

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:** 23. mars 2026

ID2021_119: Avapritinib (Ayvakyt) monoterapi til behandling av voksne pasienter med aggressiv systemisk mastocytose (ASM), systemisk mastocytose med en tilknyttet hematologisk neoplasme (SM-AHN) eller mastcelleleukemi (MCL), etter minst én tidligere systemisk behandling

Bakgrunn

Det vises til metodevurderingsrapport fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) datert 21.11.2025, tidligere beslutninger i Nye metoder samt godkjent SPC for Ayvakyt.

I denne saken er det gjort en metodevurdering uten en helseøkonomisk analyse. Direktoratet for medisinske produkter (DMP) har kvalitativt vurdert prioriteringskriteriene nytte, alvorlighet og ressursbruk ved bruk av avapritinib ved aktuell indikasjon, samt usikkerhet i dokumentasjonsgrunnlaget og budsjettkonsekvenser.

Godkjent indikasjon:

Ayvakyt er indisert som monoterapi til behandling av voksne pasienter med aggressiv systemisk mastocytose (ASM), systemisk mastocytose med en tilknyttet hematologisk neoplasme (SM-AHN) eller mastcelleleukemi (MCL), etter minst én tidligere systemisk behandling.

Systemisk mastocytose er en sjelden tilstand med økt antall mastceller i kroppen som finnes i ulike former som ASM, SM-AHN og MCL. Muterte former av proteinene KIT og PDGFRA driver den ukontrollerte proliferasjonen av mastceller forbundet med mastocytose. Avapritinib er en selektiv type 1-tyrosinkinasehemmer som hemmer aktiviteten til disse proteinene.

Om dagens behandlingspraksis for aktuell indikasjon skriver DMP: «Det finnes per i dag ikke nasjonale retningslinjer for behandling av avansert systemisk mastocytose. Med unntak av allogen stamcelletransplantasjon er det ingen kurativ behandling. Midostaurin, en annen tyrosinkinasehemmer, er innført som monoterapi til behandling av voksne med aggressiv systemisk mastocytose, systemisk mastocytose med assosiert hematologisk neoplasme eller mastcelleleukemi (Nye metoder ID2017_053). Andre legemidler som forsøkes i varierende grad er kladribin, interferon,



imatinib, dasatinib. Ingen av disse har godkjent indikasjon for denne bruken.»

Videre skriver DMP følgende om forventet plassering av avapritinib i behandlingsalgoritmen:
«Avapritinib vil i henhold til godkjent indikasjon være et behandlingsalternativ i andre og senere linjer dersom behandlingen innføres. Det finnes i dag ingen entydig, etablert andrelinjebehandling. De medisinske fagekspertene rekruttert til oppdraget oppgir at de fleste pasienter i Norge får midostaurin som førstelinjebehandling. De mest aktuelle behandlingene i andrelinje er kladribin for pasienter tidligere behandlet med midostaurin, eller midostaurin for pasienter tidligere behandlet med annen behandling.»

Avapritinib har også andre godkjente indikasjoner:

- til behandling av inoperabel eller metastatisk gastrointestinal stromal tumor (GIST).
- til behandling av voksne pasienter med indolent systemisk mastocytose (ISM).

Tidligere beslutninger om innføring av avapritinib i Nye metoder:

ID2021_119: Beslutning interregionalt fagdirektørmøte (26.08.2024)

1. Fagdirektørmøte tar til orientering at *ID2021_119 Avapritinib (Ayvakyt) til behandling av avansert systemisk mastocytose* er avbestilt av Bestillerforum.
2. Legemidlet skal ikke benyttes til den aktuelle indikasjonen
3. Beslutningen legges frem som referatsak i Beslutningsforum og fagdirektørmøte ber om at beslutningen oversendes Nye metoder

ID2020_002: Beslutning interregionalt fagdirektørmøte (26.08.2024)

1. Fagdirektørmøte tar til orientering at *ID2020_002 Avapritinib (Ayvakyt) til behandling av avansert gastrointestinal stromal tumor* er avbestilt av Bestillerforum.
2. Legemidlet skal ikke benyttes til den aktuelle indikasjonen
3. Beslutningen legges frem som referatsak i Beslutningsforum og fagdirektørmøte ber om at beslutningen oversendes Nye metoder

ID2023_043: Beslutning interregionalt fagdirektørmøte (23.09.2024)

