

Notat

Til:

Helse Nord RHF	Fagdirektør	Per Rønning
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:** 02. juli 2026

ID2025_054: rADAMTS13 (Adzynma) enzymerstatningsterapi (ERT) for behandling av ADAMTS13-mangel hos barn og voksne pasienter med medfødt trombotisk trombocytopenisk purpura (cTTP)

Bakgrunn

Det vises til metodevurderingsrapport fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) datert 28.06.2026 samt godkjent preparatomtale for Adzynma¹. DMP har vurdert prioriteringskriteriene alvorlighet, nytte og ressursbruk, samt usikkerhet i dokumentasjonen og budsjettkonsekvenser. Metodevurderingen inneholder en kostnadsminimeringsanalyse der behandling med rADAMTS13 sammenlignes med dagens standardbehandling, intravenøs plasmainfusjon (Octaplasma).

Godkjent indikasjon:

Enzymerstatningsterapi (ERT) for behandling av ADAMTS13-mangel hos barn og voksne med medfødt trombotisk trombocytopenisk purpura (cTTP).

Behandling med rADAMTS13 administreres via intravenøs infusjon, og gis enten profylaktisk for å unngå TTP-anfall eller ved behov når TTP-anfall oppstår.

Pristilbud

Takeda har 26.06.2026 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maksimal AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
187539	Adzynma 500 IE, 1 sett hetteglass	18 751,60 NOK	
454609	Adzynma 1500 IE, 1 sett hetteglass	56 182,40 NOK	

¹ [SPC Adzynma](#)



Tabellene nedenfor viser års- og månedskostnad for profylaktisk behandling, og kostnader ved behovsbehandling. Beregningene er gjort for en voksen pasient på 75 kg og barn på 32,4 kg og inkluderer svinn. Beregningene inkluderer kun legemiddelkostnader.

Års- og månedskostnad profylaktisk behandling for barn og voksne:

	Årskostnad Maks-AUP inkl. mva.	Årskostnad RHF-AUP inkl. mva.	Månedskostnad RHF- AUP inkl. mva
Q2W:			
Voksne	2 929 511 NOK		
Barn	1 464 755 NOK		
Q1W			
Voksne	5 859 022 NOK		
Barn	2 929 511 NOK		

For profylaktisk behandling er kostnadene beregnet med 40 IE/kg kroppsvekt 1 gang hver 2. uke (Q2W). Kan justeres til 40 IE/kg kroppsvekt 1 gang pr. uke (Q1W) basert på klinisk respons i hht. til SPC.

For behovsbehandling er doseringen følgende iht. SPC:

- 40 IU/kg kroppsvekt på dag 1.
- 20 IU/kg kroppsvekt på dag 2.
- 15 IU/kg kroppsvekt fra og med dag 3 én gang daglig til to dager etter at den akutte hendelsen er løst (se pkt. 5.1 i SPC).

Kostnad behovsbehandling (4 dager)

	Maksimal AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
Voksne	280 912 NOK	
Barn	131 1989NOK	

De medisinske fagekspertene vurderer at rADAMTS13 trolig vil selvsadministreres av de aller fleste pasientene hjemme, etter opplæring.

Kostnadseffektivitet

DMP har i metodevurderingen presentert en sammenligning av årlige kostnader knyttet til rADAMTS13 og dagens standardbehandling (Octaplasma) hos pasienter med cTTP. Sammenligningen skiller mellom profylaktisk- og behovsbasert behandling samt mellom voksne og barn. DMP benytter 80 kg kroppsvekt for voksne og 35,16 kg for barn i beregningen og inkluderer svinn for begge behandlingene knyttet til profylakse.

Profylaktisk behandling

DMPs hovedanalyse for sammenligning av årlige kostnader ved profylaktisk behandling, inkludert kostnader knyttet til legemidler, administrasjon, reisekostnader og verdi av fritid er vist i tabellen under.



DMPs hovedanalyse for sammenligning av årlige kostnader for profylaktisk behandling med rADAMTS13 og Octaplasma per pasient (voksne (18+) og barn) (RHF-AUP uten mva.).

Årlig kostnad for profylaktisk behandling	Type kostnad	rADAMTS13 (NOK)	Octaplasma (NOK)	Inkrementell (NOK)
Voksne	Legemiddelkostnader			
	Admin. kostnader	7 556	169 740	-162 184
	Reisekostnader	3 560	34 055	-30 495
	Tidsbruk	3 684	29 871	-26 187
	Totalt			
Barn	Legemiddelkostnader			
	Admin. kostnader	7 556	169 740	-162 184
	Reisekostnader	4 461	34 055	-29 594
	Tidsbruk	6 467	59 743	-53 267
	Totalt			

For Octaplasma er det lagt til grunn ca. 19 administreringer på sykehus per år, basert på en dosefrekvens der 20 % mottar behandling Q2W og 80 % Q3W. For rADAMTS13 er det lagt til grunn 2 administreringer på sykehus knyttet til opplæring.

Tilsvarende tabell 9 i metodevurderingsrapporten, oppdatert med konfidensielle priser (uten mva.).

I hovedanalysen legger DMP til grunn at 20 % behandles Q1W og 80 % Q2W i tråd med observert dosering i den kliniske studien, og 20 % behandles Q2W og 80 % Q3W for Octaplasma. De rekrutterte medisinske fagekspertene opplyser at Octaplasma administreres på sykehus, mens rADAMTS13 vil kunne selvsadministreres hjemme.

