



Beslutningsforum for nye metoder - ekstramøte

Innkalling og saksdokumenter

Dato: 10.08.2021

Kl.: 16.00 – 17.00

Sted: Teams

Administrerende direktører i de regionale helseforetakene
Knut Georg Hartviksen, observatør fra de Regionale brukerutvalgene
Bjørn Guldvog, helsedirektør – observatør
Olav Slåttebrekk, ass. helsedirektør – vararepresentant til helsedirektør



Kopi:

Fagdirektører i de regionale helseforetakene
Elisabeth Bryn, Statens legemiddelverk
Asbjørn Mack, Sykehusinnkjøp HF

Deres ref.

Vår ref.:
20/00805

Saksbehandler/dir.tlf.:
Ellen Nilsen / 997 49 706

Sted/Dato:
Oslo, 04. august 2021

Ekstramøte i Beslutningsforum for nye metoder 10. august 2021 - Innkalling

Med dette innkalles til ekstramøte i Beslutningsforum for nye metoder:

Tirsdag 10. august 2021 klokka 16:00 – 17:00
Møtested: Teams

Vedlagt følger saksdokumenter til dette møtet.

Saksdokumentene er unntatt offentlighet, jf. Off.loven § 14, fordi disse er å anse som organinterne dokumenter fram til beslutningen er tatt. Etter at beslutningen er tatt, er dokumentene offentlig med unntak av de opplysninger som er unntatt offentlighet med hjemmel i lov.

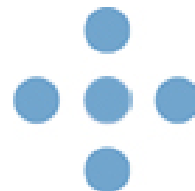
Eventuelle forfall bes meldt til sekretariatet for Beslutningsforum for nye metoder, ved Ellen Nilsen på tlf. 997 49 706 eller mail Beslutningsforum@helse-sorost.no.

Vel møtt.

Med vennlig hilsen

Inger Cathrine Bryne
administrerende direktør

Vedlegg



Møtedato: 10.08.2021

Vår ref.:
20/00805

Saksbehandler/dir.tlf.:
Ellen Nilsen / 997 49 706

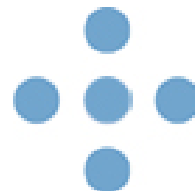
Sak 088–2021 Godkjenning av innkalling og saksliste

Beslutningsforum for nye metoder inviteres til å beslutte følgende saksliste for møte den 10. august 2021.

Saksnr.	Sakstittel
Sak 088-2021	Godkjenning av innkalling og saksliste
Sak 089-2021	Prinsipielle problemstillinger knyttet til legemidler til behandling av cystisk fibrose
Sak 090-2021	Eventuelt

Oslo, 4. august 2021

Inger Cathrine Bryne
administrerende direktør



Møtedato: 10.08 2021

Vår ref.:
20/00805

Saksbehandler/dir.tlf.:
Ellen Nilsen / 997 49 706

Sak 089 – 2021 Prinsipielle problemstillinger knyttet til legemidler til behandling av cystisk fibrose

Saksdokumentene er unntatt offentlighet, jf. Off.loven § 14.

Dette saksgrunnlaget er unntatt offentlighet fordi det er å anse som et organinternt dokument fram til beslutningen er tatt. Etter at beslutningen er tatt, er dokumentene offentlig med unntak av de opplysninger som er unntatt offentlighet med hjemmel i lov.

Formål

Vedlagt oversendes drøftingsnotat vedrørende *Prinsipielle problemstillinger knyttet til legemidler til behandling av cystisk fibrose*.

Saken er oversendt fra Sekretariatet for Nye metoder som grunnlag for ekstramøte i Beslutningsforum for nye metoder 10.08.2021

Oslo, 04.08. 2021

Inger Cathrine Bryne
administrerende direktør

Vedlegg: Drøftingsnotat *Prinsipielle problemstillinger knyttet til legemidler til behandling av cystisk fibrose*.

NYE METODER

Saksnummer: 089-2021

Til:	Beslutningsforum for nye metoder
Fra:	Sekretariatet for nye metoder
Dato:	02.08.2021

Drøftingsnotat om Kaftrio (ID2020_029), Symkevi (ID2018_112), Orkambi (ID2018_111) og Kalydeco (ID2018_110) til behandling av cystisk fibrose (CF)

Hva saken handler om i korte trekk

Dette notatet er utformet med henblikk på en drøfting av handlingsalternativer og prinsipielle problemstillinger knyttet til CFTR (Cystic Fibrosis Transmembrane conductance Regulator)-modulerende behandling av cystisk fibrose i ekstramøte for Beslutningsforum 10. august 2021. Sykehusinnkjøp mottok 01.07.2021 et nytt pristilbud fra Vertex, se prisnotat datert 02.07.2021

Notatet er en oppsummering av bakgrunn, status og handlingsalternativer i sakene om legemidlene Kaftrio (ID2020_029), Symkevi (ID2018_112), Orkambi (ID2018_111) og Kalydeco (ID2018_110) til behandling av cystisk fibrose (CF). De fire legemidlene leveres alle av firmaet Vertex.

Om legemidlene til CFTR-modulerende behandling ved cystisk fibrose

Firmaet Vertex er eneste leverandør med legemidler til såkalt årsakskorrigerende behandling ved cystisk fibrose. Sykehusinnkjøp har vært i dialog og gjennomført prisforhandling med Vertex siden juni 2018, knyttet til overføringen av finansieringsansvaret for ivakaftor (Kalydeco) og lumakaftor/ivakaftor (Orkambi) og de nye metodene ID2018_112 Tezakaftor/ivakaftor (Symkevi+Kalydeco) og ID2020_029 Elexakaftor, tezakaftor og ivakaftor (Kaftrio+Kalydeco).

Vertex har markedsføringstillatelse for de fire CFTR-modulatorer, som benyttes som mono- eller kombinasjonsterapi ved ulike CF-mutasjonsstatus.

