

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: 03. september 2025

ID2024_042: Til behandling av voksne med SMA type 2 som ikke kan få behandling intratekalt med nusinersen¹.

Bakgrunn

Vi viser til notat fra DMP av 7.2.2025, som beskriver den voksne SMA populasjonen som er aktuell for behandling med risdiplam, inklusive relevante undergrupper, samt pasientestimat. Vi viser også til metodevurdering av 8.4.2022 for risdiplam til behandling av 5q spinal muskelatrofi (SMA) hos følgende pasienter med én til fire kopier av SMN2: barn med en klinisk dose av type 3b SMA, og voksne med en klinisk diagnose av type 1, type 2 eller type 3 SMA (ID2020_104).

Vi viser til tidligere konseptgodkjenning fra Interregionalt fagdirektørmøte (IRF) og deretter fra Beslutningsforum 12.12.2022 for en alternativ avtaleform for både nusinersen (Spinraza, ID2020_031) og risdiplam (Evrysdi, ID2020_104) til behandling av voksne med spinal muskelatrofi (SMA):

Beslutningsforum gir sin tilslutning til at Sykehusinnkjøp forhandler om en alternativ prisavtale for nusinersen og risdiplam, jf. rammeverk for alternative prisavtaler.

- *Beslutningsforum forutsetter at leverandørene tilbyr en pris som innebærer at det er mulig å oppfylle prioriteringskriteriene.*
- *Beslutningsforum ber Sykehusinnkjøp primært inngå avtaler som omfatter både den finansielle og den resultatbaserte delen. Dersom det kun er mulig å få på plass den finansielle delen, skal dette gjenspeiles i en ytterligere redusert inngangspris.*
- *Før avtaleinngåelse skal det være enighet om hvordan fremtidig pris skal påvirkes.*

Nusinersen (Spinraza) ble innført til behandling av SMA hos voksne pasienter med en alternativ prisavtale 11.4.2023.

¹ Det fremforhandlede resultatet er likevel ikke begrenset til en subgruppe, men gjelder alle voksne som omfattes av godkjent indikasjon: Evrysdi er indisert til behandling av 5q spinal muskelatrofi (SMA) hos pasienter med en klinisk diagnose av type 1, type 2 eller type 3 SMA eller med én til fire kopier av SMN2.



Sykehusinnkjøp gjennomførte forhandlinger for risdiplam (Evrysdi) med Roche i 2022/2023, og fremforhandlet resultat ble lagt fram for Beslutningsforum i 2024. Beslutningsforum fattet 24.04.2023 følgende beslutning for ID2020_104:

1. Risdiplam (Evrysdi) innføres ikke til behandling av 5q spinal muskelatrofi (SMA) hos følgende med én til pasienter fire kopier av SMN2:
 - 1) barn med en klinisk diagnose av type 3b SMA, og
 - 2) voksne med en klinisk diagnose av type 1, type 2 eller type 3 SMA.
2. Det er ikke dokumentert en klinisk nytte som står i forhold til prisen på legemidlet, som er for høy.
3. Sykehusinnkjøp bes gjenoppta forhandlingene med leverandør.

Roche anmodet 21.06.2024 om en ny vurdering av risdiplam til en *begrenset populasjon* (ID2024_042): Voksne ubehandlede pasienter med type 2 SMA som ikke kan få behandling intratekalt med nusinersen (subgruppe). Dette ble i anmodningen estimert til om lag 10 pasienter.

Bestillerforum vurderte 21.10.2024 at *et alternativ til voksne pasienter som ikke lenger kan få, eller som ikke kan starte opp med, intratekal behandling med nusinersen er etterspurt. Dette er en større populasjon enn leverandøren anmoder om. Avgrensningen leverandør ber om vil ikke være dekkende for behovet i klinisk praksis. Det er behov for mer informasjon før det gjennomføres nye prisforhandlinger.*

Bestillerforum ba DMP om å gå i dialog med fagmiljøet og utarbeide et notat som beskriver den voksne populasjonen som er aktuell for behandling med risdiplam, inklusive relevante undergrupper, samt estimere størrelsen på aktuelle pasientpopulasjoner.

Notatet² fra DMP, datert 07.02.2025 oppsummerer: «*De medisinske fagekspertene mener at det eneste rettfærdige er at alle voksne pasienter kan få tilgang til risdiplam på lik linje med nusinersen. Fagekspertene oppgir at det ikke er mulig å definere noen undergrupper av pasienter som både er entydig definerbare og som samtidig lar seg forsvare medisinsk-etisk*».

Basert på innspill fra medisinske fageksperter er det grunn til å tro at 62-65 pasienter kan bli behandlet, dersom risdiplam innføres med samme vilkår som nusinersen til voksne.

