



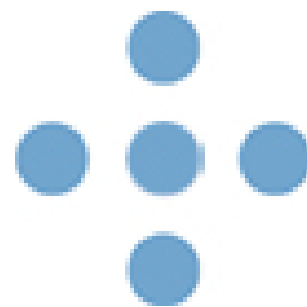
# Beslutningsforum for nye metoder

Innkalling og saksdokumenter

Dato: 12. februar 2018

Kl.: 9.00 - ca. 10.00

Sted: Telefonmøte



Adm. direktører i de Regionale helseforetakene  
Linn Merethe Hefte Bæra, observatør fra de Regionale brukerutvalg  
Bjørn Guldvog, helsedirektør - observatør  
Olav V. Slåttebrekk, ass. helsedirektør - vararepresentant til helsedirektør

Kopi:  
Fagdirektører i de Regionale helseforetakene  
Hanne Husom Haukland, med. rådgiver  
Anne May Knudsen, kommunikasjonsdirektør  
Kristin Svanquist, Statens Legemiddelverk

Deres ref.:

Vår ref.:  
2014/182-325/012

Saksbehandler/dir.tlf.:  
Karin Paulke, 906 88 713

Sted/dato:  
Bodø, 8.2.2018

## Møte i Beslutningsforum for nye metoder, den 12. februar 2018 – innkalling

Herved innkalles til møte i Beslutningsforum for nye metoder

**mandag, den 12. februar 2018 - fra kl. 9.00.**

Møtet avvikles pr. **telefon**. Informasjon om oppkobling til møtet sendes pr. e-post.

Vedlagt følger saksdokumenter til dette møtet.

Saksdokumentene er unntatt offentlighet, jf. Off.loven § 14, fordi disse er å anse som organinterne dokumenter fram til beslutningen er tatt. Etter at beslutningen er tatt, er dokumentene offentlige.

Eventuelle forfall bes meldt til sekretariatet for Beslutningsforum for nye metoder, stabdirektør Karin Paulke på tlf. 906 88 713.

Vel møtt.

Med vennlig hilsen

*Brevet er godkjent elektronisk.*

Lars Vorland  
adm. direktør

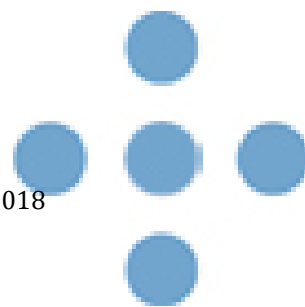
Vedlegg

Møtedato: 12. februar 2018

Arkivnr.:  
2014/182-328/012

Saksbehandler:  
Karin Paulke, Helse Nord RHF

Sted/Dato:  
Bodø, 8.2.2018



## Sak 18-2018

## Godkjenning av innkalling og saksliste

Beslutningsforum for nye metoder inviteres til å beslutte følgende saksliste for møte, den 12. februar 2018:

Sak 18-2018	Godkjenning av innkalling og saksliste	Side	1
Sak 19-2018	Nusinersen (Spinraza®) til behandling av spinal muskelatrofi	Side	2
Sak 20-2018	Eventuelt	Side	7

Bodø, den 8. februar 2018

Lars Vorland  
adm. direktør

Møtedato: 12. februar 2018  
Arkivnr.:

Saksbehandler:  
Karin Paulke, Helse Nord RHF

Sted/Dato:  
Bodø, 8.2.2018

## Sak 19-2018

## Nusinersen (Spinraza®) til behandling av spinal muskelatrofi

*Saksdokumentene er unntatt offentlighet, jf. Off.loven § 14.*

*Dette saksgrunnlaget er unntatt offentlighet fordi det er å anse som et organinternt dokument fram til beslutningen er tatt. Etter at beslutningen er tatt, er dokumentet offentlig.*

### Formål

Vedlagt oversendes sak ad. *Nusinersen (Spinraza®) til behandling av spinal muskelatrofi* til Beslutningsforum for nye metoder.

Saken er oversendt fra fagdirektørene i de Regionale helseforetak.