1. Fagdirektørmøte tar til orientering at *ID2023_043 Avapritinib (Ayvakyt) til behandling av voksne pasienter med indolent systemisk mastocytose (ISM) med moderate til alvorlige symptomer som ikke er tilstrekkelig kontrollert med symptomatisk behandling* er avbestilt av Bestillerforum.
2. Legemidlet skal ikke benyttes til den aktuelle indikasjonen
3. Beslutningen legges frem som referatsak i Beslutningsforum og fagdirektørmøte ber om at beslutningen oversendes Nye metoder

4.oktober 2024 anmodet leverandør om vurdering i Nye metoder for avansert systemisk mastocytose (ID2021_119) og GIST (ID2020_002). Leverandør har imidlertid ikke anmodet om vurdering av ISM (ID2023_043). For ID2020_002 er det en pågående separat prosess i Nye metoder.

Sykehusinnkjøp har hatt felles prisforhandlinger med leverandør i forbindelse med ID2021_119 og ID2020_002.



Pristilbud

Blueprint Medicines har 13.03.2026 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
588201	Ayvakyt, tablett 300 mg, 30 stk	249 936,30 NOK	
101175	Ayvakyt, tablett 200 mg, 30 stk	249 936,30 NOK	
571870	Ayvakyt, tablett 100 mg, 30 stk	249 936,30 NOK	
099784	Ayvakyt, tablett 50 mg, 30 stk	249 936,30 NOK	
497071	Ayvakyt, tablett 25 mg, 30 stk	249 936,30 NOK	

Dette tilsvarer en årskostnad på [redacted] med tilbudt RHF-AUP og 3 040 892 NOK med maks AUP. Årskostnaden er beregnet med dosering 200 mg avapritinib per dag i henhold til SPC. Månedskostnaden for Ayvakyt er [redacted] RHF-AUP.

Behandlingen skal fortsette frem til sykdomsprogresjon eller uakseptabel toksisitet oppstår.

Kostnadseffektivitet

Det er ikke gjort beregning av kostnadseffektivitet i denne saken.

I metodevurderingen har DMP sammenlignet legemiddelkostnader per år og legemiddelkostnader per behandlingssløp for behandling med avapritinib, midostaurin og kladribin basert på apotekenes maksimale utsalgspris (AUP), uten merverdiavgift (mva.).

Sykehusinnkjøp har oppdatert legemiddelkostnadene med konfidensielle avtalepriser (RHF-AUP) og merverdiavgift. Resultatene er vist i tabellen under.

Preparat	Kostnad per år inkl. mva.		Kostnad per behandlingssløp inkl. mva.	
	Maks AUP	RHF AUP	Maks AUP	RHF AUP
Avapritinib* Ayvakyt	3 040 892 NOK		6 081 783 NOK*	
Midostaurin^ Rydapt	4 431 991 NOK		4 431 991 NOK^	
Kladribin+ Litak	135 583 NOK		135 583 NOK	

* behandlingsvarighet 2 år

^ behandlingsvarighet 1 år

+ behandlingsvarighet 6 sykluser a 28 dager

I kostnadssammenligningen har DMP lagt til grunn en gjennomsnittlig behandlingsvarighet på 2 år med avapritinib, 1 år med midostaurin og et fullt behandlingssløp på 6 sykluser med kladribin. Om forventet behandlingsvarighet med avapritinib og midostaurin i klinisk praksis skriver DMP følgende: «Hvilken behandlingsvarighet som kan forventes i klinisk praksis er imidlertid usikkert. Begge preparatene bør gis til sykdomsprogresjon eller uakseptabel toksisitet. Lengre tid på behandling kan indikere bedre effekt og/eller toleranse, men DMP understreker at en slik naiv sammenligning er meget usikkert.»

I forbindelse med kostnadsberegningene skriver DMP følgende: «DMP tror ikke at avapritinib, brukt i henhold til godkjent indikasjon fra andre behandlingsslinje, vil erstatte midostaurin hos de fleste pasienter, men vi inkluderer likevel sammenligningen av legemiddelkostnadene for å sette kostnadsnivået i kontekst.»



Videre skriver DMP: «Fagekspertene har gitt innspill at de anser avapritinib som en mer effektiv behandling enn dagens andrelinjealternativer, og peker på at det vil være ønskelig å benytte avapritinib i stedet for midostaurin. DMP understreker at godkjent indikasjon for avapritinib, og rammene for denne metodevurderingen, er som behandling i andre linje eller senere, typisk etter behandling med midostaurin.»