NYE METODER

Legemidler til cystisk fibrose fra Vertex, CTRF-mutasjonene og omtrentlig pasientantall

Nye Metoder	virkestoff (Handelsnavn)	Mutasjon	Pas. antall*
ID2018_110	Ivakaftor (Kalydeco)	Visse regulerings (klasse III)-mutasjoner i CFTR-genet samt klasse IV-mutasjonen R117H-mutasjon i CFTR-genet	16 ¹
ID2018_111	Lumakaftor/ivakaftor (Orkambi)	homozygot F508delesjon av CFTR-genet	32 ²
ID2018_112	Tezakaftor/ivakaftor (Symkevi) <i>Skal gis i kombinasjon med Kalydeco</i>	homozygot F508 delesjon av CFTR-genet	110 ³
		heterozygot F508 delesjon av CFTR-genet, og i tillegg en annen mutasjon som koder for restfunksjon.	30 ³
ID2020_029	Elexakaftor, tezakaftor og ivakaftor (Kaftrio) <i>Skal gis i kombinasjon med Kalydeco</i>	minst én F508del-mutasjonen i CFTR-genet, uavhengig av mutasjonsstatus i det andre allelet.	340 ⁴ (162)

*)Disse tallene må brukes med forbehold. Er fra ulike kilder, med ulike vilkår og ulikt tidspunkt.

1+2)Finansiering av legemidlene Kalydeco og Orkambi ble overført til H-resept 1.2.2019, og var tidligere finansiert gjennom individuell stønad. Tall fra Reseptregisteret viser at ivakaftor (Kalydeco) og lumakaftor/ivakaftor (Orkambi) ble benyttet av hhv 16 og 32 pasienter i 2020 (hhv. 17 og 32 i 2019).

3)Fra Metodevurderingen til den aktuelle saken.

4) Omfatter 90 % av alle CF-pasienter. Den første indikasjonen gjaldt 162 pas.

[ID2018_110 Ivakaftor \(Kalydeco\)](#) og [ID2018_111 Lumakaftor/ivakaftor \(Orkambi\)](#)

Finansiering av Kalydeco og Orkambi ble overført fra folketrygden (individuell refusjon) til de regionale helseforetak i februar 2019 og det var i 2020 hhv. 16 og 32 pasienter som benyttet Kalydeco og Orkambi til maksimalpris. Det ble bestilt metodevurdering av begge legemidlene 19.11.2018, men Vertex har ikke levert dokumentasjon til metodevurdering av de to metodene.

[ID2018_112 Tezakaftor/ivakaftor \(Symkevi+Kalydeco\)](#) - Bestilt metodevurdering 19.11.2018. Ferdigstilt i desember 2020. Besluttet ikke innført 18.01.2021.

Beslutning i Beslutningsforum (18.01.2021)

1. Tezakaftor/ivakaftor (Symkevi) i kombinasjon med ivakaftor (Kalydeco) innføres ikke til behandling av pasienter ≥ 12 år med cystisk fibrose (CF).
2. Prisen for legemidlene er alt for høy sett opp mot prioriteringskriteriene, og det er ikke dokumentert nytte av behandlingen over tid.
3. Cystisk fibrose er en svært alvorlig sykdom som tar mange gode leveår. Beslutningsforum for nye metoder ser det som viktig å kunne ta i bruk nye medikamenter til denne pasientgruppen. Beslutningsforum for nye metoder ber derfor Sykehusinnkjøp HF gjenoppta forhandlinger og søke nordisk samarbeid.

NYE METODER

[ID2020_029 Elexakaftor, tezakaftor og ivakaftor \(Kaftrio+Kalydeco\)](#)

Beslutning i Bestillerforum RHF (25.05.2020)

En hurtig metodevurdering med en kostnad-nytte-vurdering (C) gjennomføres ved Statens legemiddelverk for elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor som kombinasjonsbehandling av cystisk fibrose hos pasienter ≥ 12 år som er heterozygote for F508del mutasjon og har en minimal funksjon mutasjon, eller som er homozygote for F508del mutasjon

Beslutningen ble oppdatert og justert 14.10.2020 etter at firma søkte om indikasjonsutvidelse.

En hurtig metodevurdering med en kostnad-nytte-vurdering (C) gjennomføres ved Statens legemiddelverk for elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor (Kaftrio) som kombinasjonsbehandling av cystisk fibrose hos pasienter ≥ 12 år som har minst en F508del-mutasjonen i cystisk fibrose transmembran konduktansregulator (CFTR)-genet, uavhengig av mutasjonsstatus i det andre allelet.

Beslutning i Bestillerforum RHF (14.12.2020)

Firma har søkt EMA om indikasjonsutvidelse som gjorde at Bestillerforum oppdaterte sin opprinnelige bestilling i oktober 2020. Leverandør har kun levert inn dokumentasjon til deler av bestillingen, og indikasjonsutvidelsen gjør at populasjonen som er aktuell å vurdere er større. Det er ikke grunnlag for å gjennomføre metodevurdering ut fra eksisterende dokumentasjon. Prioriteringskriteriene er langt unna å være oppfylt med dagens prisnivå.

Beslutning i Beslutningsforum (18.01.2021)

1. Elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor (Kaftrio) i kombinasjon med ivakaftor (Kalydeco) innføres ikke til behandling av cystisk fibrose hos pasienter ≥ 12 år som har minst en F508del-mutasjon i cystisk fibrose transmembran konduktansregulator (CFTR)-genet, uavhengig av mutasjonsstatus i det andre allelet.
2. Prisen for legemidlene er alt for høy sett opp mot prioriteringskriteriene, og det er ikke dokumentert nytte av behandlingen over tid.
3. Cystisk fibrose er en svært alvorlig sykdom som tar mange gode leveår. Beslutningsforum for nye metoder ser det som viktig å kunne ta i bruk nye medikamenter til denne pasientgruppen. Beslutningsforum for nye metoder ber derfor Sykehusinnkjøp HF gjenoppta forhandlinger og søke nordisk samarbeid.

Mulige konsekvenser av en beslutning om innføring

Ved en eventuell innføring av Kaftrio+Kalydeco er det forventet at nær alle aktuelle pasienter vil benytte denne kombinasjonen. Også pasientene som i dag benytter Kalydeco eller Orkambi vil trolig være aktuelle for å seponere dagens behandling og i stedet benytte Kaftrio+Kalydeco. Med utgangspunkt i at det er om lag 370 pasienter med cystisk fibrose i

NYE METODER

Norge og 85-90 % er aktuelle for behandling med Kaftrio+Kalydeco, er 310-335 pasienter aktuelle for behandling med Kaftrio ved en ev. innføring.

Det er en rekke prinsipielle problemstillinger knyttet til denne saken. For det første har firmaet unnlatt å sende inn dokumentasjon som er nødvendig for at Legemiddelverket kan gjennomføre en metodevurdering. For det andre har firmaet selv vurdert at ut ifra den dokumentasjonen de har levert, så er legemiddelkostnaden betydelig over hva som vanligvis anses som kostnadseffektivt.

