

Notat

Til:

| | | |
|----------------------|-------------|-----------------------|
| Helse Nord RHF | Fagdirektør | Geir Tollåli |
| Helse Vest RHF | Fagdirektør | Bjørn Egil Vikse |
| Helse Sør-Øst RHF | Fagdirektør | Ulrich Spreng |
| Helse Midt-Norge RHF | Fagdirektør | Bjørn Inge Gustafsson |

Kopi: Sekretariat Bestillerforum v/ Karianne Johansen, Helse Sør-Øst RHF**Fra:** Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler**Dato:** 31. mars 2023

ID2020_104: Behandling av 5q spinal muskeltrofi (SMA) hos følgende pasienter med én til fire kopier av SMN2: 1) barn med en klinisk dose av type 3b SMA, og 2) voksne med en klinisk diagnose av type 1, type 2 eller type 3 SMA

Bakgrunn

Det vises til metodevurderingsrapport datert 08.04.2022 der Legemiddelverket har vurdert prioriteringskriteriene knyttet til nytte, ressursbruk og alvorlighet ved bruk av risdiplam i henhold til bestilling (ID2020_104), og godkjent preparatomtale.

I norsk klinisk praksis finnes det ingen innførte sykdomsmodifiserende legemidler til behandling av voksne pasienter med SMA eller barn med type 3b. Legemiddelverket anslår i metodevurdering av risdiplam at 75 voksne og barn med SMA type 3b kan være aktuelle for behandling. Bestilling ID2020_031 Spinraza (nusinersen) til behandling av voksne pasienter med SMA er til behandling i nye metoder, se prisnotat datert 13. januar 2023.

Pristilbud

Roche har 17.02.2023, bekreftet 22.03.2023, etter prisforhandling tilbudt følgende pris:

| Varenummer | Pakning | Maks-AUP inkl. mva. | RHF-AUP inkl. mva. | Kommentar |
|------------|---|---------------------|--------------------|-----------|
| 570122 | Pulver til mikstur, 0,75 mg/ ml (80 ml) | 105 750,70 NOK | | |

Årskostnadene presentert under er beregnet med dosering 5 mg/dag, som er godkjent dosering for pasienter som veier > 20 kg. Det er vektbasert dosering for pasienter < 20 kg; 0,2 mg/kg for barn mellom 2 mnd. og 2 år og 0,25 mg/kg for barn over 2 år opp til 20 kg.

Med tilbudt pakningspris på

blir årskostnaden



Med gjeldende avtalepris [redacted] er årskostnaden [redacted]
[redacted]
[redacted]
[redacted]

[redacted]
[redacted]
[redacted]
[redacted]
[redacted]

Etter 5 år vil prisen beregnes på nytt, se beskrivelse av avtalen under «Utforming av alternativ avtale».

Kostnadseffektivitet

Legemiddelverket har vurdert prioriteringskriteriene knyttet til nytte, ressursbruk og alvorlighet ved bruk av risdiplam i henhold til bestilling (ID2020_104), og godkjent preparatomtale.

I metodevurderingen skriver Legemiddelverket at det er stor usikkerhet knyttet til resultatene av den helseøkonomiske analysen blant annet fordi det er kort oppfølgingstid og liten andel voksne pasienter inkludert i studien. I Legemiddelverket sin hovedanalyse i metodevurderingen av voksne SMA pasienter og barn med type 3b, er kostnadseffektiviteten for risdiplam på om lag 12,2 millioner NOK/QALY med maksimalpriser for risdiplam. Med tilbudt rabattnivå [redacted] Basert på metodevurderingen er det anslått at en rabatt [redacted] (RHF-AUP/maks AUP) kan gjøre at nytten ved behandling av voksne med risdiplam står i forhold til kostnadene ved aktuell alvorlighetsgrad. Dette tilsvarer en årlig legemiddelkostnad for risdiplam på [redacted]
[redacted]

Budsjettkonsekvenser

Legemiddelverket har estimert at å behandle aktuelle pasienter (voksne) med Evrysdi (risdiplam) vil ha en total årlig budsjettkonsekvens på ca. 230 millioner NOK inkludert merverdiavgift i det femte budsjettåret. Budsjettberegningene er usikre og forenklede og er basert på maksimalpriser. Beregningen er basert på at 75 pasienter vil kunne være aktuelle for behandling med Evrysdi (risdiplam) og inkluderer kun legemiddelkostnader.