Budsjttkonsekvenser

DMP har beregnet følgende budsjttkonsekvenser for spesialisthelsetjenestens legemiddelbudsjett

Pris	Budsjttkonsekvenser
Maks AUP inkl. mva.	ca. 13,5 millioner NOK
Avtalepris mottatt 13.03.2026 inkl. mva.	

DMP har lagt følgende forutsetninger til grunn for budsjttberegningene: «Det er lagt til grunn at 3 nye pasienter årlig starter behandling med avapritinib og 6 pasienter får behandlingen hvert år i det andre og påfølgende budsjttårene. Dersom avapritinib ikke innføres, er det antatt at 2 av pasientene vil motta behandling med kladribin, mens 1 pasient vil motta midostaurin.»

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom avapritinib blir besluttet innført av Beslutningsforum 27.04.2026 kan legemiddelet tas i bruk fra 15.06.2026 for denne indikasjonen, da ny pris kan gjelde fra denne datoen.

Informasjon om refusjon av avapritinib (Ayvakyt) i andre land

Sverige: ingen beslutning identifisert

Danmark: innført, mai 2024¹

«Medicinrådets anbefaling vedr. avapritinib til behandling af avanceret systemisk mastocytose - Monoterapi til voksne patienter med aggressiv systemisk mastocytose (ASM), systemisk mastocytose med associeret hæmatologisk neoplasma (SM-AHN) eller mastcelleleukæmi (MCL) efter mindst én systemisk behandling, version 1.0

Medicinrådet anbefaler avapritinib til behandling af voksne patienter med avanceret systemisk mastocytose. Det er en gruppe af sjældne sygdomme, som medfører nedsat livskvalitet og kort levetid, fordi der sker en ophobning af mastceller, der både giver stærke gener og organskade. Avapritinib gives til patienter, der har fået sygdomsforværring eller bivirkninger efter behandling med midostaurin eller anden systemisk behandling. Patienterne opnår et hurtigt respons og bedring i livskvalitet sammenlignet med tiden før behandling. Det er usikkert, om patienterne også lever længere, og der kan også være alvorlige bivirkninger ved behandlingen.

Der er aktuelt ikke andre relevante behandlingsalternativer til disse få patienter med alvorlig sygdom. Selvom omkostningerne er høje, vurderer Medicinrådet derfor, at omkostningerne til behandlingen med avapritinib er acceptable. Det gælder især patienter, der har svær kvalme og opkastning under behandling med midostaurin.»

¹ <https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/a/avapritinib-ayvakyt-avanceret-systemisk-mastocytose>



Skottland (SMC): pågående vurdering.²

England (NICE/NHS): innført, november 2024.³

“Avapritinib is recommended, within its marketing authorisation, as an option for treating advanced systemic mastocytosis (including aggressive systemic mastocytosis, systemic mastocytosis with an associated haematological neoplasm and mast cell leukaemia) in adults. Avapritinib is only recommended if the company provides it according to the commercial arrangement.”

Oppsummering

DMP har gjort en metodevurdering uten en helseøkonomisk analyse men med en kvalitativ vurdering av prioriteringskriteriene ved bruk av avapritinib ved aktuell indikasjon, samt usikkerhet i dokumentasjonsgrunnlaget og budsjettkonsekvenser.

Det er presentert en sammenligning av legemiddelkostnader for behandling med avapritinib, midostaurin og kladribin.

Budsjettkonsekvenser ved en eventuell innføring av avapritinib til aktuell indikasjon er beregnet til [REDACTED] RHF-AUP.

Dersom avapritinib blir besluttet innført av Beslutningsforum 27.04.2026 kan legemiddelet tas i bruk fra 15.06.2026 for denne indikasjonen, da ny pris kan gjelde fra denne datoen.

Christina Sivertsen
Fagsjef

Kristian Samdal
Fagrådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	18.11.2025	Endelig rapport mottatt 24.11.2025
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	19.11.2025	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	13.03.2026	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	23.03.2026	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	125 dager hvorav 114 dager i påvente av prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 11 dager.	

² <https://scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/avapritinib-ayvakyt-full-smc2849/>

³ <https://www.nice.org.uk/guidance/ta1012>