Det høye prisnivået får også implikasjoner for budsjettkonsekvensene. Til Dagens medisin¹ uttalte Cathrine Lofthus etter beslutningen i januar 2021, at *Det er en pris som er langt unna det som er mulig å forsvare. Dette tilsvarer driftsbudsjettet av et lite sykehus.* Det ble her referert til konsekvensene med rabattert pris.

Budsjettkonsekvensene er estimert av firmaet selv til å kunne være rundt 1 milliard kroner (maks. AUP) hvert eneste år med dagens prisnivå. Budsjettkonsekvensene er lavere, men fortsatt svært høye om tilbudspris legges til grunn. En slik kostnad for behandling av omtrent 340 pasienter, sett opp mot de 1,9 millioner² pasientene som var innom norske sykehus i 2020, er ikke bærekraftig.

Dersom denne behandlingen innføres er det neppe tvil om at annen rimeligere og bedre dokumentert helsehjelp, som oppfyller prioriteringskriteriene vil bli fortrent. Hvis prioriteringskriteriene ikke er oppfylt bryter det med intensjonen om en likeverdig og rettferdig fordeling og det vil trolig få konsekvenser for behandlinger fra dagens verktøykasse, som faktisk gir den helseeffekten man betaler for.

Jevnlig argumenterer³ legemiddelindustrien for å skape et bærekraftig helsevesen gjennom å ta i bruk nye og innovative behandlinger. Dette harmonerer dårlig med det vi ser i denne saken. Når prioriteringskriteriene legges til grunn og settes i kontekst med prisen, mener tydeligvis Vertex at sykehusene skal være villig til å betale betydelig mer for behandlingen til denne pasientgruppen, enn for andre pasientgrupper med like alvorlig sykdom og som ville ha samme effekt av sin behandling, som CF-pasienter vil kunne ha av Kaftrio.

Effekten av denne behandlingen er hovedsakelig basert på en studie som varte i svært kort tid, til tross for at dette er en behandling som pasientene skal stå på over mange år. Helseeffekten som Vertex hevder at pasienter kan forvente å få ved denne behandlingen er ikke i nærheten av det som er dokumentert. Ved å i tillegg kreve at tilbud om lavere pris skal gjelde for alle produkter til alle undergrupper av sykdommen, er det ingen mulighet for at myndighetene kan tilby denne behandlingen til undergrupper av pasienter som kanskje kan ha større nytte av den.

Alle momentene over utfordrer prinsippet om likeverdig tilgang fordi innføring av disse legemidlene vil fortrenge annen kostnadseffektiv behandling.

¹ <https://www.dagensmedisin.no/artikler/2021/01/18/en-kostnad-som-tilsvarer-driftsbudsjettet-til-et-lite-sykehus/>

² <https://www.ssb.no/helse/helsetjenester/statistikk/pasienter-pa-sykehus>

³ <https://www.dagensmedisin.no/artikler/2021/07/14/slik-kan-systemet-for-nye-metoder-forbedres/>

NYE METODER

Ulike handlingsalternativer (nærmere om disse under «veien videre»)

1. Vanlig prosedyre
2. Behandling til definerte undergrupper
3. Resultatbasert avtale
4. Innføre basert på siste pristilbud
5. Ikke innføre basert på siste pristilbud

Behandling til definerte undergrupper

I en diskusjon om å begrense behandlingen med CFTR-modulatorer til mindre og veldefinerte undergrupper eller enkeltpasienter må man legge til grunn at legemiddelbehandlingen ev. vil skje til maksimalpris. Leverandørens pristilbud er inngitt med vilkår om at det ikke legges restriksjoner på bruk utover medisinsk godkjent indikasjon. Det er lite sannsynlig at leverandøren vil gi samme prisrabatt, hvis det kun åpnes for behandling av et begrenset antall pasienter.

Det er, slik sekretariatet har fått opplyst, i dokumentasjonsgrunnlaget ingen meningsfulle avgrensninger til undergrupper, som vil ha større sannsynlighet for å oppfylle prioriteringskriteriene enn resten av pasientpopulasjonen, som er aktuelle for behandling med Kaftrio+Kalydeco. Hovedtemaet for en beslutningssak vil derfor være innføring eller ikke innføring av elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor (Kaftrio) i kombinasjon med ivakaftor (Kalydeco), som ved en ev. innføring vil være aktuell og antakelig foretrukket behandling for ca. 90 % av alle cystisk fibrose pasienter i Norge.

På siden av det som kommer frem i dokumentasjonsgrunnlaget har imidlertid to undergrupper av pasienter blitt pekt på i ulike sammenhenger, nemlig de som risikerer å dø mens de venter på transplantasjon (NT-rådets anbefaling til de svenske regioner), og de som ikke kan transplanteres og står i fare for snarlig død (fremmet av fagmiljøet).

CFTR-modulatorer til pasienter som risikerer å dø mens de venter på transplantasjon

I Sverige har NT-rådet i sin anbefaling til de svenske regioner gitt følgende råd: *NT-rådet anser att Kaftrio kan användas undantagsvis till patienter som riskerar att avlida i väntan på lungtransplantation. Sådana patientfall bör diskuteras i det nationella behandlingsrådet för cystisk fibros.*

Rasjonale for den svenske anbefalingen er ikke nærmere begrunnet, men det kan argumenteres for, at for den enkelte pasient som med behandling med CFTR-modulatorer kan være transplantasjonskandidat lengre og få en lungetransplantasjon de uten behandling ikke ville ha fått, vil det være en betydelig helsegevinst.

Samtidig vil det nok oppleves ekstra urettferdig for de som av ulike grunner ikke kan transplanteres, og som pga. dårligere leveutsikter kan bli uten tilbud om behandling med CFTR-modulatorer.

NYE METODER

For en anbefaling i tråd med den svenske kan man begrense tilgangen til de pasienter som er godkjent for transplantasjon, men som står i fare for å dø eller bli for dårlige til å kunne bli lungetransplantert.

CFTR-modulatorer til pasienter som ikke kan transplanteres og står i fare for snarlig død

Behandling til enkelte pasienter som ikke kan transplanteres og står i fare for å dø har blitt trukket frem bl.a. med utgangspunkt i et konkret tilfelle omtalt i flere artikler for eksempel VG⁴. I artikkelen vises det til en uttalelse fra Klinisk etikkomité (KEK) ved Oslo universitetssykehus:

«Å velge de som ikke kan transplanteres og står i fare for snarlig død vil kunne forsvares etisk utfra prinsippet om å gjøre vel og vektlegging av alvorlighetskriteriet når en må prioritere mellom pasienter. Behandlerne skal ikke behøve å ta et overordnet prioriteringsansvar, så lenge unntaksordninger finnes».