Innføring eller ikke innføring av *nusinersen (Spinraza®)* og ev. forutsetninger diskuteres i møte i Beslutningsforum for nye metoder 12. februar 2018.

Bodø, den 8. februar 2018

Lars Vorland  
Adm. direktør

Vedlegg: Sak til Beslutningsforum ad. *Nusinersen (Spinraza®) til behandling av spinal muskelatrofi*

## NOTAT

Deres ref.:

Vår ref.:

Saksbehandler/dir. tlf.:  
Geir Tollåli, 90945509

Sted/dato:  
Bodø, 8.2.18

**Til:** Adm. dir. Lars Vorland

**Fra:** Fagdirektør Geir Tollåli

### **Sak til Beslutningsforum 02.02.18 - Nusinersen (Spinraza®) til behandling av spinal muskelatrofi**

#### **Bakgrunn**

Beslutningsforum har tidligere vurdert innføring av Nusinersen (Spinraza®) til behandling av spinal muskelatrofi (SMA) og besluttet at dette ikke kan innføres, sist i sak 109/2017:

1. Beslutningsforum for nye metoder viser til beslutning i sak 86-2017 og stadfester ønsket om å innføre Spinraza® til behandling av spinal muskelatrofi (SMA).
2. Prisen for legemiddelet er fortsatt alt for høy.
3. Spinraza® innføres derfor ikke til behandling av spinal muskelatrofi (SMA) på det nåværende tidspunkt. Pasienter som har startet behandling omfattes ikke av denne beslutningen.

Statens legemiddelverk (SLV) har på bakgrunn av dokumentasjon som er sendt inn av firmaet Biogen utarbeidet en hurtig metodevurdering for nusinersen (Spinraza) til behandling av spinal muskelatrofi: det ligger link til metodevurderingsrapporten nederst i dette dokumentet. Vi kommer i dette saksframlegget ikke til å referere særskilt fra metodevurderingen når det gjelder effektdokumentasjon, men viser til tidligere saksframlegg. Vi har den 05.02.2018 mottatt nytt pristilbud og oppdatert prisnotat (jf. vedlegg 1 som er unntatt offentlighet<sup>1</sup>), og legger her fram saken på ny. Det er nå foreslått et system for igangsetting og avslutning av behandling etter definerte start- og stoppkriterier. SLV har gjort nye kostnadseffektivitetsberegninger blant annet med andre QALY-vekter enn i tidligere vurderinger. Her vil vi oppsummere fra det nye prisnotatet og vise noen moment som er aktuelle i en helhetlig vurdering.

#### **Sykdommen spinal muskelatrofi**

Spinal muskelatrofi (SMA) er en arvelig, nevrologisk sykdom som fører til muskelsvakhet i tverrstripet muskulatur. Den vanligste årsaken til SMA er en genforandring som gir mangel på et protein som er viktig for vedlikehold av motornevroner og fører til at disse ødelegges. Motornevroner er nerveceller som sender signaler til tverrstripet muskulatur, og sykdommen fører til gradvis tap av muskel funksjon og tap av muskelmasse. Det oppstår tap

---

<sup>1</sup> Jf. off. lova § 23.1

av viljestyrte muskelbevegelser og koordinasjon. Til slutt får pasienten lammelser som gjør det vanskelig å svelge, snakke og puste.

Diagnostisering av SMA gjøres med DNA-analyse (gentest). Det er vanlig å typebestemme SMA ut fra den høyeste motoriske funksjon pasienten har:

- SMA type I – høyeste motoriske funksjon er liggende
- SMA type II – høyeste motoriske funksjon er sittende
- SMA type III – høyeste motoriske funksjon er stående/gående

Det er glidende overganger mellom typene. SMA type I er den mest alvorlige typen, og forventet levealder er antatt å være under 2 år uten hjelp av respirator. Legemiddelverket vurderer at SMA er svært alvorlig. Biogen har beregnet at absolutt prognosetap (APT) på 71 QALYs for type I, 67 QALYs for type II og 47 QALYs for type III. Det er usikkert hvor mange pasienter som i dag har SMA i Norge, men Biogen har ved hjelp av norsk kliniskere anslått at det er om lag 85 pasienter. Ikke alle disse er av den typen som har akkurat lik den genmutasjonen som er aktuell ved behandling med nusinersen.