Helsedirektoratet har informert om at risdiplam er utlevert til totalt [redacted] så langt i 2023. Dette tilsvarer legemiddelutgifter på [redacted] RHF-AUP med dagens avtalepris for barn omregnet til et helt år (basert på vekt 20 kg eller mer). [redacted]
[redacted]
[redacted]

[redacted]
[redacted]



Det kan antas at [redacted] er aktuelle for behandling med et SMA-legemiddel om 5 år. Dersom totalt [redacted] blir behandlet med risdiplam til gjeldende tilbudt pris, medfører dette en anslått total legemiddelkostnad på om lag [redacted] mot slutten av avtaleperioden før prisen skal revideres. [redacted]

Alternativ prisavtale

Bakgrunn

Sykehusinnkjøp sin vurdering er at [redacted]

[redacted] Sykehusinnkjøp sin innkjøpsfaglige vurdering er at det kan være hensiktsmessig med en alternativ prisavtale [redacted]

[redacted] Det er knyttet stor usikkerhet særlig til effekt og langtidseffekt av behandling med risdiplam hos voksne pasienter. Sykehusinnkjøp mener videre at en resultatbasert avtale kan imøtekomme informasjonsgapet knyttet til effekten av behandlingen hos voksne SMA pasienter. Sykehusinnkjøp har derfor vurdert at en resultatbasert avtale hvor legemiddelet innføres med samtidig innhenting av informasjon om langtidseffekt, vil kunne redusere usikkerheten.

Konseptgodkjenning

Konseptgodkjenning ble 12. desember 2022 gitt av Beslutningsforum:

- *Beslutningsforum gir sin tilslutning til at Sykehusinnkjøp forhandler om en alternativ prisavtale for nusinersen og risdiplam, jf. rammeverk for alternative prisavtaler.*
- *Beslutningsforum forutsetter at leverandørene tilbyr en pris som innebærer at det er mulig å oppfylle prioriteringskriteriene.*
- *Beslutningsforum ber Sykehusinnkjøp primært inngå avtaler som omfatter både den finansielle og den resultatbaserte delen. Dersom det kun er mulig å få på plass den finansielle delen, skal dette gjenspeiles i en ytterligere redusert inngangspris.*
- *Før avtaleinngåelse skal det være enighet om hvordan fremtidig pris skal påvirkes.*

Utforming av foreslått avtale

For å redusere usikkerheten knyttet til langtidseffekt har Sykehusinnkjøp fremforhandlet en alternativ prisavtale som består av to komponenter:

- Resultatbasert del
- Finansiell del

Den resultatbaserte delen skal håndtere usikkerhet i langtidseffekten av legemiddelet, og skal sammen med den finansielle delen sikre en kostnadseffektiv pris.

Den finansielle delen av avtalen innebærer en [redacted]

Den resultatbaserte delen av avtalen innebærer at helsedata benyttes for å evaluere fremtidig pris. Avtalen innebærer at legemiddelpris for voksne pasienter revurderes etter 5 år avhengig av om



gjennomsnittseffekten for de voksne pasientene er bedre enn forventet, som forventet eller dårligere enn forventet. [REDACTED]

Det er avtalt på forhånd hvor mye prisen skal justeres i de ulike tilfellene.

Oppfølging av den resultatbaserte delen av prismodellen inkluderer måling av motoriske funksjoner og pustefunksjon hos voksne pasienter. I avtaleforslaget er det knyttet poeng til utfallsmålene, som baserer seg på om pasientene har en forbedring, stabilisering eller forverring av effekt på gruppenivå etter om lag 5 år. [REDACTED]

[REDACTED] Det er ikke knyttet start- og stoppkriterier til selve avtalen og det vil være opp til behandlende lege å gjøre en klinisk vurdering av hvor lenge behandlingen skal pågå hos den enkelte pasienten.

Avtalen påvirker kun fremtidig pris for risdiplom, og har ingen innvirkning på verken tilgjengelighet av legemiddelet eller på kriterier for bruk av risdiplom.

Bruk av helsedata

Avtaleforslaget legger opp til å benytte Norsk register for arvelige nevro-muskulære diagnoser (NORNMD, tidligere Muskelregisteret) for å registrere motorisk funksjon og pustefunksjon hos pasientene. NORNMD har som formål *å forbedre kvaliteten på diagnostikk og behandling, samt tilstrebe et likeverdig helsetjenestetilbud i hele landet. Registeret skal også igangsette, fremme og stimulere til forskning omkring arvelige nevro-muskulære sykdommer, bidra til internasjonalt samarbeid og kunnskapspredning.*² Registeret er et reservasjonsbasert register regulert av helseregisterloven og forskrift om medisinske kvalitetsregistre.

Innrapportering av data til NORNMD kan gjøres ved at registrator logger seg på en nettbasert registerportal og deretter fyller inn relevant informasjon i et aktuelt skjema i en skjemabank. Helse Nord IKT er ansvarlig for utvikling av skjema som kan inngå i NORNMD. Anonymiserte data kan tilgjengeliggjøres for Sykehusinnkjøp av dataansvarlig for NORNMD så fremt statistikken skal brukes til formål som er innenfor registerets formål, jf. helseregisterloven § 19 tredje ledd. Det er vurdert av NORNMD at foreslått bruk av data er i tråd med registerets formål. NORNMD har utført en risikoanalyse. Hensikten med å analysen er å sikre at opplysningene som tilgjengeliggjøres fra NORNMD til Sykehusinnkjøp forblir anonyme.

