

Notat

Til:

Helse Nord RHF	Fagdirektør	Per Rønning
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:** 20. mai 2026

ID2025_106: Mirdametinib (Ezmekly) monoterapi til behandling av symptomatiske, inoperable pleksiforme neurofibromer (PN) hos pediatriske pasienter (NF1) i alderen 2 år og eldre

Bakgrunn

Det vises til møte i Bestillerforum 16.03.2026 der følgende oppdrag ble bestilt:

Et prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.

Det vises dessuten til anmodning fra leverandør, egnethetsvurdering fra DMP, godkjente preparatomtaler samt tidligere beslutninger i Beslutningsforum.

Legemiddelet fikk markedsføringstillatelse i Norge 17.07.2025.

Godkjent indikasjon:

Ezmekly som monoterapi er indisert til behandling av symptomatiske, inoperable pleksiforme neurofibromer (PN) hos pediatriske og voksne pasienter med neurofibromatose type 1 (NF1) i alderen 2 år og eldre.

Mirdametinib er en MEK hemmer til behandling av pasienter med den genetiske sykdommen NF1. Pasientene kan utvikle svulster langs nervekjeder (PN). Svulstene er godartede men kan bli store og avhengig av lokasjon forårsake deformiteter, funksjonstap, smerter og true vitale organer inkludert luftveier og store blodkar. I sjeldne tilfeller kan svulstene også utvikles til maligne tumorer.

Mirdametinib har indikasjon til behandling av barn og voksne. Denne saken omhandler barneindikasjonen, mens det foreligger en separat bestilling i Nye metoder for vurdering av mirdametinib til voksne pasienter (ID2026_016). Årsaken til at det foreligger separate bestillinger er at dagens standardbehandling for voksne og barn er forskjellig. I egnethetsvurderingen skriver DMP at dagens standardbehandling for voksne pasienter er standard støttebehandling (BSC) som fysioterapi og smertestillende behandling, mens for pediatriske pasienter er dagens standardbehandling selumetinib (Koselugo) i kombinasjon med BSC. Selumetinib er en annen MEK-



hemmer med samme indikasjon som mirdametinib, bortsett fra at mirdametinib har indikasjon for pediatriske pasienter fra 2 år og oppover mens selumetinib har indikasjon for pediatriske pasienter fra 3 år og oppover.

I januar 2026 ble selumetinib innført med gitte vilkår som monoterapi til behandling av PN hos pediatriske pasienter med NF1 (ID2021_062). Etter innføringen av selumetinib til barn har selumetinib senere fått indikasjon til behandling av voksne pasienter. Leverandør av selumetinib har per i dag ikke anmodet om vurdering av voksne pasienter. For selumetinib til pediatriske pasienter foreligger følgende beslutning:

Beslutning i Beslutningsforum for nye metoder (19.01.2026)¹:

1. Selumetinib (Koselugo) innføres som monoterapi til behandling av symptomatiske, inoperable pleksiforme neurofibromer (PN) hos pediatriske pasienter med neurofibromatose type 1 (NF1) i alderen 3 år og eldre.

Følgende vilkår gjelder:

Startkriterier:

- Behandling med Koselugo skal kun startes av lege ved sykehusavdeling som har erfaring med diagnostisering og behandling av pediatriske pasienter med neurofibromatose type 1.
- Kun pasienter med alvorlige symptomer og stor forventet nytteverdi er aktuelle for behandling, tatt i betraktning potensielle bivirkninger og legemidlets kostnad.
 - Ved PN som klemmer på vitale strukturer som gir klare symptomer, eller gir risiko for å utvikle alvorlige, eventuelt livstruende komplikasjoner. Eksempler inkluderer PN som hindrer luftveier og lunger, blære, tarm, store blodkar til vitale strukturer, medføre synstap eller truer funksjon i armer og ben.
 - Ved alvorlig disfigurering (synlige tumormasser) i ansikt/nakke eller ekstremiteter som oppleves stigmatiserende kan også i enkelte tilfeller anses som alvorlige symptomer, med tanke på livskvalitet.
 - PN eller gliom må være inoperabelt, definert som at det ikke kan fjernes komplett kirurgisk uten risiko for betydelig morbiditet. Dette kan skyldes nærhet til vitale strukturer, innvekst i omkringliggende vev, eller at det er svært vaskularisert. Avgjørelsen om inoperabilitet bør tas av et tverrfaglig team.
 - Pasienter med mikrodelesjoner, en spesiell genfeil som gir klart økt kreftrisiko (utover den generelle NF1-risikoen) og ofte debuterer med store tumormasser tidlig i livet, kan være aktuelle for behandling.

