

Notat

Til:

Helse Nord RHF	Fung. Fagdirektør	Synøve Kalstad
Helse Vest RHF	Fagdirektør	Bjørn Egil Vikse
Helse Sør-Øst RHF	Fagdirektør	Ulrich Spreng
Helse Midt-Norge RHF	Fagdirektør	Trude Basso

Kopi: Sekretariat for Nye metoder**Fra:** Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler**Dato:** 22. januar 2026

ID2022_075: Etranakogendezaparvovek (Hemgenix) til behandling av alvorlig og moderat alvorlig hemofili B (medfødt faktor IX-mangel) hos voksne pasienter uten faktor IX-hemmere i historikken – ny pris

Bakgrunn

Det vises til beslutning i Beslutningsforum 17.11.2025:

- Etranakogendezaparvovek (Hemgenix) innføres ikke til behandling av alvorlig og moderat alvorlig hemofili B (medfødt faktor IX-mangel) hos voksne pasienter uten faktor IX-hemmere i historikken
- Det er ikke tilbudt en pris som står i et rimelig forhold til dokumentert klinisk nytte.
- Sykehusinnkjøp bes gjenoppta forhandlingene med leverandør.

Vi viser dessuten til metodevurdering fra DMP datert 23.04.2025, oppdatert okt. 2025, og til tidligere prisnotat av Sykehusinnkjøp datert 22. oktober 2025.

Godkjent indikasjon:

Hemgenix er indisert til behandling av alvorlig og moderat alvorlig hemofili B (medfødt faktor IX mangel) hos voksne pasienter uten faktor IX-hemmere i historikken.

Sykehusinnkjøp har utarbeidet et oppdatert prisnotat basert på et nytt pristilbud fra CSL Behring.

Pristilbud

CSL Behring har 10.12.2025 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
557865	Hemgenix, konsentrat til infusjonsvæske. Hetteglass 10 ml, antall basert på pasientens vekt	43 028 738 NOK	



Etranakogendezaparvovek (ED, Hemgenix) er en engangsbehandling, og hele kostnaden i tabellen over tilkommer når infusjonen blir administrert til pasientene. Behandlingen for den enkelte pasienten bestilles direkte fra produsenten. Det totale antallet hetteglass i hver pakning tilsvarer den nødvendige dosen til hver individuell pasient, basert på pasientens kroppsvekt.

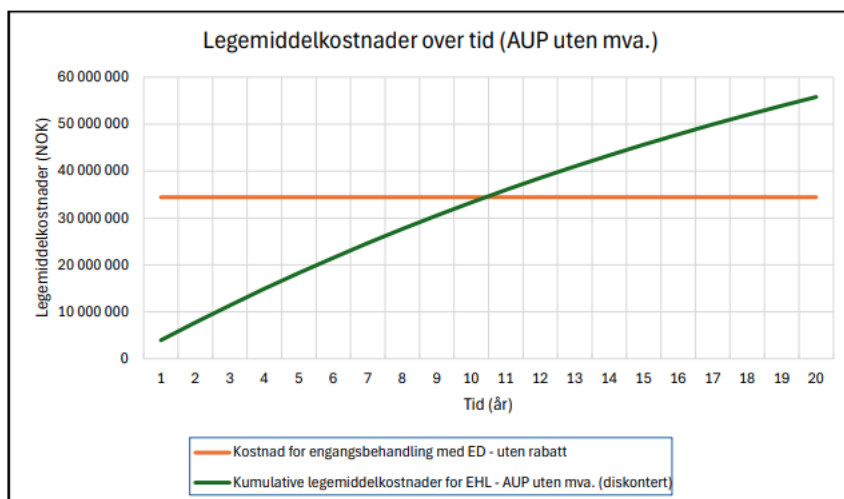
Det er tidligere gitt inn tilbud for det aktuelle bruksområdet (ID2022_075):

Prisnotat	Datert	Engangskostnad RHF-AUP inkl. mva.
1	22.10.2025	
2 (dette)	16.12.2025	

Kostnadseffektivitet

DMP har utført en terskelanalyse som viser hvor lenge effekten av ED må vedvare for at behandlingen kan antas å være kostnadsnøytral i forhold til dagens standardbehandling for hemofili B bestående av jevnlig intravenøse infusjoner med rekombinant faktor IX med forlenget halveringstid. Terskelanalysen tar utgangspunkt i kumulative, diskonterte legemiddelkostnader for komparator.

