

# 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:** 24. mars 2026

## **ID2020\_002: Avapritinib (Ayvakyt) monoterapi til behandling av voksne pasienter med inoperabel eller metastatisk gastrointestinal stromal tumor (GIST) som har blodplatederivert vekstfaktor-reseptor alfa (PDGFRA) D842V-mutasjon**

### **Bakgrunn**

Det vises til metodevurderingsrapport fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) datert 22.12.2025, tidligere beslutninger i Nye Metoder samt godkjent SPC for Ayvakyt.

I denne saken er det gjort en metodevurdering uten helseøkonomisk analyse. DMP har kvalitativt vurdert prioriteringskriteriene nytte og alvorlighet ved bruk av avapritinib ved aktuell indikasjon, samt usikkerhet i dokumentasjonsgrunnlaget.

Godkjent indikasjon:

*AYVAKYT er indisert som monoterapi til behandling av voksne pasienter med inoperabel eller metastatisk gastrointestinal stromal tumor (GIST) som har blodplatederivert vekstfaktor-reseptor alfa (PDGFRA) D842V-mutasjon.*

Avapritinib er en selektiv type 1-tyrosinkinasehemmer som hemmer aktiviteten til muterte former av KIT og PDGFRA, som er drivere i utviklingen av GIST. Legemidlet binder seg til den aktive formen av disse enzymene og har særlig høy affinitet for PDGFRA D842V- og KIT D816V-mutasjonene, som er kjent for å gi resistens mot andre behandlinger som brukes til GIST.

Tidligere beslutninger i Nye Metoder:

- 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

Andre indikasjoner:

- 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 (metodevurdering og prisnotat ferdigstilt, ikke besluttet enda)
- ID2023\_043: Indolent systemisk mastocytose (ISM): AYVAKYT er indisert til behandling av voksne pasienter med indolent systemisk mastocytose (ISM) med moderate til alvorlige symptomer som ikke er tilstrekkelig kontrollert med symptomatisk behandling. (avbestilt den 23.09.2024 da legemiddelfirma ikke leverte dokumentasjon til metodevurderingen)

Ifølge metodevurderingen er GIST en sjelden type sarkom som oppstår i mage-tarmkanalen. De fleste tilfeller skyldes mutasjoner i KIT- eller PDGFRA-genet, som fører til ukontrollert celledeling. Omtrent 5–10 % av pasienter med avansert GIST har en PDGFRA-mutasjon, oftest D842V, som er assosiert med primær resistens mot vanlige tyrosinkinasehemmere (TKI) inkludert imatinib, sunitinib og regorafenib. Disse pasientene har en dårlig prognose og en betydelig sykdoms- og symptombyrde.

Standard 1. linje behandling for pasienter med avansert GIST er imatinib, men grunnet mutasjonen responderer denne pasientgruppen ikke på standardbehandlingen. Ifølge kliniske eksperter i metodevurderingen foreligger det pr. i dag i norsk klinisk praksis ikke et effektivt behandlingstilbud for pasienter med avansert GIST med PDGFRA D842V-mutasjon. Disse pasienter får ingen medikamentell tumorrettet behandling. Prognosen er dårlig med median totaloverlevelse på ca. 15 måneder. Dette er betydelig dårligere enn for øvrige pasienter med avansert GIST, hvor median overlevelsen er over 6 år.

Ifølge innspill fra de medisinske fageksperter vil avapritinib være aktuelt som 1. linjebehandling for denne pasientgruppen.

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	
99784	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 300mg avapritinib en gang daglig i henhold til SPC. Månedskostnaden for avapritinib er [redacted] RHF-AUP.

Behandlingen skal fortsette inntil progresjon eller uakseptabel toksisitet.



## Kostnadseffektivitet

Det er ikke gjort beregning av kostnadseffektivitet i denne saken.

## Budsjettkonsekvenser

DMP har estimert årlig budsjettvirkning for sykehusene ved å ta i bruk avapritinib ved behandling av voksne pasienter med inoperabel eller metastatisk GIST som har PDGFRA D842V-mutasjon. Det er lagt til grunn at 1 ny pasient vil starte behandling med avapritinib annethvert år og med en antatt behandlingsvarighet på om lag 2 år, medfører dette 1 pasient på behandling årlig. Sykehusinnkjøp har oppdatert beregningene med tilbudt pris.

Pris	Budsjettvirkning
Maks AUP inkl. mva.	Ca. 3 millioner NOK
Avtalepris mottatt 13.03.2026 inkl. mva.	

Dersom avapritinib blir innført, regner DMP med at alle pasienter med PDGFRA D842V mutasjon vil bli behandlet med avapritinib, ettersom det ikke finnes andre effektive behandling for denne pasientgruppen i dag.

## 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 informasjon

Danmark: 22.05.2024 Medicinrådet **anbefaler** avapritinib til behandling af kræftsygdommen gastrointestinal stromal tumor (GIST) med PDGFRA-D842V-mutation, hvor sygdommen er inoperabel eller metastatisk.<sup>1</sup>

Skottland (SMC): 11.10.2021 avapritinib (Ayvakyt®) is not recommended for use within NHSScotland. The holder of the marketing authorisation has not made a submission to SMC regarding this product in this indication. As a result we cannot recommend its use within NHSScotland.<sup>2</sup>

England (NICE/NHS): 29.09.21 NICE is unable to make a recommendation on avapritinib (Ayvakit) for treating unresectable or metastatic gastrointestinal stromal tumours in adults. Blueprint Medicines will not be launching the technology in the UK and has confirmed it will withdraw its submission.<sup>3</sup>

## Oppsummering

Ifølge fagekspertene foreligger det pr. i dag ikke et effektivt behandlingstilbud for pasienter med avansert GIST med PDGFRA D842V-mutasjon i norsk klinisk praksis. Dersom avapritinib blir innført, vil det være aktuelt som 1. linjebehandling for denne pasientgruppen.

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.

<sup>1</sup> <https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/a/avapritinib-ayvakyt-gastrointestinal-stromal-tumor-gist>

<sup>2</sup> <https://scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/avapritinib-ayvakyt-non-sub-smc2424/>

<sup>3</sup> <https://www.nice.org.uk/guidance/ta730>



Christina Sivertsen

Eva Hennem Kolmos

Fagsjef

Medisinsk rådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	16.12.2025	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	19.12.2025	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	13.03.2026	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	24.03.2026	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	98 dager hvorav 84 dager i påvente av prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 14 dager.	