Roche har nå, etter fremleggelsen av notatet fra DMP, tatt initiativ til en annen type prisavtale som skal gjelde *alle relevante voksne pasienter med SMA, og ikke kun en subgruppe slik som det opprinnelig var anmodet om*. Avtaleforslaget er en volumbasert avtale - uten en resultatbasert komponent.

Saken ble lagt fram for konseptgodkjenning i IRF 28.04.2025, med konklusjon:

1. Fagdirektørene ba om at Sykehusinnkjøp forhandler om en volumbasert alternativ prisavtale for risdiplam, jf. rammeverk for alternative prisavtaler.
2. Det forutsettes at leverandøren tilbyr en pris som innebærer at det er mulig å oppfylle prioriteringskriteriene. Eksisterende metodevurdering for risdiplam skal legges til grunn for forhandlingene. Den indikerte legemiddelprisen anses som for høy.

2

https://www.nyemetoder.no/491db7/contentassets/05bb2ac501024c65b9c66472e2701756/id2024_042_risdiplam_evrysdi_til-voksenpopu-med-sma-aktuell-for-risdiplan---notat-til-bestillerforum---kun-offentlig-versjon.pdf



3. Det vises til tidligere konseptgodkjenning i 2022: Beslutningsforum ber Sykehusinnkjøp primært inngå avtaler som omfatter både den finansielle og den resultatbaserte delen. Dersom det kun er mulig å få på plass den finansielle delen, skal dette gjenspeiles i en ytterligere redusert inngangspris.
4. Før avtaleinngåelse skal det være enighet om hvordan fremtidig pris skal påvirkes. Denne skal ha samme struktur som ved fremlagt ved konseptgodkjenning i 2022.

Godkjent indikasjon:

Evrysdi er indisert til behandling av 5q spinal muskelatrofi (SMA) hos pasienter med en klinisk diagnose av type 1, type 2 eller type 3 SMA eller med én til fire kopier av SMN2.

Pristilbud

Roche har 26.06.2025, etter forhandling om pris og innhold i en volumbasert avtale, tilbudt følgende pris for Evrysdi som skal ligge til grunn for beslutningen ^ [REDACTED] i den volumbaserte avtalen):

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
570122	Evrysdi Pulver til mikstur, oppløsning 0,75 mg/ ml (80 ml)	105 750,70 NOK	[REDACTED]
497855	Evrysdi Tabletter 5 mg, 28 stk^^	NOK	NOK

^Alternativ avtale gjelder

^^ ID2025_010, egen prosess i Nye metoder

Dette tilsvarer en årskostnad på [REDACTED] med tilbudt RHF-AUP og 3 216 548 NOK med maks AUP. Årskostnadene er beregnet med dosering 5 mg/dag, som er godkjent dosering for pasienter som veier > 20 kg (SPC). Månedskostnaden for Evrysdi er om lag [REDACTED] RHF-AUP.

Pristilbudet er knyttet til en forutsetning om at prisen veksler mellom Trinn 1 og Trinn 2 i løpet av 12 mnd. perioder, [REDACTED]

Det er tidligere gitt inn tilbud for det aktuelle bruksområdet (ID2020_104, voksne):

Prisnotat	Datert	Månedskostnad RHF-AUP inkl. mva.	Årskostnad RHF-AUP inkl. mva.
1	31.03.2023	[REDACTED]	
X (dette)	03.09.2025		

Evrysdi er tidligere innført til behandling av SMA hos barn fra 2 måneder (ID2021_088) og hos barn før fylte 2 måneder (ID2023_089) med følgende pris [REDACTED] i den volumbaserte avtalen):

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
570122	Evrysdi Pulver til mikstur, oppløsning 0,75 mg/ ml (80 ml)	105 750,70 NOK	[REDACTED]



Dagens pris tilsvarer en årskostnad på [redacted] med tilbudt RHF-AUP for pasienter som veier > 20 kg. [redacted]

Kostnadseffektivitet

Kostnad-per-QALY risdiplam vs. støttebehandling (ID2020_104)

På tidspunktet da den opprinnelige metodevurderingen av risdiplam (ID2020_104) ble gjennomført, var ikke nusinersen innført til voksne. Metodevurderingen for ID2020_104 er en kostnad per QALY-analyse som sammenligner risdiplam behandling med støttebehandling (BSC). Legemiddelverket (nå DMP) beregnet den gang at SMA for den aktuelle populasjonen med kun støttebehandling tilgjengelig, hadde et absolutt prognosetap på ca 43 QALY.

I den helseøkonomiske analysen skriver Legemiddelverket at det er stor usikkerhet knyttet til resultatene av den helseøkonomiske analysen blant annet fordi det er kort oppfølgingstid og liten andel voksne pasienter inkludert i studien. I hovedanalysen i metodevurderingen er kostnadseffektiviteten for risdiplam på om lag 12,2 millioner NOK/QALY med maksimalpriser for risdiplam, og det bemerkes i rapporten at denne sannsynligvis er underestimert.