DMP ønsker å belyse usikkerheten knyttet til forutsetningene i kostnadssammenligningen. I tabellen under presenteres ulike plausible scenarioanalyser knyttet til DMPs hovedanalyse (tabell 10 i metodevurderingen). Scenarioanalysene belyser usikkerhet knyttet til doseringsfrekvens og pasientvekt.



Scenarioanalyser for inkrementell kostnad knyttet til profylaktisk behandling med rADAMTS13 versus Octaplasma med utgangspunkt i DMPs hovedanalyse. Kostnadene representerer gjennomsnittlige årlige kostnader (legemiddel, administrasjon, reise og tidsbruk) for en pasient (barn og voksen) (RHF-AUP uten mva.)

	Parameter/ forutsetning	DMPs hovedanalyse	Scenario- analyse	Per person (voksen eller barn)	Inkrementell totalkostnad (± endring fra hovedanalyse) (NOK)
	Hovedanalyse DMP (inkrementell kostnad for rADAMTS13)			Voksne	
				Barn	
A	Dosefrekvens rADAMTS13	20 % Q1W 80 % Q2W	50 % Q1W 50 % Q2W	Voksne	
				Barn	
B	Dosefrekvens rADAMTS13	20 % Q1W 80 % Q2W	100 % Q2W	Voksne	
				Barn	
C	Dosefrekvens Octaplasma	20 % Q2W 80 % Q3W	50 % Q2W 50 % Q3W	Voksne	
				Barn	
D	Dosefrekvens Octaplasma	20 % Q2W 80 % Q3W	100 % Q3W	Voksne	
				Barn	
E	Dose av Octaplasma	3 poser for barn	2 poser for barn	Barn	
F	Dose av rADAMTS13	Gjennomsnittsvikt (80 kg)	Gjennomsnittsvikt (75 kg)	Voksne	
G	Dose av rADAMTS13	Gjennomsnittsvikt (80 kg)	Gjennomsnittsvikt (88 kg)	Voksne	

Tilsvarende tabell 10 i metodevurderingen, oppdatert med konfidensielle priser (uten mva.)



Behovsbasert behandling

Engangskostnad knyttet til legemiddelkostnader til én akutt TTP-hendelse, basert på behandling med rADAMTS13 og Octaplasma, hos voksne og barn (<18 år) (RHF-AUP uten mva.).

Engangskostnad for en akutt TTP hendelse per pasient	Kostnader	rADAMTS13 (NOK)	Octaplasma (NOK)	Inkrementell (NOK)
Voksne	Legemiddelkostnader			
Barn	Legemiddelkostnader			

Tilsvarende tabell 11 i metodevurderingsrapporten, oppdatert med konfidensielle priser (uten mva.).

I metodevurderingen understreker de rekrutterte medisinske fageksperter at forekomsten av akutte hendelser er svært varierende og at det er vanskelig å komme med et representativt anslag for norsk klinisk praksis.

Budsjettkonsekvenser

DMP har beregnet følgende budsjettkonsekvenser for spesialisthelsetjenestens legemiddelbudsjett med utgangspunkt i profylaktisk behandling:

Pris	Budsjettkonsekvenser
Maksimal AUP inkl. mva.	65 802 751 NOK
Avtalepris mottatt 26.06.2026 inkl. mva.	

I budsjettberegningene for de neste fem årene legger DMP til grunn en profylaktisk pasientpopulasjon bestående av 6 barn og 14 voksne, med en antagelse om ingen pasientvekst i de neste 5 årene.

Budsjettberegningene er forenklede og usikre. Resultatene vil blant annet være avhengig av pasientantall og andelen voksne pasienter som mottar profylaktisk behandling. Videre vil behandlingsfrekvens og pasientenes vekt kunne påvirke de estimerte kostnadene betydelig.

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom Adzynma blir besluttet innført av Beslutningsforum 24.08.2026 kan legemiddelet tas i bruk fra 15.10.2026, da ny pris kan gjelde fra denne datoen.

Informasjon om refusjon av Adzynma i andre land

Sverige: Under vurdering².

Danmark: Ingen beslutning identifisert.

Skottland (SMC): Ingen beslutning identifisert.

England (NICE/NHS): Under vurdering³

² [NT rådet Adzynma](#)

³ [NICE apadamtase alfa](#)



Oppsummering

DMP har vurdert prioriteringskriteriene alvorlighet, nytte og ressursbruk, samt usikkerhet i dokumentasjonen og budsjettkonsekvenser. Metodevurderingen inneholder en kostnadsminimeringsanalyse. DMP har presentert en sammenligning av årlige kostnader knyttet til behandling med rADAMTS13 og dagens standardbehandling hos pasienter med cTTP.

Basert på pristilbud mottatt 26.06.2026 er kostnadene ved behandling med rADAMTS13

Budsjettkonsekvenser ved en eventuell innføring av rADAMTS13 er beregnet til om lag [redacted] RHF-AUP inkl. mva.

Dersom Adzynma blir besluttet innført av Beslutningsforum 24.08.2026 kan legemiddelet tas i bruk fra 15.10.2026 til aktuell indikasjon, da ny pris kan gjelde fra denne datoen

Christina Sivertsen
Fagsjef

Lea Nga Tran
Fagrådgiver

Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	15.06.2026	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	15.06.2026	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	26.06.2026	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	02.07.2026	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	17 dager hvorav 11 dager i påvente av ytterligere prisopplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 6 dager.	