Figur 6 i metodevurderingen illustrerer prinsippet som legges til grunn i terskelanalysen:

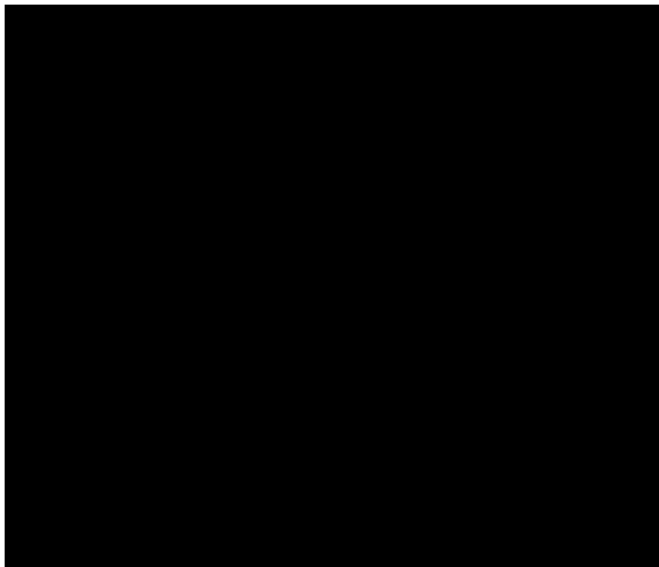


Figur 6. Legemiddelkostnader over tid for engangsbehandling med ED versus livslang behandling med EHL, her EA (eftrenonakog alfa). Legemiddelkostnader for EHL vises som kumulative kostnader over tid og er diskonterte, mens kostnaden for ED inntreffer en gang i første året. Legemiddelpriser med maksimal AUP uten mva.

DMP beregner at gjennomsnittlig behandlingsskostnad per år med rekombinant faktor IX med forlenget halveringstid er [redacted] NOK med RHF-AUP med mva.



DMP har laget en figur som tilsvarer figur 6 i metodevurderingsrapporten, oppdatert med gjeldende avtalepris for komparator Alprolix og pristilbudet på Hemgenix:



Med prisen som er tilbudt 10.12.2025 kan ED anses som kostnadseffektiv fra og med år [redacted] i et livsløpsperspektiv, forutsatt vedvarende behandlingseffekt. Dersom effektvarigheten er lengre enn [redacted] år vil behandling med ED være kostnadsbesparende sammenlignet med dagens behandling, og dersom effektvarigheten er kortere, vil behandlingen være mer kostbar.

Effektvarighet

DMP skriver i metodevurderingsrapporten at effekten av ED på gruppenivå trolig vil være langvarig, men at det ikke er mulig å kvantifisere dette nærmere, da oppfølgingsdata er begrenset til 48 og 60 måneder for henholdsvis pivotalstudien og støttestudien. Det beskrives videre at fagekspertene vurderer at foreliggende data for ED per i dag viser en stabil effekt, og at det samlet er grunn til å anta at man kan se en gjennomsnittlig effektvarighet (tid til re-start profylakse) som varer 10-12 år eller lengre for ED.

Fra metodevurdering av DMP datert 23.04.2025:

Fagekspertene vurderer at foreliggende data for ED per i dag viser en stabil effekt, og at det samlet er grunn til å anta at man kan se en gjennomsnittlig effektvarighet (tid til re-start profylakse) som varer 10-12 år eller lengre for ED. Fagekspertene påpeker imidlertid at det ikke er mulig å predikere hvor langvarig effekten vil være ettersom mye er usikkert og man ikke har data med lengre oppfølgingstid.

(...)

Antagelsene om at effekten kan bli langvarig hos flere pasienter, støttes av at mange av studiepasientene i HOPE-B studien har en relativt høy FIX-aktivitet som tilsynelatende er stabil, samtidig som det finnes dokumentert effekt 10 -12 år etter behandling med en liknende genterapi hos pasienter med alvorlig hemofili B.

Med kostbar engangsbehandling er konsekvensen av manglende respons større enn ved jevnlig dosering. Av 54 pasienter i studien var det tre pasienter som fikk manglende effekt, hvorav en fikk



tilbakefall og returnerte til profylaksebehandling. DMP utdyper i metodevurderingen at norske pasienter trolig vil bli godt forhåndsselektert og muligens ha en høyere effekt sammenlignet med studiepopulasjonen. Rammeavtalen mellom RHF og leverandør håndterer tilfeller der legemidlet ikke kan gis til pasienten, uansett årsak.

Fra metodevurdering av DMP datert 23.04.2025:

DMP vurderer at dersom en norsk pasientpopulasjon behandles i tråd med anbefalingene fra medisinske fageksperter, vil effekten av ED sannsynligvis være høyere på gruppenivå enn i studiepopulasjonen (FAS). Pasienter med høy antistofftiter, eldre pasienter med høy mortalitetsrisiko, samt pasienter som har risiko for levertransplantasjon vil trolig ikke være aktuelle for behandling med ED i Norge. Kostnadseffektiviteten av ED øker dersom behandlingen begrenses til pasienter som forventes å ha langvarig nytte. Selv om man i klinisk praksis vil selekttere pasienter man antar at vil ha en langvarig nytte av ED, kan uforutsette hendelser, slik som urelaterte dødsfall eller IRR som man ikke klarer å håndtere, oppstå. DMP vurderer at det ut over dette ikke er mulig å identifisere pasienter innenfor gruppen som er pekt på av de medisinske fageksperterne, hvor man eventuelt kan forvente bedre eller mindre variasjon i effekten.

