

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:** 26.06.2025

ID2024_066: Eleksakaftor/tezakaftor/ivakaftor (Kaftrio) i kombinasjon med ivakaftor til behandling av cystisk fibrose hos pasienter fra to års alder som har minst en mutasjon som ikke er av Klasse I i CFTR-genet

Bakgrunn

Det vises til møte i Bestillerforum 16.06.2025 der følgende oppdrag ble bestilt for ID2024_066:

Et prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.

Det vises dessuten til egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) av 3.6.2025.

Den aktuelle indikasjonsutvidelsen ble godkjent i EMA 04.04.2025.

Godkjent indikasjon:

Granulat:

Kaftrio granulat er indisert i et kombinasjonsregime med ivakaftor til behandling av cystisk fibrose (CF) hos pediatriske pasienter i alderen 2 til < 6 år som har minst én mutasjon i cystisk fibrose transmembran konduktansregulator (CFTR)-genet som ikke er av klasse I

Tabletter:

Kaftrio tabletter er indisert i et kombinasjonsregime med ivakaftor til behandling av cystisk fibrose (CF) hos pasienter fra 6 års alder som har minst én mutasjon i cystisk fibrose transmembran konduktansregulator (CFTR)-genet som ikke er av klasse I.

Eleksakaftor/tezakaftor/ivakaftor i kombinasjon med ivakaftor er tidligere besluttet innført til behandling av CF hos pasienter fra 2 år, som har minst én F508del-mutasjon i CFTR-genet¹. I den opprinnelige metodevurderingen av eleksakaftor/tezakaftor/ivakaftor datert 10.12.2021 ble det

¹ [ID2020_029](#), [ID2021_134](#), [ID2024_013](#)



anslått at dette omfattet om lag 85 % av alle norske pasienter med CF, og som dermed var aktuelle for behandling med eleksakaftor/tezakaftor/ivakaftor.

Eleksakaftor/tezakaftor/ivakaftor har nå fått utvidet indikasjonsområdet til å omfatte behandling av pasienter fra 2 års alder, som har minst én mutasjon i CFTR-genet som ikke er en klasse I-mutasjon. I egnethetsvurderingen fremgår det at denne indikasjonsutvidelsen vil øke pasientgrunnlaget med rundt 15–17 % fra dagens nivå.

Pristilbud

Vertex har 25.06.2025 bekreftet at følgende priser skal ligge til grunn for beslutning:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
065850	Kaftrio, 37,5mg/25mg/50mg, 56 tabletter	129 822,90 NOK	
501123	Kaftrio, 75mg/50mg/100mg, 56 tabletter	129 822,90 NOK	
535868	Kaftrio, 60mg/40mg/80mg, Granulat i doseposer, 28 stk	129 403,90 NOK	
371301	Kaftrio, 75mg/50mg/100mg, Granulat i doseposer, 28 stk	129 679,30 NOK	
463741	Kalydeco, 59,5 mg, granulat i doseposer, 28 stk	75 125,50 NOK	
430569	Kalydeco 75 mg, granulat i doseposer, 28 stk	78 732,60 NOK	
472653	Kalydeco, 75 mg, 28 tabletter	73 729,40 NOK	
393242	Kalydeco 150 mg, 28 tabletter	73 729,40 NOK	

Dette tilsvarer en årskostnad på [REDACTED] med tilbudt RHF-AUP og 2 653 213 NOK med maks AUP. Årskostnaden er beregnet med dosering 2 tabletter Kaftrio i kombinasjon med 1 tablett Kalydeco daglig, i henhold til SPC. Månedskostnaden for Kaftrio i kombinasjon med Kalydeco er [REDACTED] RHF-AUP. Legemiddelkostnadene for Kaftrio i kombinasjon med Kalydeco for aktuell pasientpopulasjon [REDACTED]

Kostnadseffektivitet

Det er ikke beregnet kostnadseffektivitet ved bruk av eleksakaftor/tezakaftor/ivakaftor til aktuell indikasjon.

