

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 2025

ID2022_049: Ganaksolon (Ztalmy) tilleggsbehandling av epileptiske anfall assosiert med syklinavhengig kinaselignende 5 (CDKL5)-mangel (CDD) hos pasienter i alderen 2-17 år. Behandlingen med Ztalmy kan fortsette hos pasienter som er 18 år og eldre.

Bakgrunn

Det vises til metodevurderingsrapport fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) datert 09.12.2024 samt godkjent SPC for Ztalmy. Metodevurderingen til DMP er en forenklet metodevurdering med en vurdering av effekt og sikkerhet. Det foreligger ingen helseøkonomisk analyse, men det er presentert legemiddelkostnader for relevante behandlinger samt budsjettkonsekvenser.

Godkjent indikasjon:

Ztalmy er indisert for tilleggsbehandling av epileptiske anfall assosiert med syklinavhengig kinaselignende 5 (CDKL5)-mangel (CDD) hos pasienter i alderen 2 til 17 år. Behandling med Ztalmy kan fortsette hos pasienter som er 18 år og eldre.

Immedica har ikke levert pristilbud i denne saken. Beslutningen vil derfor fattes på bakgrunn av makspriser fastsatt av DMP. Saken vil revurderes dersom Immedica leverer pristilbud på Ztalmy.

Pristilbud

Immedica har ikke levert pristilbud i denne saken.

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.
057436	Ztalmy mikstur 50 mg/ml, 5x110 ml	65 721,40 NOK
406292	Ztalmy mikstur 50 mg/ml, 1x110 ml	13 173,30 NOK



Dette tilsvarer en årskostnad på 1 165 047 NOK med maks AUP. Årskostnaden er beregnet med dosering med ganaksolon på 63 mg/kg per dag i henhold til SPC, og en gjennomsnittsvikt per pasient på 21,2 kg¹. Månedskostnaden for Ztalmy er 97 087 NOK maks AUP.

Behandling med ganaksolon antas å fortsette så lenge pasienten opplever tilfredsstillende effekt og akseptable bivirkninger. Legemiddelkostnadene vil derfor øke ettersom pasientene vokser. For pasienter over 28 kg er anbefalt dose 1 800 mg ganaksolon per dag. Dette tilsvarer en årskostnad og månedskostnad på henholdsvis 1 570 144 NOK og 130 845 NOK med maks AUP.

Kostnadseffektivitet

Det er ikke gjort beregning av kostnadseffektivitet i denne saken.

DMP skriver følgende: «DMP har gjort forenklete beregninger av legemiddelkostnader ved å ta utgangspunkt i anbefalt vedlikeholdsdosering i preparatomtalen og en gjennomsnittlig pasientvekt på 21,2 kg, hentet fra Marigold studien. Priser er basert på maksimal AUP med mva.

Legemiddelkostnaden for én måneds behandling med ganaksolon er 97 376 kroner og årskostnaden er 1 167 619.

Til sammenligning er legemiddelkostnaden for én måneds behandling med tradisjonelle antiepileptika beregnet til 700 – 2 000 kr per måned.

For fenfluramin er kostnaden inntil ca. 40 000 kr, og for cannabidiol ca. 10 000 kr for én måneds behandling. Det foreligger rabatterte priser for fenfluramin og cannabidiol.»

Budsjettkonsekvenser

DMP skriver følgende:

«Dersom inntil 10 pasienter får behandling med ganaksolon, så vil dette tilsvare en årlig budsjettkonsekvens på inntil 12 millioner kr, basert på maksimal AUP med mva. for ganaksolon og dersom man regner med en gjennomsnittsvikt på 21, 2 kg (hentet fra Marigold studien). Det vil være en feilmargin i beregningen av budsjettkonsekvens da kostnaden for ganaksolon er avhengig av dose/vekt. Budsjettkonsekvens for inntil 10 pasienter på maksimal dose (1800 mg/dag) vil til sammenligning tilsvare en årlig budsjettkonsekvens på inntil 16 millioner kr.»

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom Ztalmy blir besluttet innført av Beslutningsforum 28.04.2025 kan legemiddelet tas i bruk fra 01.06.2025 for denne indikasjonen, da ny pris kan gjelde fra denne datoen.

Informasjon om refusjon av Ztalmy (ganaksolon) i andre land

Sverige: ingen beslutning identifisert.

Danmark: ingen beslutning identifisert.

Skottland (SMC): ingen beslutning identifisert.

England (NICE/NHS): besluttet ikke innført februar 2025.

¹ Gjennomsnittsvikt per pasient i Marigold studien.



“Ganaxolone is not recommended, within its marketing authorisation, as an add-on treatment option for seizures caused by cyclin-dependent kinase-like 5 (CDKL5) deficiency disorder (CDD) in children and young people aged 2 to 17 years and adults who turn 18 while on treatment.”

Lenke: <https://www.nice.org.uk/guidance/ta1033>

Oppsummering

Immedica har ikke levert pristilbud i denne saken. Beslutningen vil derfor fattes på bakgrunn av maksimalpriser.

Med maksimalpriser er legemiddelkostnadene ved behandling med ganaxolon vesentlig høyere enn legemiddelkostnadene for behandling med tradisjonelle antiepileptika, fenfluramin og cannabidiol.

Dersom 10 pasienter får behandling med ganaxolon, vil dette tilsvare en årlig budsjettkonsekvens på ca. 12 millioner NOK maks AUP, dersom man regner med en gjennomsnittsvekt på 21,2 kg.

Dersom Ztalmy blir besluttet innført av Beslutningsforum 28.04.205 kan legemiddelet tas i bruk fra 01.06.2025 for denne indikasjonen, da ny pris kan gjelde fra denne datoen.

Anne Marthe Ringerud
Fagsjef

Kristian Samdal
Fagrådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	07.11.2024	Ferdig rapport mottatt 10.12.2024
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	10.12.2024	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	19.03.2025	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	24.03.2025	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	137 dager hvorav 99 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma, og hvorav 33 dager i påvente av endelig metodevurderingsrapport. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 5 dager.	