

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: 9. mai 2025

ID2016_057: Voretigene Neparvovec (Luxturna) som genterapi til behandling av voksne og pediatriske pasienter med synstap pga. nedarvet retinal dystrofi forårsaket av bekreftet bialleliske RPE65-mutasjoner, og som har tilstrekkelig med levedyktige retinale celler - revurdering

Bakgrunn

Det vises til metodevurderingsrapport fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) datert 02.12.2019 samt revurdering datert 09.04.2025. Den opprinnelige metodevurderingen fra 2019 inneholder en kostnad-per-QALY analyse der behandling med voretigene neparvovec (VN) sammenlignes med støttebehandling¹. Det vises også til godkjent SPC for Luxturna, tidligere prisnotat fra Sykehusinnkjøp datert 25.03.21 samt tidligere beslutninger i Beslutningsforum.

Godkjent indikasjon:

Luxturna er indisert til behandling av voksne og pediatriske pasienter med synstap på grunn av nedarvet retinal dystrofi forårsaket av bekreftet bialleliske RPE65-mutasjoner, og som har tilstrekkelig med levedyktige retinale celler.

VN ble innført med betingelser av Beslutningsforum i 26.04.2021. Beslutningen ble oppdatert til gjeldende indikasjon 24.04.2023.

Beslutning i Beslutningsforum for nye metoder (24.04.2023)

1. Nedarvet retinal dystrofi knyttet til mutasjoner i RPE65-genet er en svært sjelden tilstand som gir synstap og blindhet hos barn og unge. Voretigene neparvovec (Luxturna) er et genterapiprodukt til behandling av nedarvet retinal dystrofi forårsaket av bekreftet bialleliske RPE65-mutasjoner, og er per i dag den eneste tilgjengelige behandlingen for tilstanden. Behandlingen gis kun en gang og det er usikkerhet knyttet til langtidseffekten. Behandling med voretigene neparvovec (Luxturna) er svært kostbar. På bakgrunn av disse forhold fattes det en betinget beslutning.

¹ Best supportive care (BSC)



2. Voretigene neparvovec (Luxturna) innføres til behandling av voksne og pediatriske pasienter med synstap pga. nedarvet retinal dystrofi forårsaket av bekreftet bialleliske RPE65-mutasjoner, og som har tilstrekkelige med levedyktige retinale celler.
3. Alle pasienter som får behandlingen skal følges opp over tid og inngå i et kvalitetsregister.
4. Det skal gjøres en ny vurdering etter senest fire år. Legemiddelfirmaet må levere en oppsummering av langtidsdata og ytterligere data som er samlet inn som grunnlag for en ny vurdering i Beslutningsforum for nye metoder.
5. Det forutsetter at prisen er lik eller lavere enn den prisen som er grunnlaget for denne beslutningen.
6. Behandlingen er tatt i bruk.

Beslutning i Beslutningsforum for nye metoder (26.04.2021)

1. Lebers medfødte synstap knyttet til mutasjoner i RPE65-genet er en svært sjelden tilstand som gir synstap og blindhet hos barn og unge. Voretigene neparvovec (Luxturna) er et genterapiprodukt til behandling av Lebers medfødte synstap og er per i dag den eneste tilgjengelige behandlingen for tilstanden. Behandlingen gis kun en gang og det er usikkerhet knyttet til langtidseffekten. Behandling med voretigene neparvovec (Luxturna) er svært kostbar. På bakgrunn av disse forhold fattes det en betinget beslutning.
2. Voretigene neparvovec (Luxturna) innføres til behandling av Lebers medfødte synstap knyttet til mutasjoner i RPE65-genet.
3. Alle pasienter som får behandlingen skal følges opp over tid og inngå i et kvalitetsregister.
4. Det skal gjøres en ny vurdering etter senest fire år. Legemiddelfirmaet må levere en oppsummering av langtidsdata og ytterligere data som er samlet inn som grunnlag for en ny vurdering i Beslutningsforum for nye metoder.
5. Det forutsetter at prisen er lik eller lavere enn den prisen som er grunnlaget for denne beslutningen.
6. Behandlingen kan tas i bruk fra 15.05.2021, da ny pris kan gjelde fra denne dato.

VN var første gang til vurdering i Beslutningsforum 30.03.2020, men det ble da besluttet å ikke innføre metoden.

Blant betingelsene som lå til grunn for innføringen av VN 26.4.2021 var at saken skulle revurderes etter senest fire år. DMP har nå gjort en revurdering av saken basert på oppdatert dokumentasjon innsendt av Novartis og innspill fra medisinske fageksperter.

Pristilbud

Novartis har 28.04.2025 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
554903	Luxturna, Konsentrat og væske til injeksjonsvæske, oppløsning. 1 sett	4 443 048,90 NOK	

Luxturna er en genterapi som gis som engangsbehandling. 1 sett tilsvarer behandling til ett øye, behandling av én pasient (to øyne) koster dermed om lag 8,9 millioner NOK maks AUP. Med tilbudt RHF AUP er kostnaden for behandling pr pasient [REDACTED] NOK.