Stoppkriterier:

- Ved manglende effekt over tid, der tumoren ikke krymper eller stopper å vokse.
- Behandlingen skal avsluttes ved progresjon av PN. Dette er definert som en økning i PN-volum på $\geq 20\%$ fra baseline, eller fra beste respons dersom pasienten hadde oppnådd delvis respons.
- Behandlingen skal stoppes ved utvikling av uakseptabel toksisitet. Dette inkluderer bivirkninger av grad ≥ 3 eller intolerable bivirkninger av grad 2. Hvis bivirkningene ikke bedres til grad 0 eller 1 innen 21 dager etter behandlingsstopp, skal behandlingen seponeres permanent.

¹ <https://www.nyemetoder.no/metoder/selumetinib-koselugo/>



- Det bør vurderes å avslutte behandlingen når de blir voksne. Videre behandling inn i voksen alder må baseres på en individuell vurdering av nytte og risiko.
 - Dersom behandlingen fører til en slik reduksjon i PN-størrelse at svulsten blir operabel, kan behandlingen vurderes avsluttet til fordel for kirurgi.
 - Behandlingspause kan være aktuelt ved vedvarende effekt, med mulighet for å gjenoppta behandlingen ved tumortilvekst/symptomer.
2. Det forutsetter at prisen er lik eller lavere enn den prisen som er grunnlaget for denne beslutningen.
 3. Behandlingen kan tas i bruk fra 15.03.2026, da ny pris kan gjelde fra denne datoen.

Pristilbud

Merck har 18.05.2026 etter prisforhandlinger, bekreftet at følgende pris skal ligge til grunn for beslutning:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
583521	Ezmekly, kapsel 1 mg, 42 stk	76 797,80 NOK	
551974	Ezmekly, dispergerbar tablett 1 mg, 42 stk	76 797,80 NOK	
562104	Ezmekly, kapsel 2 mg, 42 stk	153 307,10 NOK	

Behandling med Ezmekly skal fortsette til progresjon av PN eller utvikling av uakseptabel toksisitet. Års- og månedskostnader (NOK) for Ezmekly i henhold til anbefalt dosering fra SPC, med RHF-AUP inkl. mva. og maksimal AUP inkl. mva., er vist i tabellen under:

BSA	Total daglig dose	Kostnad pr år Maks AUP	Kostnad pr mnd Maks AUP	Kostnad pr år RHF-AUP	Kostnad pr mnd RHF-AUP
0,40-0,69 m ²	2 mg	998 371 NOK	83 198 NOK		
0,70-1,04 m ²	4 mg	1 992 992 NOK	166 083 NOK		
1,05-1,49 m ²	6 mg	2 991 364 NOK	249 280 NOK		
≥1,50 m ²	8 mg	3 985 985 NOK	332 165 NOK		

Merck har bekreftet at pristilbudet også gjelder dersom det settes tilsvarende vilkår for bruk som de kriterier som er satt for behandling med selumetinib.

Kostnadseffektivitet

Det er ikke beregnet kostnadseffektivitet ved bruk av mirdametinib til aktuell indikasjon.

Det er bestilt et prisnotat der kostnader ved behandling med mirdametinib sammenlignes med kostnader ved behandling av selumetinib. I egnethetsvurderingen fra DMP står det følgende: «For pediatriske pasienter er selumetinib relevant komparator. Mirdametinib er ikke sammenlignet direkte med selumetinib i en klinisk studie. Det europeiske legemiddelbyrået (EMA) har vurdert at hos pediatriske pasienter i alderen ≥3 år anses mirdametinib å kunne møte et udekket medisinsk behov i tilsvarende eller større grad enn selumetinib (4). EMA viser til resultater fra de kliniske studiene for



henholdsvis mirdametinib (MEK-NF-201) og selumetinib (SPRINT) på objektiv responsrate, varighet av respons og bivirkninger.»