Revurdering av fremtidig pris etter om lag 5 år:

Avhengig av om gjennomsnittseffekten for de voksne er positiv, uendret eller negativ skal pakningsprisen for voksne endres til:

| Gjennomsnittseffekt etter 5 år | RHF-AUP voksne tilbudt 22.3.2023 | Ny RHF-AUP voksne om 5 år |
|--------------------------------|----------------------------------|---------------------------|
| | [REDACTED] | [REDACTED] |
| Positiv | [REDACTED] | [REDACTED] |
| Uendret | [REDACTED] | [REDACTED] |
| Negativ | [REDACTED] | [REDACTED] |

² <https://unn.no/fag-og-forskning/medisinske-kvalitetsregistre/norsk-register-for-arvelige-og-medfodte-nevro-muskulere-sykdommer#om-registeret>



Sykehusinnkjøp HF sin vurdering

Sykehusinnkjøp vurderer at med tilbudt pris [REDACTED]

[REDACTED] Foreliggende avtaletekst tillater prisen å øke til en forhåndsavtalt pris om 5 år dersom effekten over tid er bedre enn forventet, og medfører at prisen senkes til forhåndsavtalt pris dersom effekten er lavere enn forventet. Sykehusinnkjøp vurderer at forslaget om resultatbasert avtale reduserer usikkerhet om langtidseffekt av behandlingen hos voksne. Roche og Sykehusinnkjøp har kommet til enighet om flere parametere, men det gjenstår noen sentrale punkter knyttet til avtalen. [REDACTED]

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom det blir besluttet å innføre risdiplam til voksne pasienter med SMA type 2 og 3, samt barn med SMA type 3b i Beslutningsforum 24.04.2023, kan legemiddelet tas i bruk til den aktuelle populasjonen fra 01.06.2023, da prisen kan gjelde fra denne dato.

Det er imidlertid en forutsetning at det kan gjennomføres en baseline måling av motorisk funksjon og pustefunksjon hos pasienten før oppstart, og at aktuelt skjema er tilgjengelig for registrering i NORMD (tidligere Muskelregisteret). Sykehusinnkjøp viser til at det er etablert start- og stopp-kriterier ifm. innføring av andre behandlinger til spinal muskelatrofi. Det må vurderes om det vil være relevant også for denne saken.

Informasjon om refusjon av risdiplam (Evrysdi) i andre land

Sverige: Kun godkjent for barn under 18 år³ (01.02.2022).

Danmark: Kun godkjent for barn under 6 år⁴ (15.12.2022).

Skottland (SMC): for the treatment of 5q spinal muscular atrophy (SMA) in patients 2 months of age and older, with a clinical diagnosis of SMA type 1, type 2 or type 3 or with one to four SMN2 [survival of motor neuron 2] copies.⁵ (07.02.2022).

England (NICE/NHS): Risdiplam is recommended as an option for treating 5q spinal muscular atrophy (SMA) in people 2 months and older with a clinical diagnosis of SMA types 1, 2 or 3 or with pre-symptomatic SMA and 1 to 4 SMN2 copies. It is recommended only if the conditions of the managed access agreement are followed.⁶ (16.12.2021). Anticipated company submission to NICE for guidance update: March 2024.

³ <https://janusinfo.se/download/18.6094712f17e9eaaed209ef6a/1643718207348/Evrysdi-Spinraza-och-Zolgensma-220201.pdf>

⁴ <https://medicinraadet.dk/nyheder/2022/medicinradet-medicin-mod-muskelsvind-kan-gavne-flere-born-og-voksne>

⁵ <https://www.scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/risdiplam-evrysdi-full-smc2401/>

⁶ <https://www.nice.org.uk/guidance/TA755/chapter/1-Recommendations>



Oppsummering

Legemiddelverket har utført en metodevurdering for behandling av barn med type 3b SMA og voksne med SMA. Det foreligger et forslag til alternativ prisavtale som omfatter både en resultatbasert og en finansiell komponent.

Dersom behandlingen besluttes innført i møte i Beslutningsforum 24.04.2023, kan legemiddelet tas i bruk til den aktuelle populasjonen fra 01.06.2023, da prisen kan gjelde fra denne dato. Oppstart av behandling vil også avhenge av at nytt skjema som kan inngå i NORNMD er ferdig utviklet av Helse Nord IKT og klart til bruk.

Asbjørn Mack
Fagsjef

Christina Kvalheim
Fagrådgiver

| Prosess | | |
|--|---|--|
| Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket | 08.04.2022 | |
| Henvendelse til leverandør om prisopplysninger | 10.06.2022 | |
| Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF | 22.03.2023 | |
| Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF | 31.03.2023 | |
| Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF | 359 dager hvorav 247 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemidelfirma og hvorav 34 dager i påvente av konseptgodkjenning i RHF. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 78 dager. | |