

Innspillskjema for legemidler

Opplysninger fra leverandør / produsent

Leverandøren/produsenten har anledning til å komme med tilleggsopplysninger til en metode (forslag/metodevarsel) som er foreslått for nasjonal metodevurdering før den behandles av Bestillerforum RHF. Bruk dette skjema for å gi innspill til forslag/metodevarsler på metoder som har status «Forslag mottatt/åpent for innspill». Det er frivillig å fylle ut skjemaet.

Innsendte skjema vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no. Dersom det er nødvendig informasjon for utfylling av skjemaet som ikke kan offentliggjøres ta kontakt med sekretariatet [forinnsending](mailto:forinnsending@rhf.no).

Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (kryss av): ☒

Jeg har fylt ut siste punktet «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av): ☒

Hvilken metode gjelder det	
Metodens ID nummer*:	ID2020_025
Metodens tittel:	Nitisinone (Orfadin) til behandling av alkaptonuri hos voksne.

*ID2016_XX

Navn på leverandør / produsent:	Swedish Orphan Biovitrum (Sobi)
Organisasjonsnummer:	976313682191
Vi er leverandør av følgende legemiddel på det norske markedet:	Orfadin® (nitisinon)
Kontaktperson med kontaktinformasjon:	Katrine L. Føland, katrine.foland@sobi.com

Foreligger det Markedsføringstillatelse i Norge? Ja
I så fall: Tidspunkt for Markedsføringstillatelse: 21. februar 2005 Godkjent indikasjon: «Behandling av voksne og barn i alle aldre med bekreftet diagnose på hereditær tyrosinemi type 1 (HT-1) i kombinasjon med diettmessig restriksjon av tyrosin og fenylalanin.»

Er legemidlet i bruk i Norge i dag? Ikke for denne aktuelle metoden (AKU), men ved HT-1
Hvis legemidlet er i bruk: Fra hvilket tidspunkt har det vært i bruk: Nevn eventuelt(le) sted(er) det er i bruk:

Er legemidlet omtalt eller anbefalt i for eksempel nasjonale retningslinjer?
Vi er ikke kjent med at det finnes nasjonale retningslinjer.

Kjenner dere til om det er flere leverandører av legemidlet?

I så fall hvilke(n): Generisk nitisinon

- Nitisinone MDK Mendelikabs
- Nitisinone Dipharma

Eventuelle innspill til hoved-/ underproblemstilling i forslaget/metodevarslet?

Metoden omfatter en svært begrenset pasientgruppe.

Orfadin har gått av patent. Det finnes to generiske alternativ og det er innført trinnpris.

Finnes alternativer til legemidlet som er foreslått (dere er ansvarlig for)?

I så fall beskriv kortfattet:

Det finnes ikke farmakologisk behandling tilgjengelig foruten smertestillende (Ref.: National Health Service. Alkaptonuria. 2019. Available from: <https://www.nhs.uk/conditions/alkaptonuria/> [Accessed 25th June 2019])

Ingen helbredende behandling. Usikker effekt, men høye doser askorbinsyre (vitamin C) og diett som reduserer inntaket av feny-alanin og tyrosin forsøkes

(Ref.: <https://bindevessykdommer.no>)

Øvrige kommentarer

Ønsker dere å bidra med dokumentasjon som etterspørres dersom Bestillerforum RHF beslutter at det skal gjennomføres en metodevurdering på bakgrunn av forslaget/metodevarsel?

Alkaptonuri (AKU) er en sjelden, recessivt arvelig stoffskiftesykdom. Vi har ikke tall på antall pasienter i Norge, men basert på tidligere kommunikasjon med ekspertmiljøet kan vi anta at det er svært lavt – anslagsvis er det kun en håndfull AKU pasienter i Norge. Noen av disse er barn og faller dermed utenfor indikasjonssområdet for AKU, som er ≥ 18 år. Orfadin® (nitisinon) vil følgelig være et behandlingsalternativ for kun et par-tre voksne pasienter.

Pasienter med AKU vil benytte en vesentlig lavere dose (10 mg per dag) sammenlignet med pasienter med HT-1 (1 mg/kg/dag). Orfadin® (nitisinon) har gått av patent og det er innført trinnpris. Den årlige kostnaden per pasient basert på trinnpris (gjennomsnitt) vil være på 120.158 NOK. (329,2 per 10 mg kapsel * 365 dager)

På bakgrunn av at behandlingen kun vil være aktuell for svært få pasienter, og det i tillegg finnes generisk alternativ på markedet, ser ikke Sobi at det er meningsfullt å legge ned så mye tid og ressurser i å utarbeide et dokument for metodevurdering, som vil gjelde kanskje bare en pasient eller to.

Interesser og eventuelle interessekonflikter

-til den leverandør/produsent som sender inn dette innspill

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som foreslås metodevurdert. (Eksempel: Økonomiske interesser i saken.)

Beskriv kortfattet:

Sted, dato

Oslo 18. august 2020

Firmanavn:

Swedish Orphan Biovitrum, Sobi

Navn:

Katrine L. Føland

Katrine L. Føland