Sekretariatet har i forbindelse med utarbeidelsen av dette notat vært i kontakt med KEK, og fått opplyst at når dette ble diskutert på et møte 10.03.2021 bygget diskusjonen på et premiss om at det finnes en etablert unntaksordning for å kunne gi behandling til enkeltpasienter selv om Beslutningsforum har sagt nei på gruppenivå. Man hadde formulert seg på en annen måte dersom man hadde lagt til grunn at en slik ordning faktisk ikke eksisterer, og at det derfor heller ikke er noen «plikt» til å anvende den. I en e-post datert 23.07.2021 til sekretariatet fra KEK bekreftes ovenstående, og at KEK vil revurdere sin drøfting og konklusjon.

Et annet aspekt av det å gi unntak for pasienter som står i fare for snarlig død med henvisning til alvorlighetskriteriet, er at man da vektlegger prognose fremfor absolutt prognosetap. Denne pasientgruppen må som følge av fremskreden sykdom antas å ha lavere forventet nytte av behandlingen enn pasientgruppen som helhet.

I Meld. St. 34 (Prioriteringsmeldingen)⁵ s.109 skriver departementet i sin vurdering:

«Dersom det i prioriteringsvurderinger ble tillagt vekt at behandlingen finner sted i livets slutfase, kan et tiltak i livets slutfase med lav forventet nytte i så fall bli prioritert foran et tiltak med høy forventet nytte, selv om alvorlighetsgraden for tilstandene er den samme. Det vil samlet sett kunne redusere det antall gode leveår som ressursene i helsetjenesten kan gi. Helsetjenesten skal imidlertid alltid ivareta verdigheten til pasientene, og sikre god pleie, støtte og lindring som del av behandling i livets slutfase.»

Pasienter som står i fare for å dø som følge av cystisk fibrose adskiller seg prinsipielt ikke fra de som står i fare for å dø som følge av andre sykdommer, der man har sagt nei til innføring av aktuell og virksom behandling. Hvis man derfor skulle gjøre unntak for disse pasientene med cystisk fibrose, kan det få vidtrekkende konsekvenser og presedenseffekter.

⁴ <https://www.vg.no/nyheter/innenriks/i/7Kbxdo/etikk-komite-vil-gi-omstridt-medisin-til-cf-pasienter>

⁵ <https://www.regjeringen.no/no/dokumenter/meld.-st.-34-20152016/id2502758/>

NYE METODER

Metodevurdering – ikke metodevurdering og veien videre

For ID2018_110 Ivakaftor (Kalydeco), ID2018_111 Lumakaftor/ivakaftor (Orkambi) og ID2018_112_Tezakaftor/ivakaftor (Symkevi+Kalydeco) ble det bestilt metodevurderinger 19.11.2018 i forkant av overføringen av finansieringsansvaret fra folketrygden til helseforetakene f.o.m. 01.02.2019. For de to førstnevnte legemidlene Kalydeco og Orkambi har ikke Vertex levert dokumentasjon til metodevurdering.

For ID2018_112_Tezakaftor/ivakaftor (Symkevi+Kalydeco) har Vertex levert dokumentasjon og metodevurderingen ble ferdigstilt desember 2020. På basis av metodevurderingen konkluderte Beslutningsforum 18.01.2021, at prisen var altfor høy i forhold til dokumentert nytte.

For ID2020_029_Elexakaftor, tezakaftor og ivakaftor (Kaftrio+Kalydeco) ble det bestilt en metodevurdering 25.05.2020 iht. omsøkt indikasjon.

Vertex søkte EMA om indikasjonsutvidelse våren 2020, og sendte [innspill om dette](#) til Nye metoder, datert 14.05.2020. Bestillerforum for nye metoder oppdaterte sin opprinnelige bestilling til den omsøkte indikasjonsutvidelsen i oktober 2020.

Vertex valgte på eget initiativ den 18.11.2020 å levere dokumentasjon for den utdaterte bestillingen. Dokumentasjonen var dekkende for opprinnelig omsøkte indikasjonen, som er aktuell for ca. 160 pasienter, mens behandlingen etter oppdatert bestilling iht. indikasjonsutvidelsen er aktuell for 90 % av alle CF-pasientene eller ca. 310-335.

Bestillerforum besluttet 14.12.2020 at det ikke var grunnlag for å gjennomføre metodevurdering ut fra eksisterende dokumentasjon, og at saken kunne gå til beslutning. Det var åpenbart at prisen var altfor høy til å kunne oppfylle prioriteringskriteriene selv iht. firmaets egen vurdering av nytte, samt at den fremsendte dokumentasjonen var ufullstendig for den aktuelle indikasjonen, som skulle vurderes. Vertex har fremdeles ikke levert dokumentasjon iht. oppdatert bestillingsordlyd.

Ideelt sett burde det gjøres en metodevurdering iht. bestillingen fra Bestillerforum 14.10.2020 på hele indikasjonen, men fortsatt foreligger det ikke dokumentasjon fra firmaet sv.t. hele den aktuelle indikasjonen. En metodevurdering fra Legemiddelverket vil trolig ikke vise et resultat som tilsier at prioriteringskriteriene er oppfylt, som allerede fastslått i beslutningen fra 18.01.2021. Det kan nevnes at man i Sverige har beregnet en IKER som er omtrent det dobbelte av det Vertex selv har beregnet.

Veien videre

Myndighetene har fått mye negativ omtale i media i denne saken, i motsetning til firmaet Vertex som har et betydelig ansvar for å levere nødvendig dokumentasjon, og som praktiserer en utfordrende prispolitikk.

Firmaet har imidlertid fått mye medieoppmerksomhet i andre land. NHS England omtalte

NYE METODER

Vertex som “an extreme outlier in terms of both its pricing and behaviour” og mener at deres prissfastsetting er urimelig⁶. I Nederland har myndighetene offentlig anmodet om en 75 % prisrabatt⁷.

Firmaet Vertex har i liten grad villet forholde seg til prosesser i Nye Metoder og prioriteringsvilkårene i Norge. Det har vært en krevende prosess å få leverandøren til å utforme et tilbud som kan håndteres i oppgjørssystemene som gjelder i Norge. Dette er problemstillinger Sykehusinnkjøp hittil ikke har møtt i forhandlinger med andre legemiddelfirmaer.

