

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	Trude Basso

Kopi: Sekretariat for Nye metoder**Fra:** Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler**Dato:** 10. juni 2025

ID2021_045: Vosoritid (Voxzogo) - Behandling av akondroplasi hos pasienter som er 2 år og eldre, der epifysen ikke er lukket – Ny pris

Bakgrunn

Det vises til beslutning i Beslutningsforum 18.03.2024 for ID2021_045:

1. Vosoritid (Voxzogo) innføres ikke til behandling av akondroplasi hos pasienter som er 2 år og eldre, der epifysen ikke er lukket.
2. Leverandøren har valgt en pris som er altfor høy i forhold til dokumentert klinisk nytte.
3. Sykehusinnkjøp bes gjenoppta forhandlingene med leverandør, inkludert vurdere alternative prisavtaler.

Det vises videre til metodevurdering gjennomført av FINOSE, med rapport datert 21.09 2023, og til rapport fra Legemiddelverket/ DMP (norsk del), datert 02.11.2023, der DMP har vurdert prioriteringskriteriene knyttet til nytte, ressursbruk og alvorlighet, samt usikkerhet i dokumentasjonen og budsjettkonsekvenser.

Det vises dessuten til prisnotat datert 26.01.2024.

Det har vært prisforhandlinger mellom BioMarin og Sykehusinnkjøp, der begge parter har undersøkt mulighetsrommet for avtaleformer som kan være bedre egnet enn flat rabatt for innføring. Det har blitt innhentet konseptgodkjenning fra Interregionalt fagdirektørmøte 23.09.2024 for et forslag med en finansiell avtaleform, som konkluderte:

Fagdirektørene ber om at Sykehusinnkjøp legger fram forslaget om flat rabatt for Beslutningsforum.

I ettertid har vært grundige diskusjoner mellom leverandør og Sykehusinnkjøp der man har sett på muligheten for en resultatbasert avtale med oppfølging ved hjelp av register. Imidlertid har leverandør til slutt ønsket at et tilbud med flat rabatt skal legges til grunn for ny beslutning.



Pristilbud

BioMarin har 03.06.2025 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
483922	Voxzogo 0,4 mg injeksjonssett, 10 stk	87 183,90 NOK	
134083	Voxzogo 0,56 mg injeksjonssett, 10 stk	87 183,90 NOK	
377159	Voxzogo 1,2 mg injeksjonssett, 10 stk	87 183,90 NOK	

Dette tilsvarer en årskostnad på [REDACTED] med tilbudt RHF-AUP og 3 182 212 NOK med maks AUP. Årskostnaden er beregnet med dosering 1 hetteglass som subkutan injeksjon per dag i henhold til SPC. Månedskostnaden for Voxzogo er om lag [REDACTED] RHF-AUP.

Det er tidligere gitt inn tilbud for det aktuelle bruksområdet (ID2021_045):

Prisnotat	Datert	Månedskostnad RHF-AUP inkl. mva.	Årskostnad RHF-AUP inkl. mva.
1	26.01.2024		
X (dette)	10.06.2025		

Kostnadseffektivitet

DMP har tatt utgangspunkt i hovedanalyse fra FINOSE (som er utført med svenske kostnader og diskonteringsrate og iht. svenske retningslinjer), og gjort tilpasninger til norske forhold i sin hovedanalyse:

Pris	Merkostnad per vunnet kvalitetsjusterte leveår (QALY)
Maks AUP uten mva.	7 559 170 NOK/QALY
Avtalepris mottatt 22.01.2024 uten mva.	
Avtalepris mottatt 03.06.2025 uten mva.	

DMP har dessuten gjort en rekke scenarioanalyser, se metodevurderingen. Scenarioet der behandling starter er ved 2 års alder (i motsetning til ved alder mellom 2 og 12 år) er representativt for fremtidig pasientpopulasjon dersom vosoritid blir innført. I modellen gir tidligere behandlingsstart økt voksenhøyde sammenlignet med senere behandlingsstart. Både QALY-gevinsten og behandlingskostnaden øker når startalder endres til 2 år. Totalt sett reduseres IKER sammenlignet med DMP sin hovedanalyse i tabellen over, til 5 982 324 NOK/QALY med maksimalpris og til [REDACTED] med tilbudt pris.

