

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:** 13. mai 2025

ID2023_077: Tofersen (Qalsody) Behandling av amyotrofisk lateral sklerose (ALS) hos voksne med en mutasjon i SOD1-genet

Bakgrunn

Det vises til metodevurderingsrapport utført gjennom det nordiske samarbeidet, Joint Nordic HTA-Bodies (JNHB) datert 17.01.2025 samt den norske delrapporten fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) basert på norske priser og forhold datert 29.01.2025. Det vises dessuten til godkjent SPC for Qalsody. Metodevurderingen inneholder en kostnad per QALY-analyse der behandling med tofersen i tillegg til dagens standardbehandling med riluzol (SOC) sammenlignes med SOC alene.

Godkjent indikasjon:

Qalsody er indisert til behandling av voksne med amyotrofisk lateral sklerose (ALS) forbundet med en mutasjon i superoksiddismutase 1 (SOD1)-genet.

Pristilbud

Biogen har 07.05.2025 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
35770	Qalsody, injeksjonsvæske, oppløsning 100 mg, 1 hetteglass	304 868,80 NOK	

Dette tilsvarer en årskostnad på [redacted] for påfølgende år med tilbudt RHF-AUP. Med maks AUP blir årskostnadene 4 279 051 486 NOK første år og 3 974 183 NOK i påfølgende år. Årskostnaden er beregnet i henhold til SPC med 3 doseringer 100 mg tofersen hver 14. dag i innledende fase og deretter 100 mg tofersen hver 28 dag i vedlikeholdsfase. Månedskostnaden for Qalsody i vedlikeholdsfasen er [redacted] RHF-AUP.



Når det gjelder behandlingsvarighet står det i SPC: «Det skal regelmessig vurderes om det fortsatt er behov for behandling. Dette bør vurderes på et individuelt grunnlag, avhengig av pasientens kliniske tilstand og respons på behandlingen.»

Kostnadseffektivitet

DMP har i metodevurderingen beregnet kostnad per QALY for tofersen + SOC sammenlignet med SOC alene som vist under.

Pris	Merkostnad per vunnet kvalitetsjusterte leveår (QALY)
Maks AUP uten mva.	Mellom ca. 12 og ca. 30 millioner NOK/QALY
Avtalepris mottatt 07.05.2025 uten mva.	

DMP har beregnet et absolutt prognosetap (APT) for aktuell pasientpopulasjon på mellom 20 og 28 QALY.

DMP har også vurdert tofersen med hensyn på ordningen for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand, og konkludert med at to av de tre veiledende kriteriene sannsynligvis ikke er oppfylt.

Budsjettkonsekvenser

DMP har beregnet følgende budsjettkonsekvenser for spesialisthelsetjenestens legemiddelbudsjett:

Pris	Budsjettkonsekvenser
Maks AUP inkl. mva.	Ca. 28,6 millioner NOK
Avtalepris mottatt 07.05.2025 inkl. mva.	

Budsjettberegningene er basert på at 5 pasienter er aktuelle for behandling med tofersen ved en eventuell innføring samt en insidens på 2 nye pasienter i året i påfølgende år.

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom Qalsody blir besluttet innført av Beslutningsforum 16.06.2025 kan legemiddelet tas i bruk fra 01.08.2025 for denne indikasjonen, da ny pris kan gjelde fra denne datoen.

Informasjon om refusjon av tofersen (Qalsody) i andre land

Sverige: ingen beslutning identifisert. TLV har gjort en helseøkonomisk analyse basert på metodevurderingen utført gjennom JNHB.

Lenke: <https://www.tlv.se/lakemedelsforetag/halsoekonomiska-bedomningar-och-rapporter-kliniklakemedel/arkiv-avslutade-halsoekonomiska-bedomningar/2025-02-04-gemensam-halsoekonomisk-bedomning-av-qalsody-vid-sod1-als-inom-det-nordiska-samarbetet-jnhb.html?query=Qalsody>

Danmark: besluttet ikke innført, mars 2025.

«Medisinrådet anbefaler ikke tofersen som tillæg til standardbehandling for voksne pasienter med amyotrofisk lateral sklerose (ALS) med en mutation i superoxiddismutase 1 (SOD1)-genet.

ALS er en sjelden, progressiv neurodegenerativ sykdom, der påvirker motorneuroner i hjernen og ryggmarven. Den nuværende standardbehandling består af riluzol og symptomlindring.



Medisinrådet vurderer, at det er meget usikkert, om der er effekt af at tillægge tofersen til nuværende standardbehandling. Dette skyldes, at det kliniske studie ikke kunne påvise en effekt på patienternes funktionsniveau målt ved "ALS Functional Rating Scale-Revised" (ALSFRS-R). Usikkerheden om effekten skyldes for kort opfølgningstid i studiet.

Tofersen administreres ved en injektion i rygmargsvæsken (lumbalpunktur) hver 4. uge. Behandlingen er forbundet med hyppige bivirkninger, hvoraf nogle er alvorlige. Bivirkningerne relaterer sig både til lægemidlet men også til administrationsformen.

Omkostningerne ved behandling er meget høje, især prisen på tofersen, men der er også betydelige omkostninger forbundet med administrationsformen. Medicinrådet vurderer, at effekten af behandlingen ikke er tilstrækkeligt dokumenteret, og at omkostningerne er uacceptabelt høje.»

Lenke: <https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/t/tofersen-qalsody-amyotrofisk-lateral-sklerose-als>

Skottland (SMC): ingen beslutning identificert.

England (NICE/NHS): pågående vurdering.

Lenke: <https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-hst10062>

Oppsummering

Saken er belyst gjennom metodevurdering utført gjennom det nordiske samarbeidet JNHB og oppdatert av DMP til å reflektere norske forhold. DMP har beregnet en kostnad per QALY ved behandling av Qalsody+SOC sammenlignet med SOC alene som er [REDACTED]

Dersom Qalsody blir besluttet innført av Beslutningsforum 16.06.2025 kan legemiddelet tas i bruk fra 01.08.2025 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	24.01.2025	Endelige rapporter mottatt 31.01.2025
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	24.01.2025	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	07.05.2025	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	13.05.2025	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	109 dager hvorav 103 dager i påvente av prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 6 dager.	