### **Behandling av spinal muskelatrofi**

Per dags dato er tilbudet til pasientene støttende og symptomatisk behandling. Nusinersen er et nytt behandlingsprinsipp. Norske pasienter som er aktuelle for behandling med nusinersen, kan deles inn i nye pasienter med SMA som oppdages ved symptomdebut, og pasienter som har hatt SMA en tid etter symptomdebut.

Nusinersen administreres som intratekal injeksjon (spinalpunksjon). Behandlingen med nusinersen bør starte så tidlig som mulig etter diagnostisering, med 4 ladningsdoser og 2 vedlikeholdsdoser første året. Deretter bør en vedlikeholdsdose gis tre ganger per år. Nusinersen har vist en gunstig bivirkningsprofil i de kliniske studiene.

Sammen med kliniskere er det nå foreslått et system for igangsetting og avslutning av behandling etter definerte start- og stoppkriterier, jf. vedlegg 2 og 3 (u.off). Det er også foreslått å etablere en nasjonal faggruppe med medlemmer fra alle regionsykehusene som blant annet vurderer de enkelte pasientene opp mot start-/stoppkriteriene.

### **Nytt pristilbud og nye beregninger**

Vi har nå mottatt nytt pristilbud, jf. vedlagt prisnotat. Biogen har ikke stilt de samme kravene [redacted] som i det forrige tilbudet. Pakningsprisen i det nye tilbudet er [redacted] kroner som tilsvarer [redacted].

SLV har med utgangspunkt i de foreslåtte stoppkriteriene beregnet ny kostnad per QALY. Ved å ekskludere legemiddelkostnadene til pasienter der effekten avtar, vil de totale kostnadene bli lavere. Dette påvirker imidlertid ikke den totale nytten som er beregnet i modellen. Resultatet blir da en lavere IKER (kostnadseffektivitetsratio). Det er svært utfordrende å måle livskvalitet hos små barn. Det er derfor usikkerhet knyttet til QALY-vektene. I Sverige

---

<sup>2</sup> LIS-AUP u/mva

har man vurdert at Amyotrofisk Lateral Sklerose (ALS) og SMA har noenlunde sammenfallende sykdomsforløp og livskvalitet tilknyttet de ulike tilstandene. SLV har i den oppdaterte analysen derfor valgt å benytte QALY-vekter som er brukt for ALS.

SLV har beregnet IKER i to scenarier: med og uten inklusjon av kostnader til annen behandling-, pleie og omsorg. Dette er fordi pasienter med SMA type I vil, med denne behandlingen, ha forventet økt levetid. Denne økte levetiden er forbundet med høye behandling-kostnader i tillegg til pleie- og omsorgskostnader. Dette resulterer i høyere IKER enn dersom pasientene hadde dødd. Å inkludere disse kostnadene kan derfor få utilsiktede konsekvenser for prioriteringen. Pasienter med SMA type II vil med denne behandlingen ikke ha forventet økt levetid, og vil da ikke ha økte pleie- og omsorgskostnader. SLV vurderer derfor at IKER-beregningen bør vektlegges med ulike scenarier for hhv. type I og type II. SLV har med utgangspunkt i (1) ny pris, (2) bruk av definerte start- og stoppkriterier, (3) bruk av ALS QALY-vekter og i tillegg (4) den sistnevnte differensieringen med behandling-kostnader og pleie- og omsorgskostnader beregnet merkostnad per vunne leveår for SMA type I og type II:

	Type I	Type I (uten andre behandling-, pleie- og omsorgskostnader)	Type II	Type II (uten andre behandling-, pleie- og omsorgskostnader)

Tabell 1 SLVs analyse av merkostnad/QALY

SMA type I vil med behandling med nusinersen få forlenget levetid, men med et dårlig funksjonsnivå som vil utløse økte kostnader til annen behandling, pleie og omsorg i den vunne levetiden. SMA type II vil få bedret funksjon som følge av behandling med nusinersen, som medfører en netto reduksjon i kostnadene til annen behandling, pleie og omsorg i levetiden. Utgifter til annen behandling, pleie og omsorg er bl.a. medvirkende til at for SMA type I ville kostnaden i følge SLV være mer enn 1 MNOK/QALY selv om Spinraza var gratis. Når man holder kostnadene til pleie utenfor vil det medføre at kostnaden pr. QALY går ned for de med SMA type I, mens for SMA type II vil nettobesparelsen ikke regnes med og derfor øker kostnaden pr. QALY.

