

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: 30.04.2024

ID2024_033: Lumakaftor/ivakaftor (Orkambi) granulat til behandling av cystisk fibrose hos pasienter >1 år som er homozygote for F508 delmutasjonen i CTFR-genet

Bakgrunn

Det vises til møte i Bestillerforum 22.04.2024 der følgende oppdrag ble bestilt:

Et prisnotat utarbeides ved Sykehusinnkjøp HF for lumakaftor/ivakaftor (Orkambi) granulat til behandling av cystisk fibrose hos pasienter >1 år som er homozygote for F508 delmutasjonen i CTFR-genet.

Indikasjonsutvidelsen ble godkjent i EMA 04.07.2023.

Godkjent indikasjon:

Orkambi granulat er indisert til behandling av cystisk fibrose (CF) hos pasienter 1 år og eldre som er homozygote for F508del-mutasjonen i cystisk fibrose transmembran konduktansregulator (CFTR)-genet

Lumakaftor/ivakaftor er tidligere besluttet innført til:

- behandling av cystisk fibrose hos pasienter over to år som er homozygote for F508 delmutasjonen i CTFR-genet (ID2018_111, beslutningsdato 25.04.2022).

Foreliggende indikasjon omfatter en utvidet bruk til barn fra 1 års alder, med tilhørende ny pakning/styrke tilpasset den nye pasientpopulasjonen.



Pristilbud

Vertex har 25.04.2024 bekreftet at følgende pris skal ligge til grunn for beslutning:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
107310	Orkambi, granulater i dosepose, 75 mg/94 mg, 56 doseposer	133 234 NOK	

Dette tilsvarer en årskostnad på [REDACTED] med tilbudt RHF-AUP og 1 742 262 NOK med maks AUP. Årskostnaden er beregnet med dosering 2 doseposer daglig i henhold til SPC. Månedskostnaden for Orkambi er [REDACTED] RHF-AUP.

Kostnadseffektivitet

Det er ikke beregnet kostnadseffektivitet ved bruk av lumakaftor/ivakaftor til aktuell indikasjon.

Budsjettkonsekvenser

Det er ikke beregnet budsjettkonsekvenser for innføring av aktuell indikasjon.

Det er usikkert hvor mange pasienter som kan være aktuelle for metoden. Dagens forbruk av lumakaftor/ivakaftor i Norge ved innført indikasjon (dvs. pasienter over 2 år) er lavt, og en utvidelse av godkjent bruk til pasienter fra 1 års alder vil neppe føre til budsjettøkninger av betydning.

Alternativ prisavtale

I forbindelse med opprinnelig innføring av Kaftrio til behandling av cystisk fibrose ble det inngått en alternativ prisavtale. [REDACTED]

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom lumakaftor/ivakaftor blir besluttet innført på møte i Beslutningsforum 27.05.2024, kan legemiddelet tas i bruk til aktuell indikasjon fra beslutningstidspunktet.

Informasjon om refusjon av lumakaftor/ivakaftor (Orkambi) i andre land

Sverige: Besluttet innført til behandling av pasienter fra 6 år og eldre siden 01.07.2018¹. Ingen beslutning identifisert vedrørende behandling av barn fra 1 år og eldre.

Danmark: 1.oktober 2018 ble det inngått en porteføljeavtale mellom Amgros og Vertex. Avtalen er 4-årig med mulighet til forlengelse, og innebærer at et fast årlig beløp uavhengig av hvor mange pasienter som behandles, og uavhengig av hvilke CFTR-modulatorer fra Vertex som forskrives²

Skottland (SMC) og England (NICE/NHS): Det er inngått en avtale om interimtilgang til CFTR-modulatorer med samtidig datainnsamling. Som del av avtalen, har Vertex forpliktet seg til å sende

¹ <https://www.tlv.se/beslut/beslut-lakemedel/generell-subvention/arkiv/2018-06-14-orkambi-ingar-i-hogkostnadsskyddet.html?query=orkambi>

² <https://www.amgros.dk/om-amgros/nyheder/aftale-sikrer-patienter-med-cystisk-fibrose-nyeste-behandling/>



dokumentasjon for Orkambi, Symkevi og Kaftrio til NICE innen en avtalt tidsramme. Avtalen gjelder frem NICE sin anbefaling basert på en metodevurdering av nye data er publisert eller terminering av tilgangsavtalen mellom NHSE&I og Vertex via NHS³⁴.

Oppsummering

Lumakaftor/ivakaftor har vært innført til behandling av pasienter over 2 år siden april 2022.

Dersom lumakaftor/ivakaftor blir besluttet innført til aktuell pasientpopulasjon på møte i Beslutningsforum 27.05.2024, kan den nye legemiddelpakningen tas i bruk umiddelbart.

Anne Marthe Ringerud
Fagsjef

Morten Søndena
Fagrådgiver

³ <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance/data-collection-agreement>

⁴ <https://www.scottishmedicines.org.uk/about-us/latest-update/joint-statement-nice-and-smchis-collaboration-on-mta-for-cystic-fibrosis/>



Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	n.a.	Oppdrag bestilt i Bestillerforum: 22.04.2024
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	25.04.2024	
Fullstendige opplysninger (pris og SPC) fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	25.04.2024	
Aktuell indikasjon godkjent	04.07.2023	Dato for Kommissjonsvedtak
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	30.04.2024	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	9 dager hvorav 1 dag i påvente av ytterligere opplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 8 dager.	