Vurdering av avtaleform (pris)

Sykehusinnkjøp har gjort en innkjøpsfaglig vurdering av mulige avtaleformer for innføring av ED (Hemgenix) i norsk klinisk praksis tatt i betraktning pris, håndtering av usikkerhet og ressursbruk.

Alternativ 1 (flat rabatt)

Med prisen som er tilbudt 10.12.2025 kan ED anses som kostnadsnøytral dersom effekten varer i om lag [redacted] år. Tidligere pristilbud som lå til grunn for beslutningen 17.11.2025 tilsvarte om lag [redacted] år. Kostnaden for ED ved en flat rabatt kan tolkes som et kostnadsnivå som tilsvarer komparator kostnader for en gitt gjennomsnittlig effektlengde av ED i pasient populasjonen. Det innebærer at noen pasienter vil ha kortere og andre har lengre effektvarighet. Sett på individnivå kan det hende at man reduserer kostnader dersom effekten varer lenger enn [redacted] mens man vil øke kostnadene for behandling dersom en pasient må tidligere tilbake til jevnlig profylakse. [redacted]

Alternativ 2 (alternativ prisavtale)

Sykehusinnkjøp har også diskutert mulighet for en alternativ avtale med firma. [redacted]



Vurdering

I denne saken er det viktig å vurdere hva usikkerheten i metodevurderingen består i, og hvordan den evt kan håndteres i en prisavtale.

Usikkerheten som beskrives i DMPs metodevurderingsrapport er varigheten utover 5 år (og spesielt utover 10-12 år). Effekten fram til år 5 i studien beskrives som stabil. Samtidig beskrives det i metodevurderingen *at det ikke er mulig å predikere eller tallfeste hvor langvarig effekt og nytte av ED man kan forvente*. Det beskrives samtidig at man forventer at effektvarigheten på gruppenivå er langvarig og medisinske fageksperter estimerer en gjennomsnittlig effektvarighet på 10-12 år eller lengre. CSL Behring har basert på statistiske metoder estimert effektvarighet på nærmere 20 år.

En resultatbasert avtale eller midlertidig innføring for å håndtere usikkerheten av behandlingseffekt for de første 10 årene ser ikke ut til å håndtere den primære usikkerheten om behandlingseffekt utover 10-12 år.

I tillegg er det også spesielt vanskelig å forsvare ressursbruken for oppfølging av en slik avtale tatt i betraktning mulig gevinst.

Budsjettkonsekvenser

DMP har beregnet følgende budsjettkonsekvenser for spesialisthelsetjenestens legemiddelbudsjett. DMP har lagt til grunn at det innledningsvis vil behandles 5-10 pasienter med Hemgenix, og at etter dette vil det være aktuelt med 1 eller 2 nye pasienter per år. I beregningene er det benyttet 7,5 pasienter første året, og 1,5 pasienter årene etterpå.

Under presenteres DMPs budsjettanalyser for år 1 til år 5, oppdatert med avtalepris på komparator og pris tilbudt 10.12.2025 for Hemgenix.

	År 1	År 2	År 3	År 4	År 5
Intervensjon					
Komparator					
Budsjettvirkning av anbefaling					

Under presenteres DMPs budsjettanalyser for år 1 til år 5, med maks AUP presenteres fra metodevurderingen.



Tabell 17. Forventet budsjettvirkning på spesialisthelsetjenestens legemiddelbudsjett av Hemgenix til behandling av aktuelle pasienter med moderat til alvorlig hemofili B (NOK, maksimal AUP inkludert mva., udiskonterte tall).

	År 1	År 2	År 3	År 4	År 5	SUM år 1-5
Hemgenix blir innført	322 715 535	64 543 107	64 543 107	64 543 107	64 543 107	580 887 963
Hemgenix blir ikke innført	37 004 243	44 405 091	51 805 940	59 206 788	66 607 637	259 029 698
Budsjettvirkning av anbefaling	285 711 293	20 138 016	12 737 168	5 336 319	-2 064 530	321 858 266

Budsjett basert på avrundet pasienttall, se Kapittel 5.1. Dersom beregninger baseres på anslag av henholdsvis 5 og 10 pasienter, vil budsjettvirkninger variere mellom 190 - 368 millioner NOK første året.