DMP har oppdatert ID2020_104 med det nye pristilbudet:

Pris	Merkostnad per vunnet kvalitetsjusterte leveår (QALY)
Maks AUP uten mva.	12,2 millioner NOK/QALY
Avtalepris mottatt 26.06.2025 uten mva.	[redacted]

Kostnadssammenligning risdiplam vs. nusinersen (ny analyse fra DMP)

Legemiddelverket har tidligere (ID2021_088, metodevurdering hos barn med SMA) vurdert følgende: «Basert på farmakokinetiske data vurderer Legemiddelverket at relativ effekt av risdiplam sammenlignet med nusinersen trolig er lik på tvers av fenotype SMA, alder og vekt, men det er ingen direkte sammenlignende studier av legemidlene som kan understøtte dette».

Nusinersen er i ettertid innført med vilkår for voksne med SMA. Det foreligger ingen separat metodevurdering for nusinersen hos voksne pasienter. Da nusinersen ble innført for voksne, ble det tatt utgangspunkt i metodevurderingen for *risdiplam* (ID2020_104). *Legemiddelkostnadene* for nusinersen (voksne) ved innføring tilsvarer [redacted] første år og [redacted] påfølgende år.

DMP har nå sammenlignet årskostnadene av risdiplam (det nye pristilbudet) med vedlikeholdsdosering av nusinersen (gjeldende RHF-pris for voksne). Administrasjonskostnader for nusinersen er oppdatert ved denne kostnadssammenstillingen relativt til da nusinersen ble innført til voksne SMA-pasienter (ID2020_031). Årlige administrasjonskostnader er økt fra 130 000 til 146 000 NOK, og det er antatt at noen flere av de som *ikke* overnatter, er på sykehuset 2 dager i forbindelse med administrasjon. Reise- og tidskostnader er dessuten inkludert. Totalt er utgifter forbundet med intratekal administrasjon, reise og fritid for nusinersen endret fra 130 000 NOK per år til 154 000 NOK per år.



Totale årskostnader (legemiddel, administrasjon, reise og fritid):

Behandling	RHF-pris legemiddel eks mva	RHF-pris legemiddel inkl mva
Risdiplom		
Legemiddelkostnader, avtalepris mottatt 26.06.2025		
Nusinersen		
Legemiddelkostnader (vedlikeholdsbehandling)		
Administrasjon, reise, fritid	154 000 NOK	154 000 NOK
Totale årskostnader behandling		

Budsjettkonsekvenser

DMP har beregnet budsjettvirkning av å innføre risdiplom utfra at nusinersen nå er innført.

Fra DMP sitt notat, samt fra innspill til anmodning for ID2025_010 (Evrysdi tablettformulering) fremkommer følgende pasientfordeling pr. februar 2025:

	Barn	Voksne
Diagnostisert med SMA		83
Behandles med nusinersen	15	54
Behandles med risdiplom	41	14*
Uten behandling for SMA		15

*oppstart behandling <18 år.

Dersom risdiplom blir besluttet innført for alle voksne pasienter med en klinisk diagnose av type 1, type 2 eller type 3 SMA, antar kliniske eksperter at 62-65 av de voksne pasientene vil velge slik behandling.

De totale budsjettvirkningene er estimert til omtrent [redacted] i det femte budsjettåret, basert på tilbudt RHF-pris inkludert mva. Budsjettberegningene er usikre og forenklete, og vil være avhengig av antall pasienter som ender opp med å motta behandlingen. De økte budsjettvirkningen skyldes, utover økte legemiddelkostnader, i hovedsak at det antas at flere voksne pasienter enn de som per i dag mottar nusinersen, vil behandles dersom også risdiplom innføres.

Alternativ prisavtale

Bakgrunn

Roche har bedt om, og begrunnet, hvorfor det i dette tilfellet er nødvendig med en alternativ prisavtale. [redacted]

Den foreslåtte avtalen er en volumbasert avtale, der det tilbys to ulike priser. [redacted]

[redacted] for de neste pakningene som selges i løpet av en 12 mnd. periode.

