

Notat

Til: Jan Frich, administrerende direktør Helse Midt RHF

Fra: Trude Basso, fagdirektør Helse Midt RHF

Dato: 13.08.2026

Saksdokumentene er unntatt offentlighet, jf. Off.loven §§ 14 og 23,1

Saksdokumentenes opplysninger om pris er unntatt offentlighet, jf. offl. § 13 jf. fvl. § 13, 1. ledd nr. 2

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

Fagdirektørene har gjort en vurdering med bakgrunn i prinsippene Stortinget sluttet seg til ved behandling av prioriteringsmeldingen, styresakene om nasjonalt system for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten, metodevurderingen utført av Direktoratet for medisinske produkter (DMP) og prisnotatet fra Sykehusinnkjøp HF. Det legges her frem en vurdering og anbefaling fra de regionale fagdirektørene. Se metodeside for tidsbruk.¹

Anbefaling fra fagdirektørene

1. rADAMTS13 (Adzynma) enzymerstatningsterapi (ERT) innføres ikke til behandling av ADAMTS13-mangel hos barn og voksne pasienter i alle aldersgrupper med medfødt trombotisk trombocytopenisk purpura (cTTP).
2. Det er ikke tilbudt en pris som står i et rimelig forhold til dokumentert klinisk nytte.
3. Sykehusinnkjøp bes gjenoppta forhandlingene med leverandør.

Dersom det tilkommer nye opplysninger (herunder pasientsikkerhet, kostnadseffektivitet, pris, biotilsvarende/generika, overlevelsestall m. m.) som endrer resultatet vesentlig, vil beslutningen kunne vurderes på nytt.

Bakgrunn

Saken gjelder et nytt legemiddel som ikke tidligere er vurdert i systemet for Nye metoder.

Bestillerforum ga 20.10.2025 følgende oppdrag:

En metodevurdering, med en helseøkonomisk analyse (kostnadsminimeringsanalyse), basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør, gjennomføres av Direktoratet for medisinske produkter (DMP). Et tilhørende prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.

I henhold til bestillingen har DMP utarbeidet en metodevurderingsrapport datert 28.06.2026 og Sykehusinnkjøp HF har utarbeidet et prisnotat datert 02.07.2026.

¹ [rADAMTS13 \(Adzynma\) - Nye metoder](#)

Godkjent indikasjon:

ADZYNMA er en enzymerstatningsterapi (ERT) indisert for behandling av ADAMTS13-mangel hos barn og voksne pasienter med medfødt trombotisk trombocytopenisk purpura (cTTP).

ADZYNMA kan brukes hos alle aldersgrupper.

Om sykdommen:

cTTP er en sjelden, arvelig tilstand som skyldes mangel på enzymet ADAMTS13. Dette fører til en opphopning av von Willebrand-faktor (VWF). Tilstanden er karakterisert av trombocytopeni (få blodplater), hemolytisk anemi (som følge av økt nedbrytning av røde blodceller) og utbredt mikrovaskulær trombosering (små blodpropper).

Akutte sykdomsepisoder (TTP-anfall) er karakterisert av plutselig økt mikrovaskulær trombosering som følge av svært lav ADAMTS13-aktivitet. Klinisk manifesterer dette seg ved en kombinasjon av trombocytopeni, mikroangiopatisk hemolytisk anemi og varierende grad av organskade, ofte med neurologiske symptomer og/eller nyrepåvirkning. Dette kan være fatalt dersom ubehandlet.

Sykdomsdebut kan forekomme både i nyfødtperioden og i voksen alder. Sykdommens alvorlighetsgrad varierer betydelig, fra alvorlige forløp med dødsfall i nyfødtperioden til lange sykdomsfrie intervaller. Risikoen for TTP-anfall er høyest i nyfødtperioden, under graviditet og i forbindelse med infeksjoner.

Pasientgrunnlag i Norge:

I Norge er forekomsten av cTTP 15 ganger høyere enn på verdensbasis. Det har blitt rapportert en særlig høy prevalens i Midt-Norge. Basert på opplysninger fra de rekrutterte medisinske fagekspertene antas det at det totalt er 26 pasienter med cTTP i Norge, hvorav om lag 20 er voksne og 5–6 er barn (<18 år).

