for Efmody sammenliknet med standard glukokortikoid substitusjonsbehandling for det primære effektendepunktet. Studien viste imidlertid at Efmody reduserer de høye morgen-nivåene av 17-OHP, som man ser ved bruk av standard glukokortikoid substitusjonsbehandling, og prosentandelen av pasienter med kontrollert 17-OHP om morgenen var også høyere blant pasientene som ble behandlet med Efmody sammenliknet med pasientene som fikk standardbehandling. Det ble også observert mindre variable og mer kontrollerte 17-OHP-nivåer gjennom døgnet ved bruk av Efmody sammenliknet med standardbehandling. Et tilsvarende mønster som det som ble observert for 17-OHP ble også observert for androstendion. Begge er biomarkører for sykdomskontroll. Det ble for øvrig ikke observert noen vesentlige forskjeller mellom Efmody og standard glukokortikoid substitusjonsbehandling når det gjaldt påvirkning på kroppssammensetningen (fettmasse, kroppsmasse og beinmineraltetthet).

Pristilbud

Diurnal har 21.01.2022 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:



Varenummer	Pakning	Maks-AUP	LIS-AUP inkl. mva.
453609	5 mg, kapsel mod frisetting, 50 stk	1995,9	
071082	10 mg, kapsel mod frisetting, 50 stk	3934,5	

Dette tilsvarer en pris per mg på [REDACTED] NOK. Månedskostnad kan utgjøre [REDACTED] NOK med tilbudt LIS-AUP. Månedskostnaden er beregnet med dosering 20 mg daglig i henhold til SPC. Årskostnaden for Efmody er da [REDACTED] NOK med LIS-AUP. Det er flere relevante doseringer som kan legges til grunn som vil kunne gi lavere og høyere kostnad.

Kostnadseffektivitet

Legemiddelverket har ikke beregnet kostnad per kvalitetsjusterte leveår i henhold til bestilling. Den innsendte dokumentasjonen gir ikke grunnlag for å konkludere med at det foreligger fordeler ved behandling med Efmody som kan rettferdiggjøre at Efmody kan ha en høyere pris enn andre godkjente behandlingsalternativer til bruk ved til behandling av medfødt binyrebarkhyperplasi.

Dagens pris per mg for hydrokortison (Efmody) er ca [REDACTED] (LIS AUP)

Dagens pris per mg for hydrokortison (Alkindi) er ca 17-18 NOK (maks AUP)

Dagens pris per mg for hydrokortison (Plenadren) er ca 7-11 NOK (maks AUP)

Kostnad per pasient ved behandling med de ulike legemidlene vil avhenge av dosering. Tabellen under viser et bilde av kostnadene med 20 mg daglig og 5 mg daglig som er den laveste mulige doseringen. Det er vanlig med en høy oppstartsdose, deretter å trappe ned dosen til lavest mulig vedlikeholdsdose. Doseringsregimet vil sannsynligvis også påvirke behandlingsvalg der hvor indikasjonene er overlappende imellom disse legemidlene.

	Årskostnad (20 mg daglig)	Årskostnad (5 mg daglig)
Efmody	[REDACTED]	[REDACTED]
Plenadren	47 509	20 528

Budsjettkonsekvenser

Legemiddelverket skriver: *Det estimeres av Diurnal at totalt 266 pasienter (≥12 år) vil være aktuelle for behandling med Efmody (i det 5. budsjettåret). Klinikere som Legemiddelverket har kontaktet, mener at et sted mellom 200-300 pasienter vil kunne være aktuelle for behandling med Efmody hvert år i Norge.*

Legemiddelverket har ikke beregnet budsjettkonsekvenser. Dette vil være avhengig av hva gjennomsnittlig dosering av Efmody vil bli og hvor mange pasienter som velger Efmody.

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom legemiddelet blir besluttet tatt i bruk av Beslutningsforum 21.03.2022, kan Efmody tas i bruk tidligst fra 15.04.2022. Dette forutsetter at Efmody blir markedsført innen 01.04.2022.

Informasjon om refusjon av hydrokortison (Efmody) i andre land



Danmark: [metodevurdering pågår](#)

Skottland: [metodevurdering pågår](#)

Oppsummering

Legemiddelverket har vurdert effekt og sikkerhet for hydrokortison (Efmody). Aktuelle alternativer i dagens behandlingstilbud er hydrokortison Alkindi og Plenadren. Disse tre preparatene har ulik, men delvis overlappende indikasjon på alder og noe ulikt doseringsregime. Valg av preparat vil sannsynligvis være avhengig av alder, og individuelle hensyn med tanke på doseringsregime. Kostnadssammenligning varierer med dosering.

Asbjørn Mack
Fagsjef

Christina Sivertsen
Fagrådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket	03.12.2021	Endelig rapport 28.01.2022
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	01.02.2022	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp	21.02.2022	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp	23.02.2022	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp	83 dager hvorav 21 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemidelfirma og hvorav 57 dager i påvente av endelig metodevurderingsrapport. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 5 dager.	