Avtaleverk for gen- og celleterapi

Det har blitt besluttet i det Interregionale fagdirektørmøtet (28 april 2025) at behandling med ED skal foregå ved Oslo universitetssykehus, forutsatt at behandlingen blir besluttet innført av Beslutningsforum for Nye metoder. Behandlingstilbudet vil kunne utvides på et senere tidspunkt, ved at ytterligere helseforetak inngår leveranseavtale for bruk av ED.

Sykehusinnkjøp har fremforhandlet en rammeavtale for gen- og celleterapi for ED, og det aktuelle helseforetaket som skal administrere behandlingen har gjennomgått leverandørs dokumentasjon knyttet til IKT-sikkerhet og personvern, og funnet dette akseptabelt.

Før behandlingen kan tas i bruk ved norske sykehus, må det dessuten foreligge enighet mellom leverandør, sykehus og sykehusapotek om innholdet i leveranseavtale om gen- og celleterapi. Fagdirektørene har besluttet at disse avtalene som hovedregel skal være ferdigforhandlet innen 3 måneder etter beslutning om innføring.

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom Hemgenix blir besluttet innført av Beslutningsforum 16.03.2026 for aktuell indikasjon kan ny pris på legemidlet gjelde fra 01.05.2026. Faktisk oppstartstidspunkt for behandlingen vil avhenge av at leveranseavtalen er ferdigforhandlet, og at nødvendige forberedelser for å ta i bruk legemidlet er gjennomført.

Informasjon om refusjon av ED (Hemgenix) i andre land

Sverige: Anbefaling om ikke innføring (25.04.2025)¹

«Rekommendationen i det här fallet är att inte använda Hemgenix eftersom det inte bedöms kostnadseffektivt.»

Danmark: Anbefaling om innføring (19.06.2024) med en alternativ prisavtale (payment-by-result)²

«Medicinrådet **anbefaler** Hemgenix (etranacogene dezaparvovec) til voksne pasienter med blødersygdommen hæmofili B (medfødt faktor IX-mangel) i svær og moderat svær grad.

¹ [Hemgenix \(etranakogen-dezaparvovec\) vid hemofili B](#)

² [Etranacogene dezaparvovec \(Hemgenix\) - Hæmofili B](#)



(...)

Virksomheden har tilbudt en alternativ prisavtale, hvor der kun betales for de patienter, som fortsat har effekt. Med den aftale vurderer Medicinrådet, at omkostningerne til Hemgenix er rimelige.»

Skottland (SMC): Interim acceptance (12.08.2024)³. Midlertidig innføring med avtale om revurdering når det foreligger mer data.

“Etranacogene dezaparvovec is accepted for use subject to ongoing evaluation and reassessment once further evidence is available.”

England (NICE/NHS): Innført med en alternativ avtale (24.07.2024).⁴ Innføring med avtale om revurdering når det foreligger mer data.

“Etranacogene dezaparvovec is recommended with [managed access](#) as an option for treating moderately severe or severe haemophilia B (congenital factor IX [FIX] deficiency) in adults without anti-FIX antibodies. It is only recommended if the conditions in the [managed access agreement](#) for etranacogene dezaparvovec are followed.”

Oppsummering

Etranakogendezaparvovek (ED) er en genterapi til behandling av alvorlig og moderat alvorlig hemofili B (medfødt faktor IX-mangel) hos voksne pasienter uten faktor IX-hemmere i historikken. Målet med genterapi-behandlingen er å erstatte jevnlig infusjoner med rekombinant faktor IX (FIX) som profylaktisk behandling i en periode.

Med tilbudt pris kan ED anses som kostnadsnøytral dersom effekten varer i om lag [redacted] år. Dersom effektvarigheten er lengere enn [redacted] år vil behandling med ED være kostnadsbesparende enn dagens behandling, og dersom effektvarigheten er kortere, vil behandlingen være mer kostbar.

Dersom Hemgenix blir besluttet innført av Beslutningsforum 16.03.2026 for aktuell indikasjon kan ny pris på legemidlet gjelde fra 01.05.2026. Faktisk oppstartstidspunkt for behandlingen vil avhenge av at leveranseavtalen er ferdigforhandlet, og at nødvendige forberedelser for å ta i bruk legemidlet er gjennomført.

Christina Sivertsen
Fagsjef

Hana Mikami Salyga
Fagrådgiver

³ [etranacogene dezaparvovec \(brand name: Hemgenix®\)](#)

⁴ <https://www.nice.org.uk/guidance/ta989/chapter/1-Recommendation>



Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	Ikke aktuelt	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	17.11.2025 (Dato for nei-beslutning i Beslutningsforum)	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	10.12.2025	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	22.01.2026	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	66 dager hvorav 23 dager i påvente av prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 43 dager.	