Behandling i norsk klinisk praksis:

Behandling gis enten profylaktisk for å unngå TTP-anfall eller ved behov når TTP-anfall oppstår. Ved både behovsbehandling og profylaktisk behandling er intravenøs plasmainfusjon (Octaplasma) førstevalg til pasienter med cTTP i norsk klinisk praksis. Alle barn mottar i dag profylaktisk behandling. Blant de voksne står om lag to tredjedeler på profylaktisk behandling med plasma, mens de øvrige behandles ved behov.

Plassering av rekombinant ADAMTS13 i behandlingsalgoritmen:

De rekrutterte medisinske fagekspertene vurderer at rADAMTS13 kan erstatte dagens behovs- og profylaktiske behandling med plasmainfusjon hos både barn og voksne pasienter med cTTP.

Nytte av behandlingen:

Studiens primære endepunkt var forskjell i akutte TTP-hendelser under behandling med rADAMTS13 og SOC. Resultatene viser at i løpet av en gjennomsnittlig eksponeringstid på 14 måneder med rADAMTS13-profylakse ble det ikke observert noen akutte TTP-hendelser. I perioden med profylaktisk SOC, med en gjennomsnittlig eksponeringstid på 6 måneder, ble det rapportert én akutt TTP hendelse. På grunn av et lavt antall hendelser mangler studien statistisk styrke og er ikke egnet til å påvise forskjeller mellom behandling med rADAMTS13 og standardbehandling. Antall rapporterte isolerte og subakutte TTP-hendelser (sekundære endepunkter) var generelt lavere, og forekom hos en lavere andel pasienter, under profylaktisk behandling med rADAMTS13 sammenlignet med SOC. I behovskohorten fikk alle pasientene behandling for akutt TTP-hendelse, men kun ett anfall behandlet med rADAMTS13 var innenfor kriteriene for en protokolldefinert akutt TTP-hendelse. Rapportert opphør av denne hendelsen var 3 dager.

Målinger av ADAMTS13-aktivitet i studien indikerer en høyere enzymaktivitet ved bruk av rADAMTS13 sammenlignet med SOC. Gjennomsnittlig ADAMTS13-aktivitet var 101 % av normalnivået ved behandling med rADAMTS13, sammenlignet med 19 % ved SOC. Videre viser resultatene at gjennomsnittlig varighet av ADAMTS13-aktivitet ≥ 10 % var lengre etter behandling med rADAMTS13 enn ved SOC. Den gjennomsnittlige varigheten var 5,2 dager (95 % KI: 4,9–5,5) for rADAMTS13, sammenlignet med 1,7 dager (95 % KI: 1,2–2,2) ved standardbehandling med plasma. Disse funnene indikerer høyere og mer vedvarende enzymaktivitet ved behandling med rADAMTS13.

Samlet sett vurderer DMP at den ene rapporterte akutte TTP-hendelsen ved SOC-behandling i studie 281102, ikke gir tilstrekkelig grunnlag for å vurdere relativ effekt mellom behandlingene. Det er dermed ikke mulig å konkludere med om rADAMTS13 har tilsvarende, bedre eller dårligere effekt enn SOC basert på akutte TTP-hendelser alene. Effekt på subakutte og isolerte TTP-manifestasjoner (sekundære endepunkter) og høyere og lengre varighet av ADAMTS13-aktivitet kan indikere fordeler av rADAMTS13, men det er nødvendig med ytterligere dokumentasjon for å kunne fastslå dette.

Helseøkonomi

Pristilbud, kostnadseffektivitet og budsjettkonsekvenser: Leverandør Takeda har etter prisforhandlinger tilbudt en rabattert pris som er konfidensiell jf. offl. § 13 jf. fvl. § 13, 1. ledd nr. 2. Denne prisen legges til grunn for beregning av behandlingskostnader, kostnadseffektivitet og budsjettkonsekvenser.

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 vurdering

Danmark: Ingen beslutning identifisert.

Skottland (SMC): Ingen beslutning identifisert.

England (NICE/NHS): Under vurdering

Vedlegg

1. Prisnotat fra Sykehusinnkjøp HF

Lenker:

1. [Metodevurderingsrapport](#) fra DMP