Kostnadseffektivitet

DMP har i den opprinnelige metodevurderingen beregnet kostnad per QALY (IKER) for VN sammenlignet med BSC som vist under.

Pris	Merkostnad per vunnet kvalitetsjusterte leveår (QALY)
Maks AUP uten mva.	2 374 253 NOK/QALY
Avtalepris mottatt 22.03.2021 uten mva.	

I revurderingen har DMP konkludert med følgende med hensyn på oppdaterte data fra kliniske studier: «Oppsummert foreligger det fremdeles ikke effektdata som kan si hvorvidt effekten blir opprettholdt i 15 år, slik DMP antok og la til grunn i den helseøkonomiske analysen i 2019, men de oppdaterte dataene er mer modne og reduserer derfor noe av usikkerheten rundt estimert langtidseffekt. DMP vurderer at de nye dataene ikke gir grunn til å endre effektestimatene som lå til grunn for den helseøkonomiske analysen i 2019. Forventede bivirkninger av VN og administrasjonsprosedyren er relativt uendret siden metodevurderingen i 2019, basert på innsendt materiale fra Novartis, oppdaterte vurderinger fra EMA, samt innspill fra medisinske fageksperter rekruttert til oppdraget.»

Basert på at Novartis har levert

Budsjettkonsekvenser

Det er ikke gjort oppdaterte beregninger av budsjettkonsekvenser.

DMP skriver følgende om bruken av VN i Norge etter innføring: «I Norge ble første pasient behandlet med VN i mai 2021, og totalt 9 pasienter er behandlet med VN i Norge per mars 2025. Per mars 2025 er det ytterligere to pasienter som er aktuelle for behandling når pasienten/pårørende er klare for det. Deretter forventes om lag én ny pasient hvert fjerde år.»

Basert på en antatt insidens på om lag en ny pasient hvert fjerde år, vil videreføring av VN til nye pasienter være forbundet med små budsjettkonsekvenser.

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom behandling med VN blir besluttet videreført av Beslutningsforum 16.06.2025, kan det tre i kraft fra dette tidspunktet.

Informasjon om refusjon av voretigene neparvovec (Luxturna) i andre land

Sverige: Innført juni 2021

«NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att Luxturna bör användas vid hereditär retinaldystrofi orsakad av bekräftade bialleliska mutationer i genen RPE65, om det finns tillräckligt med viabla näthinneceller
- att insättning av behandling föregås av en bedömning i NT-rådets behandlingsråd för hereditär retinaldystrofi»



Lenke: <https://samverkanlakemedel.se/lakemedel---ordnat-inforande/nyheter/nyheter/2021-06-01-regionerna-rekommenderas-att-anvanda-genterapin-luxturna-vid-arftlig-ogonsjukdom>

Danmark: Innført september 2019.

Lenke: <https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/v/voretigene-neparvovec-luxturna-synstab-som-folge-af-arvelig-rpe65-relateret-nethinde-dystrofi>

Skottland (SMC): Innført juli 2024.

“voretigene neparvovec (Luxturna®) is accepted for use within NHSScotland. Indication under review: For the treatment of adult and paediatric patients with vision loss due to inherited retinal dystrophy caused by confirmed biallelic RPE65 mutations and who have sufficient viable retinal cells.”

Lenke: <https://scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/voretigene-neparvovec-luxturna-uo-reassessment-smc2641/>

England (NICE/NHS): Innført oktober 2019.

“Voretigene neparvovec is recommended, within its marketing authorisation, as an option for treating RPE65-mediated inherited retinal dystrophies in people with vision loss caused by inherited retinal dystrophy from confirmed biallelic RPE65 mutations and who have sufficient viable retinal cells. It is recommended only if the company provides voretigene neparvovec according to the commercial arrangement.”

Lenke: <https://www.nice.org.uk/guidance/hst11>

Oppsummering

VN ble innført med betingelser 26.04.2021 om blant annet at det skulle gjøres en ny vurdering etter senest fire år basert på oppdaterte data.

Novartis har levert oppdatert dokumentasjon, og DMP har revurdert saken. DMP konkluderte med at oppdaterte data antydte at det ikke er grunn til å endre antagelsene vedrørende effekt og sikkerhet som lå til grunn for den helseøkonomiske analysen fra 2019. I den opprinnelige metodevurderingen ble kostnad per QALY beregnet [redacted] med RHF-AUP. I metodevurderingen ble VN diskutert i forbindelse med ordningen for legemidler til særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand.

I tiden fremover antas det at det vil være en pasient aktuell for behandling med VN om lag hvert fjerde år.

Dersom behandling med voretigene neparvovec (Luxturna) blir besluttet videreført av Beslutningsforum 16.06.2025, kan det tre i kraft fra dette tidspunktet.

Anne Marthe Ringerud
Fagsjef

Kristian Samdal
Fagrådgiver



Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	21.03.2025	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	25.03.2025	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	25.04.2025	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	09.05.2025	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	49 dager hvorav 31 dager i påvente av prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 18 dager.	