

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:** 18. mars 2025

ID2020_068: Eladocagene exuparvovec (Upstaza) til behandling av pasienter i alderen 18 måneder og eldre med en klinisk, molekylær og genetisk bekreftet diagnose av aromatisk L-aminosyredekarboksylase (AADC)-mangel med en alvorlig fenotype

Bakgrunn

Det vises til metodevurderingsrapport fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) datert 30.09.2024 samt godkjent SPC for Upstaza. Metodevurderingen er en forenklet vurdering med vurdering av effekt, sikkerhet og ressursbruk.

Eladocagene exuparvovec (EE) er et genterapilegemiddel. Behandlingen er en engangsbehandling som administreres i putamen. Ifølge medisinske fageksperter som DMP har konsultert med må behandling med EE administreres i utlandet, på utenlandsk senter med spesialisert kompetanse og riktig stereotaktisk utstyr. PTC har ikke søkt om maksimalpris for Upstaza i Norge. I DMPs metodevurderingsrapport presenterer det beregninger som legger til grunn en referansepris som refereres i innsendt dokumentasjon fra leverandør.

Godkjent indikasjon:

Upstaza er indisert for behandling av pasienter i alderen 18 måneder og eldre med en klinisk, molekylær og genetisk bekreftet diagnose av aromatisk L-aminosyredekarboksylase (AADC)-mangel med en alvorlig fenotype.

Pristilbud

PTC Therapeutics har 14.3.2025 bekreftet at de ikke kan levere inn et tilbud på nåværende tidspunkt. Videre har PTC Therapeutics hittil ikke kunnet bekrefte enighet om betingelsene i avtaleverket for gen- og cellerapi som ble innført fra 1.7.2022.

I dag har PTC Therapeutics etablert behandlingssenter blant annet ved Montpellier University Hospital (Frankrike) og University Hospital Heidelberg (Tyskland).



Det er uklart når leverandøren vil kunne levere inn et pristilbud.

Informasjon om refusjon av eladocagene exuparvovec (Upstaza) i andre land (per 17.03.2025)

Sverige: Status «Planerade hälsoekonomiska bedömningar»¹

Danmark: Ingen relevant informasjon identifisert

Skottland (SMC): Innført 15.4.2024 gjennom «ultra-orphan pathway» med betingelse om revurdering etter 3 år.²

England (NICE/NHS): Besluttet innført³

Oppsummering

PTC Therapeutics har ikke tilbudt pris for Upstaza. Det er uklart når leverandøren vil kunne levere inn et pristilbud, inkludert inngå en prisavtale som er i henhold til kriteriene i avtaleverket for gen- og celleterapi.

Anne Marthe Ringerud
Fagsjef

Hana Mikami Salyga
Fagrådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	16.09.2024	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	27.09.2024	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	Ikke mottatt tilbud per 14.03.2025	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	18.03.2025	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	183 dager hvorav 168 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma (ikke mottatt). Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 15 dager.	

¹ [Hälsoekonomiska bedömningar och rapporter klinikläkemedel - Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket TLV](#)

² [eladocagene exuparvovec \(Upstaza\)](#)

³ [1 Recommendations | Eladocagene exuparvovec for treating aromatic L-amino acid decarboxylase deficiency | Guidance | NICE](#)