Med utgangspunkt i de vurderingene som er gjort over, anbefaler fagdirektørene at det er disse kostnadseffektivitetsberegningene Beslutningsforum tar utgangspunkt i når de skal vurdere om metodene skal innføres:

- SMA type I: [redacted] (uten andre behandling-kostnader og pleie- og omsorgskostnader)
- SMA type II: [redacted]

Flere sentrale forutsetninger for beregningene er svært usikre, jf. metodevurdering av nusinersen.

SLV har i samarbeid med en kliniker anslått at det er om lag 40 pasienter med SMA som kan få behandling med nusinersen, i tillegg til de 10 pasientene som allerede får dette. Dette er

fem flere pasienter enn tidligere anslått. Nye budsjettberegninger blir derfor noe høyere det første året enn tidligere anslag. I det andre året er imidlertid budsjettkonsekvensene lavere enn tidligere anslag, grunnet innføring av stoppkriterier.

Brutto budsjettvirkning	
År 1	År 2

Tabell 2 – Budsjettkonsekvenser

Anslag på budsjettvirkningene over er brutto virkning av innføring. Per i dag får 10 pasienter nusinersen (Spinraza®) til full pris, hvilket innebærer i underkant av 30 millioner kroner per år. Biogen tilbyr den samme rabatten på det antall pakninger helseforetakene allerede har betalt for. Sykehusene vil da få tilbakebetalt det aktuelle beløpet.

### Vurdering av forhandlinger fra Sykehusinnkjøp

#### Vurdering fra fagdirektørene

I denne omgangen vil det ikke være nye medisinskfaglige argument for å innføre metoden, vurderingen vil heller dreie seg økonomiske/strategiske vurderinger, i tillegg til de vanskelige etiske overveielser. Vi vil her trekke frem følgende moment som bør hensynstas i en samlet vurdering av om metoden kan innføres nå:

- [Redacted]
- [Redacted]
- En ja-beslutning må presisere:
  - at det i avtalen med firmaet må stå en klausul om en rett til nye prisforhandlinger dersom det skjer endringer i markedet som kan påvirke prisen.
  - at det skal benyttes start-/stoppkriterier som pasienter skal vurderes opp mot ved ev. oppstart av behandling og i det videre forløpet.
  - at det skal etableres en nasjonal faggruppe med medlemmer fra alle regionsykehusene som blant annet vurderer de enkelte pasientene opp mot start-/stoppkriteriene

#### Vedlegg og linker:

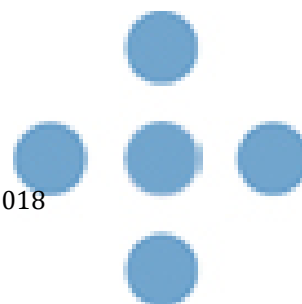
1. Oppdatert prisnotat datert 06.02.2018 u.off.
2. Innspill fra Sykehusinnkjøp u.off.
3. Forslag til start-/stoppkriteriene u.off.  
*Forslaget oppdateres 09FEB2018, og oppdaterte start-/stoppkriterier vil bli ettersendt.*
4. Link til rapport: [Hurtig metodevurdering - Nusinersen \(Spinraza\) ved behandling av spinal muskelatrofi \(SMA\)](#)



Møtedato: 12. februar 2018  
Arkivnr.:  
2014/182-329/012

Saksbehandler:  
Karin Paulke, Helse Nord RHF

Sted/Dato:  
Bodø, 8.2.2018



**Sak 20-2018**

**Eventuelt**