De første pristilbudene fra firmaet Vertex hadde tre utfordringer:

- Altfor høy pris sett i forhold til effekten
- Krav om forskjellige priser for eksisterende og nye pasienter (de som allerede har behandling fra individuell refusjon og nye pasienter)
- Spesielle betalingsvilkår som krever et eget system for håndtering av Vertex sine produkter.

Etter tre års forhandlinger er det kommet til en løsning på kulepunkt 2. Siste tilbud gir lik pris for alle behandlingsalternativer og samme pris uavhengig om produktet ble startet via individuell refusjon eller etter at de regionale helseforetakene overtok finansieringsansvaret.

I siste tilbud datert 1. juli 2021 kan det se ut til at Vertex ikke lenger krever spesielle betalingsvilkår, men det må klargjøres om deres beskrivelse av dette er i tråd med hva vi forventer.

Når det gjelder pris har Sykehusinnkjøp gjentatte ganger gitt tilbakemelding til firmaet om at det er behov for betydelige prisreduksjoner, men prisen er i løpet av hele forhandlingstiden bare justert marginalt. Det virker vanskelig å få til et bedre pristilbud.

Fire mulige veier videre:

1. Kreve dokumentasjonen som mangler for hele den aktuelle indikasjonen og gjøre en kostnad-nytte-analyse for Kaftrio. Dette er prinsipielt ønskelig å gjøre for en så dyr behandling som også har store budsjettkonsekvenser. Tidsrammen til mulig beslutning basert på kostnad-nytte-analyse er trolig minimum ett år, og avhenger av at leverandøren leverer dokumentasjon. Skal en slik analyse gi en akseptabel ICER må prisen reduseres betydelig, noe som nå virker lite trolig.

Veien videre med hensyn til eventuelle metodevurdering(er):

⁶http://www.pmlive.com/pharma_news/vertex_an_extreme_outlier_in_pricing_and_behaviour_says_nhs_england_1276896

⁷ <https://www.zorginstituutnederland.nl/publicaties/adviezen/2021/04/29/gvs-advies-elexacafator-tezacafator-ivacaftor-kaftrio-in-combinatie-met-ivacaftor-kalydeco>

NYE METODER

- a. Notatet som lå til grunn for beslutningen for ID2020_029, fattet den 18.01.2021 vurderes som tilstrekkelig for å belyse saken. Lite er endret siden den tid med hensyn til manglende dokumentasjon, samt at behandlingen fremdeles er langt unna å kunne ansees å oppfylle prioriteringskriteriene; *«prisen for legemidlene er alt for høy sett opp mot prioriteringskriteriene, og det er ikke dokumentert nytte av behandlingen over tid»*.
- b. Det kan etterspørres et oppdatert notat, med eventuelt ytterligere oppsummeringer, tilsvarende det som lå til grunn for beslutningen 18.01.2021. Her kan det belyses innlevert dokumentasjon og tilhørende resultater fra Vertex sin analyse. Her kan det trolig også inngå oppsummeringer fra studien som lå til grunn for indikasjonsordlyden og oppdatert bestillingsordlyd, men som det ikke er redegjort for i innsendt dokumentasjon fra Vertex. Dette vil trolig kunne produseres innenfor en relativt kort tidsramme, og vil kunne belyse saken ytterligere. Antakelig vil en slik tilnærming kun underbygge det som allerede er gjengitt i beslutningen fra 18.01.2021.
- c. Holde fast ved en metodevurdering i tråd med den fullstendige bestillingsordlyden for ID2020_029. I dette tilfellet må det forventes ytterligere forsinkelser fra Vertex, som fremdeles 10 måneder etter bestillingsoppdateringen for ID2020_029 ennå ikke har levert den etterspurte dokumentasjonen. Det er samtidig usikkert om Vertex på dette tidspunktet anser det som hensiktsmessig å levere det som kreves, til tross for at de sitter med dokumentasjonsplikten. Videre vil det inngå tidsbruken for Legemiddelverket å vurdere dokumentasjonspakken. Dette alternativet medfører trolig en lang tidslinje, da det ligger til grunn at prisen må være senket slik at det er mulig at prioriteringskriteriene er oppfylt. Dersom en metodevurdering med fullstendig bestillingsordlyd fra ID2020_029 gjennomføres uten at prisen er vesentlig senket, er også resultatet av metodevurderingen gitt på forhånd, dvs. at prioriteringskriteriene ikke er oppfylt.
- d. Bestillingsordlyden som i dag gjelder for ID2020_029 endres. Her kan Bestiller-/Beslutningsforum utforme en slik bestillingsordlyd som de finner hensiktsmessig til å kunne belyse saken tilstrekkelig for å kunne fatte en beslutning.
En forenklet metodevurdering kan være en mulighet. Utfordringen ligger i manglende dokumentasjon for omtrent 50 % av den aktuelle pasientpopulasjonen. Som påpekt ovenfor i notatet, er det ikke identifisert tydelige avgrensninger i pasientpopulasjonen hvor det er en større sannsynlighet for at prioriteringskriteriene er oppfylt. Hvis Bestiller-

NYE METODER

/Beslutningsforum vurderer at dokumentasjonsgrunnlaget som er innlevert av Vertex for omtrent halvparten av pasientpopulasjonen er tilstrekkelig for å belyse resultater for den fullstendige pasientpopulasjonen, kan Legemiddelverket henvise til Bestiller/Beslutningsforum sin vurdering knyttet til dette i en forenklet metodevurdering. Mao. at bestiller godtar at Legemiddelverket i en forenklet vurdering legger til grunn en antakelse om tilsvarende effekt av behandlingen for hele populasjonen.

Senkes prisen slik at Kaftrio får en IKER som innenfor prioriteringsvilkårene, vil de tre andre behandlingalternativene med Vertex-produktene trolig ikke være kostnadseffektive da de [REDACTED] har vist lavere effekt i kliniske studier. Det betyr likevel lite da de fleste over 12 år trolig vil gå over til Kaftrio-Kalydeco-behandling.

2. Vurdere resultatbasert avtale, gitt at premissene for dette er på plass. Basert på resultatet av forhandlingene vil man kunne vurdere å innføre produktene og ev. revurdere etter et gitt antall år. En slik avtale vil kunne basere seg på gitte effektmål og prisen avhenger av hvordan legemiddelet presterer over tid. En slik avtale krever ytterligere forhandlinger med Vertex og samarbeid med klinikere om hva som kan/bør måles og hva som bør være behandlingsmål og at det må stilles krav om at effekten registreres. Dette vil kreve et betydelig merarbeid for den enkelte kliniker og administrativt. Norsk CF-register kan trolig utvikle og benyttes i en eventuell registrering som oppfølging av avtale.