DMP har oppdatert scenarioanalysene fra metodevurderingen basert på tilbudt pris per 03.06.2025:



	Parameter/ forutsetning	Legemiddelverkets hovedanalyse	Scenarioanalyse	IKER i scenarioanalyse
1	Behandlingsstart	2-12 år	2 år	
2	Behandlingsstopp	16 år	15 år (BioMarin grunnanalyse)	
3			17 år	
4	Komplikasjoner	Ekskludert	Inkludert	
5	Livskvalitetsvektorer	FINOSE lineær modell	BioMarin lineær modell	
6		FINOSE lineær modell, komplikasjoner ekskludert	BioMarin lineær modell, komplikasjoner inkludert	
7	Livskvalitetsgevinst over en gitt høyde	Ekstra nytteøkning på 0,1 QALY ved høyde >150 cm	Ekstra nytteøkning på 0,1 QALY ved høyde >140 cm	
8			Ekskludert	
9	Pårørendes helserelaterte livskvalitet	Ekskludert	Inkludert**	
10	Behandlingseffekt av vosoritid, PRAGV*	77,28 %	70 %	
11			60 %	
12	Forlengelseskirurgi	35 % (Norge)	25 % (Sverige)	
13	Forlengelseskirurgi	35 % (Norge)	0 % (Finland)	
14	Effekt forlengelseskirurgi	6 cm	15 cm	

*PRAGV: percentage recovery of expected annualized growth velocity (cm/år)

**implementert som en gevinst på 0,0541 QALYs for hvert år en pasient er på vosoritid-behandling

Budsjettkonsekvenser

DMP har presentert de estimerte budsjettvirkningene for spesialisthelsetjenestens legemiddelbudsjett ved innføring av metoden. I det femte året etter innføring gir dette (30 pasienter):

Pris	Budsjettkonsekvenser
Maks AUP inkl. mva.	94 380 931 NOK
Avtalepris mottatt 03.06.2025 inkl. mva.	

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom vosoritid blir besluttet innført til behandling av akondroplasi på møte i Beslutningsforum 25.08.2025, kan legemiddelet tas i bruk 01.10.2025, da prisen kan gjelde fra denne dato.

Informasjon om refusjon av vosoritid (Voxzogo) i andre land

Sverige: Voxzogo (vosoritid) för behandling av akondroplasi kommer inte att ingå i högkostnadsskyddet. Företaget som står bakom produkten har inte visat att kostnaden vid



användning av Voxzogo motsvarar nytta (21. 09.2023)¹. Vurderingen er basert på FINOSE utredningen.

Danmark: Medicinrådet anbefaler ikke vosoritid til behandling af akondroplastisk dværgvækst (21.02.2024)². Anmodning om revurdering ble mottatt 31.07.2024. Beslutning 28.08.2024: Medicinrådets formandskab har besluttet, at den nye pris ikke giver grundlag for at revurdere den eksisterende anbefaling, og Medicinrådet vil derfor ikke igangsætte en revurdering.

Skottland (SMC): Ingen informasjon tilgjengelig.

England (NICE/NHS): ingen informasjon tilgjengelig³.

Oppsummering

FINOSE og Legemiddelverket/ DMP har utført en metodevurdering for bruk av vosoritid til behandling av akondroplasi. Med tilbudt pris, er IKER om lag [REDACTED] avhengig av alder for behandlingsstart, og budsjettvirkningene det femte året etter innføring av metoden på om lag [REDACTED]

Den medisinske fageksperten som har bistått DMP i denne metodevurderingen, vurderer at det vil være relevant å fastsette start- og stoppkriterier ved en eventuell innføring av vosoritid.

Dersom legemiddelet blir innført på møte i Beslutningsforum 25.08.2025, kan legemiddelet tas i bruk 01.10.2025.

Anne Marthe Ringerud
Fagsjef

Christina Kvalheim
Fagrådgiver

¹ <https://www.tlv.se/beslut/beslut-lakemedel/avslag-och-uteslutningar/arkiv/2023-09-22-voxzogo-ingar-inte-i-hogkostnadsskyddet.html?query=voxzogo>

² <https://medicinraadet.dk/igangvaerende-vurderinger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/vosoritide-voxzogo-akondroplasi>

³ <https://www.nice.org.uk/guidance/awaiting-development/gid-ta10700>



Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	n.a.	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	18.03.2024	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	03.06.2025	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	10.06.2025	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	449 dager hvorav 330 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 119 dager (inkluderer 48 dager ifm. konseptgodkjenning i IRF).	