Med den nye indikasjonen er eleksakaftor/tezakaftor/ivakaftor åpnes det for behandling av CF forårsaket av et stort antall ulike mutasjoner i CFTR-genet – i praksis hos alle pasienter man mener det er sannsynlig at vil oppleve en respons. DMP skriver i egnethetsvurderingen at EMA har vurdert at behandling med eleksakaftor/tezakaftor/ivakaftor i kombinasjon med ivakaftor kan gi dramatisk forbedring av utfallsmål for noen pasienter som hittil ikke har hatt tilgang på behandlingen, samtidig som behandlingen ikke virker for alle mutasjoner og noen pasienter vil fremdeles oppleve alvorlig sykdomsprogresjon til tross for behandling.

DMP skriver videre at EMA har vurdert effekt og sikkerhet for et mindretall av de aktuelle mutasjonene fra en randomisert placebokontrollert studie, og data for de resterende mutasjonene stammer fra en amerikansk virkelighetsdatastudie, bibliografiske data fra en fransk *compassionate use*-program, samt laboratoriestudier.



Alternativ prisavtale

I forbindelse med opprinnelig innføring av Kaftrio til behandling av cystisk fibrose ble det inngått en alternativ prisavtale. [REDACTED]

Budsjettkonsekvenser

Det er ikke beregnet budsjettkonsekvenser for innføring av aktuell indikasjon.

Det er usikkert hvor mange pasienter som kan være aktuelle for metoden. Ifølge Legemiddelregisteret var det 279 pasienter som mottok behandling med eleksakaftor/tezakaftor/ivakaftor i Norge i 2024. I egnethetsvurderingen skriver DMP at den nye indikasjonen vil utvide aktuell pasientpopulasjon med 15–17 % fra dagens nivå, tilsvarende ca. 42–47 nye pasienter.

Dersom en legger dette pasientanslaget til grunn, vil en eventuell innføring til utvidet pasientpopulasjon medføre økte legemiddelutgifter for eleksakaftor/tezakaftor/ivakaftor på om lag [REDACTED]

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom eleksakaftor/tezakaftor/ivakaftor i kombinasjon med ivakaftor blir besluttet innført på møte i Beslutningsforum 25.08.2025, kan behandlingen tas i bruk til aktuell indikasjon fra beslutningstidspunktet.

Informasjon om refusjon av virkestoff Kaftrio i kombinasjon med Kalydeco i andre land

Sverige: Ingen beslutning identifisert for aktuell indikasjonsutvidelse.

Danmark: 1.oktober 2018 ble det inngått en porteføljeavtale mellom AmgroS og Vertex. innebærer at et fast årlig beløp uavhengig av hvor mange pasienter som behandles, og uavhengig av hvilke CFTR-modulatorer fra Vertex som forskrives².

Skottland (SMC): Ingen beslutning identifisert for aktuell indikasjonsutvidelse.

England (NICE/NHS): Ingen beslutning identifisert for aktuell indikasjonsutvidelse.

Oppsummering

Behandling med eleksakaftor/tezakaftor/ivakaftor i kombinasjon med ivakaftor har siden april 2022 vært tilgjengelig for om lag 85 % av den norske pasientpopulasjonen med CF. Den foreliggende indikasjonsutvidelsen åpner for behandling hos alle pasienter det er sannsynlig at vil oppleve en respons på behandlingen.

² <https://www.amgroS.dk/om-amgroS/nyheder/aftale-sikrer-pasienter-med-cystisk-fibrose-nyeste-behandling/>



Dersom eleksakaftor/tezakaftor/ivakaftor i kombinasjon med ivakaftor blir besluttet innført på møte i Beslutningsforum 25.08.2025, kan behandlingen tas i bruk til aktuell indikasjon fra beslutningstidspunktet.

Anne Marthe Ringerud
Fagsjef

Morten Søndena
Fagrådgiver



Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	n.a.	Oppdrag bestilt i Bestillerforum: 16.06.2025
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	23.06.2025	
Fullstendige opplysninger (pris og SPC) fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	25.06.2025	
Aktuell indikasjon godkjent	04.04.2025	Kommisjonsvedtak
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	26.06.2025	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	10 dager hvorav 2 dager i påvente av ytterligere opplysninger fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 8 dager.	