Det er lite trolig at nye resultater kan gi et kostnadseffektivt resultat om noen år med det nåværende prisnivået som utgangspunkt. Det forventes ikke bedre resultater over tid i de tidsrammene vi har data for i dag, men det vil komme mer langtidsdata. I vurderingene som hittil er gjort av Legemiddelverket, er effektstørrelsene sett i kliniske studier i hovedsak lagt til grunn.

Her må det vurderes hva nytten og den reelle merverdien av en revurdering etter et gitt antall år vil være, sett opp mot ressursbruken. Det kan argumenteres for at å legge opp til en midlertidig innføring og revurdering kan være uheldig, da det er tiltenkt særlig lovende behandlinger hvor det er grunn til å anta at behandlingen er kostnadseffektiv, men at studiedata er for umodne til å konkludere. Det kan etter all sannsynlighet i denne saken ikke forventes bedre resultater enn det firmaet har modellert i sin grunnanalyse, som vi med dagens prisnivå vet ikke gir et kostnadseffektivt resultat. En revurdering vil derfor trolig kun føre til en påminnelse om det allerede åpenbare; at denne behandlingen ikke oppfyller prioriteringskriteriene.

Konsekvensene av en revurdering må derfor klargjøres på beslutningstidspunktet og firmaet må kunne forplikte seg til at en mulig konsekvens kan være at refusjonen

NYE METODER

opphører. Klinikere og pasienter bør også være innforstått med mulig konsekvens av en revurdering.

3. Innføre produktene basert på siste pristilbud selv om prioriteringsvilkårene ikke er oppfylt. Det kan gjøres raskt, men krever klargjøring av betalingsvilkårene. En slik beslutning vil være krevende overfor andre pasientgrupper og for systemets legitimitet.
4. Ikke innføre basert på tilbudt prisnivå. Selv om prioriteringskriteriene åpenbart ikke er oppfylt vil det være en svært krevende beslutning å stå i.

Kort om cystisk fibrose

CF er en autosomal, recessiv, arvelige sykdom, med kroniske forverrelser av kliniske sykdomstegn og kortere levetid sammenlignet med den friske befolkningen. Det finnes ingen kurativ behandling for CF.

CF forårsakes av mutasjoner i CFTR genet, dette resulterer i manglende eller svekket funksjon av CFTR (*Cystic Fibrosis Transmembrane conductance Regulator*) proteiner på celleoverflaten. CFTR-proteiner er epitale kloridkanaler involvert i reguleringen av salt og vann. Manglende funksjon i CFTR-proteinet fører til ubalansert transport av vann og salter ut av epitelcellene. Slimet som skiller ut i bronkiene, tarmkanalen og bukspyttkjertelen blir derfor vannfattig og svært seigt, og gir en svette som inneholder mer salter. Dette gir de klassiske symptomene ved CF, som bukspyttkjertelsvikt og lungesykdom. CF er assosiert med multiorgansvikt grunnet sviktende kloridtransport i organene.

Det er påvist svært mange mutasjoner som kan gi CF. CFTR-genet ble oppdaget i 1989. Så langt er det avdekket om lag 2000 ulike mutasjoner i genet, som alle kan forårsake cystisk fibrose. Noen regnes for å være milde, mens andre gir alvorlig sykdom. Det er ingen absolutt sammenheng mellom mutasjonen og sykdommens alvorlighetsgrad.

De aktuelle CFTR-Mutasjonene

Pasienter homozygote for F508del-mutationen (F/F)

F508del er den alminneligste og forekommer hos 90 % av pas. med CF. Omkring 40-50 % av pasientene har denne mutasjonen i begge CTRF-gener og sies å være homozygote. På gruppenivå har pasienter med F/F-mutasjon svært dårlig eller manglende CFTR funksjon.

Pasienter heterozygote for F508del-mutationen i kombinasjon med en annen mutasjon (F/RF)

Pasienter er heterozygote for F508del mutasjonen dersom de har en kopi av F508del og i tillegg en annen mutasjon som koder for restfunksjon (dvs. F/RF). Disse pasientene har en noe bedre CFTR funksjon enn F/F-pasientene.

3- Klass III-reguleringsmutasjon

Disse mutasjonsformene gjør at CFTR-kanalen ikke holdes åpen lenge nok til en optimal funksjon.

NYE METODER

Mutasjonsformen resulterer i ingen eller meget lav grad av funksjon i CFTR-kanalen.

4- R117H-mutasjon

Denne mutasjon gjør at CFTR-kanalen får nedsatt gjennomtrengelighet. Mutasjonsformen gir ofte et mildere forløp.

Cystisk fibrose ble inkludert i nyfødtscreeningen i 2012.

Tall fra Sverige viser at medianlivslengde var 26 år på 80-tallet, men er nå omkring 50 år.

Forekomst av cystisk fibrose

Forekomsten av cystisk fibrose i Sverige er 1 av 5600, og man regner med omtrent like tall i Norge. I Norge er det om lag 370 kjente tilfeller av cystisk fibrose, litt varierende avhengig av kilde. Norsk CF register har per februar 2021 over 350 inkluderte pasienter og en estimert dekningsgrad på ca. 90 %.

CF har ca. dobbelt så høy forekomst i den anglosaksiske befolkningen. CF-pasienter er ikke så mange på verdensplan fordi det i all hovedsak rammer hvite.

Andre land

Danmark

Avtalen er inngått før etableringen av Medicinrådet i Danmark.

Det ble 1.oktober 2018 inngått en porteføljeavtale mellom Amgro 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 forskrives. <https://amgro.dk/viden-og-analyser/artikler/aftale-sikrer-pasienter-med-cystisk-fibrose-nyeste-behandling/>

Det er liten grunn til å tro at hverken avtalestrukturen eller kostnaden på avtalen i DK kommer i nærheten av å oppfylle våre krav til avtaler eller at prioriteringskriteriene skal være oppfylt.

Sverige

TLV har besluttet at Kaftrio ikke bør inkluderes i stønadsordning (25.3.2021) NT-rådets anbefaling av 31.3.2021 er å avvete bruk av Kaftrio i påvente av ny søknad fra Vertex. *NT-rådet anser att Kaftrio kan användas undantagsvis till patienter som riskerar att avlida i väntan på lungtransplantation. Sådana patientfall bör diskuteras i det nationella behandlingsrådet för cystisk fibros.*

<https://janusinfo.se/download/18.f2224621787416a75c765d9/1617164986766/Avvakta-Kaftrio-2021-03-31.pdf>

NYE METODER

England

Det er inngått en avtale om interimtilgang til CFTR-modulatorer med samtidig datainnsamling⁸. Som del av avtalen, har Vertex forpliktet seg til å sende 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 NHS.