Legemiddelkostnader for mirdametinib og selumetinib ved forskjellige doseringsregimer avhengig av kroppsoverflate (BSA) i henhold til SPC er vist under. Det er også presentert gjennomsnittskostnader per pasient basert på dosering som er gitt i kliniske studier.

Legemiddelkostnader med mirdametinib (Ezmekly):

BSA	Dosering per dag	RHF-AUP inkl. mva. per måned	RHF-AUP inkl. mva. per år
0,40-0,69 m ²	2 mg		
0,70-1,04 m ²	4 mg		
1,05-1,49 m ²	6 mg		
>1,50 m ²	8 mg		

Legemiddelkostnader med selumetinib (Koselugo):

BSA	Dosering per dag	RHF-AUP inkl. mva. per måned	RHF-AUP inkl. mva. per år
0,55-0,69 m ²	30 mg		
0,70-0,89 m ²	40 mg		
0,90-1,09 m ²	50 mg		
1,10-1,29 m ²	60 mg		
1,30-1,49 m ²	70 mg		
1,50-1,69 m ²	80 mg		
1,70-1,89 m ²	90 mg		
>1,90 m ²	100 mg		

Årskostnad med en antatt gjennomsnittsdosering per pasient per dag på 6 mg mirdametinib og 70 mg selumetinib er henholdsvis [REDACTED]

Budsjettkonsekvenser

Det er ikke beregnet budsjettkonsekvenser for innføring av aktuell indikasjon. Selumetinib er allerede innført til aktuell indikasjon. Det antas at en eventuell innføring av mirdametinib [REDACTED]

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom mirdametinib blir besluttet innført på møte i Beslutningsforum 15.06.2026, kan legemiddelet tas i bruk til aktuell indikasjon fra 01.08.2026 da ny pris kan gjelde fra denne dato.



Informasjon om refusjon av mirdametinib (Ezmekly) i andre land

Sverige: ingen beslutning identifisert.

Danmark: pågående vurdering, forventet beslutning 28.oktober 2026.²

Skottland (SMC): ingen beslutning identifisert.

England (NICE/NHS): pågående vurdering, forventet beslutning 3. september 2026.³

Oppsummering

Mirdametinib er en MEK-hemmer til behandling av PN hos pasienter over 2 år med NF1. En annen MEK-hemmer, selumetinib, ble innført til behandling av pediatriske pasienter over 3 år i januar 2026 (ID2021_062). EMA har vurdert at hos pediatriske pasienter i alderen ≥ 3 år anses mirdametinib å kunne møte et udekket medisinsk behov i tilsvarende eller større grad enn selumetinib.

Denne saken omfatter behandling med mirdametinib til pediatriske pasienter og det er presentert legemiddelkostnader for behandling med mirdametinib og selumetinib. For mirdametinib til behandling av voksne pasienter foreligger det en separat bestilling i Nye metoder (ID2026_016).

Dersom mirdametinib blir besluttet innført til pediatriske pasienter på møte i Beslutningsforum 15.06.2026, kan legemiddelet tas i bruk til aktuell indikasjon fra 01.08.2026.

Det antas at en eventuell innføring av mirdametinib til pediatriske pasienter vil medføre små budsjettkonsekvenser.

Christina Sivertsen
Fagsjef

Kristian Samdal
Fagrådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	n.a.	Oppdrag bestilt i Bestillerforum: 16.03.2026
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	23.03.2026	
Fullstendige opplysninger (pris og SPC) fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	19.05.2026	
Aktuell indikasjon godkjent	17.07.2025	MT
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	20.05.2026	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	65 dager hvorav 57 dager i påvente av prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 8 dager.	

² <https://medicinraadet.dk/igangvaerende-vurderinger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/mirdametinib-ezmekly-neurofibromatose-type-1-nf1>

³ <https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-ta11819>