Nederland

Zorginstituut råder statsråden til ikke å inkludere Kaftrio (i kombinasjon med Kalydeco) i refusjonssystemet (GVS). For å bli inkludert må en rekke betingelser først være oppfylt, inkludert en reduksjon på minst 75% av prisen Vertex ber om. (29.4.2021).

Vedlegg:

Prisnotat fra Sykehusinnkjøp HF, datert 02.07.2021

⁸ <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance/data-collection-agreement>

Til: Helse Nord RHF Fagdirektør Geir Tollåli
Helse Vest RHF Fagdirektør Baard-Christian Schem
Helse Sør-Øst RHF Fung. fagdirektør Lars Eikvar
Helse Midt-Norge RHF Fagdirektør Björn Gustafsson
Kopi: Sekretariat Bestillerforum v/ Gunn Fredriksen, Helse Midt-Norge RHF

Fra: Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler (LIS)

Dato: 2. juli 2021

Unntatt offentligheten, ihht. forvaltningsloven § 13, 1. ledd

ID2020_029: Elexakaftor, tezakaftor og ivakaftor (Kaftrio) Kombinasjonsbehandling av cystisk fibrose hos pasienter ≥ 12 år som har minst en F508del-mutasjonen i cystisk fibrose transmembran konduktansregulator (CFTR)-genet, uavhengig av mutasjonsstatus i det andre allelet.

Bakgrunn

Elexakaftor, tezakaftor og ivakaftor (Kaftrio) i kombinasjon med ivakaftor (Kalydeco) er den seneste i rekken av CFTR-modulatorer til cystisk fibrose. Behandlingen er godkjent for pasienter ≥ 12 år som har minst en F508del-mutasjonen i cystisk fibrose transmembran konduktansregulator (CFTR)-genet, uavhengig av mutasjonsstatus i det andre allelet. Dermed er behandling med CFTR-modulator nå aktuell for om lag 85% av pasientene i Norge. Totalt sett er det i dag registrert om lag 365 pasienter med cystisk fibrose.¹

Sykehusinnkjøp viser til Beslutning i Beslutningsforum for nye metoder (18.01.2021):

1. Elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor (Kaftrio) i kombinasjon med ivakaftor (Kalydeco) innføres ikke til behandling av cystisk fibrose hos pasienter ≥ 12 år som har minst en F508del-mutasjon i cystisk fibrose transmembran konduktansregulator (CFTR)-genet, uavhengig av mutasjonsstatus i det andre allelet.
2. Prisen for legemidlene er alt for høy sett opp mot prioriteringskriteriene, og det er ikke dokumentert nytte av behandlingen over tid.
3. Cystisk fibrose er en svært alvorlig sykdom som tar mange gode leveår. Beslutningsforum for nye metoder ser det som viktig å kunne ta i bruk nye medikamenter til denne pasientgruppen. Beslutningsforum for nye metoder ber derfor Sykehusinnkjøp HF gjenoppta forhandlinger og søke nordisk samarbeid.

Sykehusinnkjøp har gjennomført dialog og prisforhandling med Vertex siden juni 2018, knyttet til ID2018_112 Tezakaftor/ivakaftor (Symkevi+Kalydeco) og ID2020_029 Elexakaftor, tezakaftor og ivakaftor (Kaftrio+Kalydeco). Etter Beslutningsforum 18.1.2021 har Sykehusinnkjøp gjennomført nye forhandlinger med leverandøren.

Pristilbud

¹ Informasjon fra Norsk senter for cystisk fibrose



Vertex har 1.7.2021 etter prisforhandling tilbudt et forslag til avtale for alle CFTR-hemmere med følgende priser, vist for kombinasjonen Kaftrio+Kalydeco:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP (NOK)	LIS-AUP inkl. mva.(NOK)
393242	Kalydeco, tablett 150mg, 28 stk	*	
501123	Kaftrio, tablett 100mg/50mg/75mg, 56 stk	132 516,30	

*denne pakningen har ikke maks-AUP pr 2.7.2021

Dette tilsvarer en månedskostnad på [REDACTED] NOK med tilbudt LIS-AUP. Månedskostnaden er beregnet med dosering 2 tabletter Kaftrio morgen og 1 tablett Kalydeco kveld i henhold til SPC. Årskostnaden for Kaftrio+Kalydeco er om lag [REDACTED] NOK LIS-AUP. Det nye pristilbudet innebærer [REDACTED] bedre rabatt enn det som Vertex har tilbudt i ulike forslag tidligere for Kaftrio+Kalydeco og de andre CFTR-modulatorene.

Vertex har markedsføringstillatelse for fire såkalte CFTR-modulatorer, som benyttes som mono- eller kombinasjonsterapi ved ulike CF-mutasjonsstatus. Avtaleforslaget fra Vertex er et pristilbud på alle behandlingsregimene med CFTR-modulatorer. [REDACTED]

NyeMetoder	Virkestoff (Handelsnavn)
ID2018_110	Ivakaftor (Kalydeco)
ID2018_111	Lumakaftor/ivakaftor (Orkambi)
ID2018_112	Tezakaftor/ivakaftor (Symkevi+Kalydeco)
ID2020_029	Elexakaftor, tezakaftor og ivakaftor (Kaftrio+Kalydeco)

Det er bestilt metodevurdering av metodene. Finansiering av Kalydeco og Orkambi ble overført fra Folketrygden (individuell refusjon) til RHF i februar 2019 og det er hhv 16 og 32 pasienter² som benytter Kalydeco og Orkambi til maksimalpris³. Vertex har ikke levert dokumentasjon til metodevurdering av de to metodene.

Symkevi+Kalydeco er metodevurdert, og det ble besluttet å ikke innføre denne metoden 18.1.2021⁴. Ved en eventuell innføring av Kaftrio+Kalydeco er det forventet at nær alle aktuelle pasienter vil benytte denne kombinasjonen. Også pasientene som i dag benytter Kalydeco eller Orkambi vil trolig være aktuelle for å seponere dagens behandling og i stedet benytte Kaftrio+Kalydeco.

Kostnadseffektivitet

Vi viser til Legemiddelverkets rapport fra metodevurdering av en annen CFTR-modulator (ID2018_112), tezakaftor/ivakaftor (Symkevi) i kombinasjon med ivakaftor (Kalydeco). Den lå til

² kilde: Reseptregisteret

³ Årskostnad for Kalydeco er om lag 2,3 millioner NOK maks AUP og for Orkambi om lag 1,7 millioner NOK maks AUP.

⁴ <https://nyemetoder.no/metoder/tezakaftorivakaftor-symkevi>



grunn for beslutningen om å ikke innføre Symkevi+Kalydeco 18.1.2021. Vi viser til prisnotat i saken. Forslaget fra Vertex som gjaldt på tidspunktet, skulle ihht til beslutning i fagdirektørmøte 7.9.2020 ikke legges til grunn, men Sykehusinnkjøp ba Legemiddelverket legge de tilbudte prisene fra Vertex inn i analysene, for å vurdere prisnivået som Vertex tilbød. Med tilbudt pris for Symkevi+Kalydeco, var ICER hhv [REDACTED] NOK og [REDACTED] NOK for de to populasjonene F/F og F/RF, hvor alvorlighetsgraden (APT) var beregnet til hhv 30 og 28 QALY. [REDACTED]

Det er ingen helseøkonomisk analyse tilgjengelig for Kaftrio+Kalydeco for å vurdere behandling med Kaftrio+Kalydeco utfra prioriteringskriteriene som skal ligge til grunn for innføring, eller beregne alvorlighetsgrad for den utvidede/brede populasjonen som er aktuell.

I dag er det kun én leverandør med legemidler til såkalt årsaksbehandling ved cystisk fibrose, Vertex. Sykehusinnkjøp har gjennomført dialog og prisforhandling med Vertex siden juni 2018, knyttet til overføring av finansiering av Kalydeco og Orkambi og de nye metodene ID2018_112 Tezakaftor/ivakaftor (Symkevi+Kalydeco) og ID2020_029 Elexakaftor, tezakaftor og ivakaftor (Kaftrio+Kalydeco).

Vertex har tidligere foreslått en avtaleform og -struktur på innkjøpsavtaler som ikke er i tråd med prinsippene for alternative prisavtaler besluttet av Beslutningsforum. [REDACTED]

I de totalt tre årene som dialog har pågått, har Vertex valgt å ikke justere prisen for sin portefølje nevneverdig. [REDACTED]

Budsjettkonsekvenser

Det er ikke utført analyse av budsjettkonsekvenser av en eventuell innføring av Kaftrio+Kalydeco sammen med de andre CFTR-modulatorene.

Ved en eventuell innføring av Kaftrio+Kalydeco, vil behandling med CFTR-modulator være aktuell for om lag 85% av pasientene. For å belyse hva totalkostnaden kan utgjøre kan man ta utgangspunkt i om lag 365 pasienter med CF totalt sett, dermed om lag 310 pasienter aktuelle for behandling. Årlig behandlingstkostnad pr pasient er med tilbudt LIS-pris om lag [REDACTED] millioner NOK. Total årlig legemiddelkostnad kan derfor være opptil om lag [REDACTED] millioner NOK. Dagens årlige legemiddelkostnader⁵ for Kalydeco og Orkambi, hhv 34,7 millioner NOK og 49,5 millioner NOK vil komme til fratrukk.

Betydning for fremtidig anskaffelse

Vertex er eneste leverandør av CFTR-modulatorer, og bortsett fra parallellimporterte legemidler, allerede tilgjengelig for Kalydeco, er det er ikke ventet andre leverandører/metoder i nær framtid.

⁵ Omsetning i kroner 2020 hentet fra reseptregisteret



Informasjon om refusjon av Kaftrio+Kalydeco og andre CFTR-modulatorer i andre land

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 forskrives⁶.

Sverige: TLV har besluttet at Kaftrio ikke bør inkluderes i stønadsordning (25.3.2021) NT-rådets anbefaling av 31.3.2021 er å avvente bruk av Kaftrio i påvente av ny søknad fra Vertex. NT-rådet anbefaler videre at enkeltpasienter som trenger lungetransplantasjon, og der ytterligere forverring av tilstand kan umuliggjøre transplantasjon, kan vurderes for behandling med Kaftrio etter diskusjon med det nasjonale behandlingsrådet for cystisk fibrose⁷.

England (NHS): Det er inngått en avtale om interimtilgang til CFTR-modulatorer med samtidig datainnsamling⁸. Som del av avtalen, har Vertex forpliktet seg til å sende 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 NHS.

Nederland: Zorginstituut råder statsråden til ikke å inkludere Kaftrio[®] (i kombinasjon med Kalydeco[®]) i refusjonssystemet (GVS)⁹ For å bli inkludert må en rekke betingelser først være oppfylt, inkludert en reduksjon på minst 75% av prisen Vertex ber om. (29.4.2021)

Oppsummering

Sykehusinnkjøp har forhandlet med Vertex jfr oppdrag i Beslutningsforum 18.1.2021 og har mottatt et nytt forslag til avtale. Kravet fra Vertex i forrige tilbud om et eget oppsett for tilbakebetaling av rabatt er tatt ut, men prisnivået for legemidlene er ikke justert nevneverdig. Årskostnad for behandling er med tilbudt LIS-pris ████████ NOK. Det er ikke utført metodevurdering av Kaftrio+Kalydeco, eller beregnet alvorlighetsgrad. Det er ikke utført analyse av budsjettvirkning, men en enkel skisse viser at om lag 310 pasienter kan være aktuelle for behandling.

Asbjørn Mack
Fagsjef

Anne Marthe Ringerud
Fagrådgiver

⁶ <https://amgros.dk/viden-og-analyser/artikler/aftale-sikrer-pasienter-med-cystisk-fibrose-nyeste-behandling/>

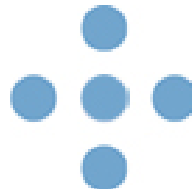
⁷ <https://janusinfo.se/download/18.f2224621787416a75c765d9/1617164986766/Avvakta-Kaftrio-2021-03-31.pdf>

⁸ <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance/data-collection-agreement#agreement>

⁹ <https://www.zorginstituutnederland.nl/publicaties/adviezen/2021/04/29/gvs-advies-elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor-kaftrio-in-combinatie-met-ivacaftor-kalydeco>



Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket	n/a	Oppdrag i Beslutningsforum 18.1.2021
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	21.1.2021	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp	1.7.2021	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp	2.7.2021	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp	166 dager hvorav 162 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 4 dager.	



Møtedato: 10.08.2021

Vår ref.:
20/00805

Saksbehandler/dir.tlf.:
Ellen Nilsen / 997 49 706

Sak 090- 2021 Eventuelt