Konseptgodkjenning



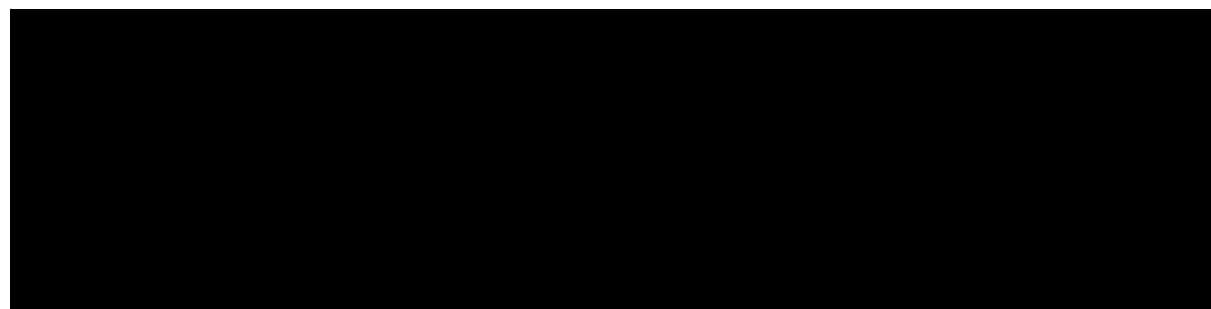
Avtalen omfattes av «enkle» avtaler, og Sykehusinnkjøp fremla saken for Interregionalt fagdirektørmøte 28.4.2025. Referat er gjengitt innledningsvis i prisnotatet.

Utforming av foreslått avtale

Avtalevarighet er foreslått til 5 år. Etter 5 år vil prisen i Trinn 1 og Trinn 2 erstattes av 1- en ny, varig pris (for alle pasienter) [REDACTED]

[REDACTED] Se forklaring i neste avsnitt.

Pakninger av mikstur og (kommende) pakninger av tabletter inngår i beregningsgrunnlaget for når volumterskelen (målt i mg) oppnås og prisendring iverksettes.



X representerer det nødvendige antall milligram (mg) for å behandle det avtalte antall pasienter.

Det er enighet mellom leverandør og Sykehusinnkjøp om avtaleteksten, som vil inngå som et bilag til rammeavtale ved en eventuell positiv beslutning i Beslutningsforum.

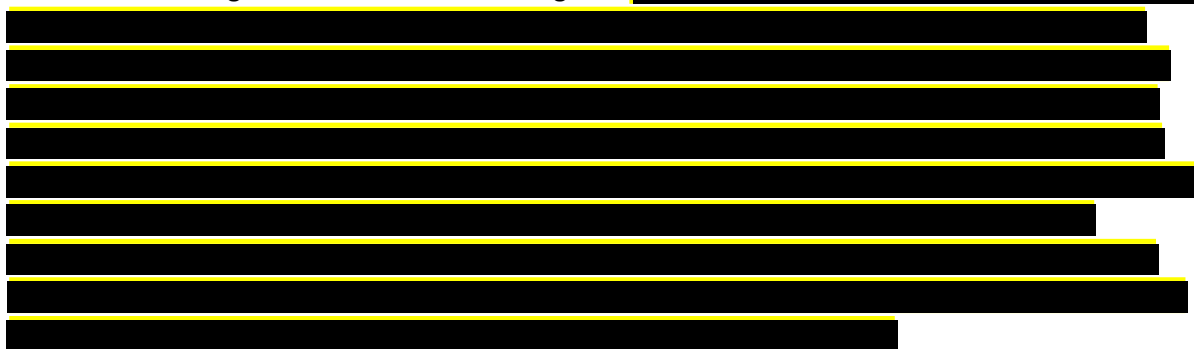
Sykehusinnkjøp HF sin vurdering av fremforhandlet resultat

Leverandøren ønsket ikke å gå videre med en resultatbasert avtale slik det ble forhandlet om i 2023, men har kommet med forslag om en volumbasert avtale [REDACTED] hver 12. mnd periode for et gitt antall pakninger, mens resterende salg skal være til prisen [REDACTED] pasienter med SMA.

Avtalekonseptet

Sykehusinnkjøp vurderer at avtalekonseptet (volumavtale) kan være egnet i saken. Når det gjelder selve avtaleforslaget som leverandøren har presentert, mener Sykehusinnkjøp at deler av forslaget er akseptabelt og gjennomførbart.

En hovedutfordring med leverandørens forslag er at [REDACTED]





Det er imidlertid forhold i den konkrete markeds- og konkurransesituasjonen, som ikke har vært tilstrekkelig kjent under forhandlingene, som utfordrer avtalekonseptet slik det er foreslått.

EMA publiserer jevnlig lister over MT-søknader som er under evaluering. Evalueringen av onasemnogene abeparvovec (OAV101), genterapi til behandling av SMA, startet 22.05.2025. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/medicines-human-use-under-evaluation#monthly-lists-2025-72895>. Legemiddelet er oppført på «[List of ongoing joint clinical assessments](#)» for de legemidlene som skal gjennomgå felles europeisk metodevurdering under HTA forordningen. [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Roche er forespurt om hvordan en eventuell innføring av onasemnogene abeparvovec til [REDACTED] vil kunne påvirke bruken av risdiplam i samme populasjon. Leverandøren fremholder:

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Sykehusinnkjøp har sondert med fagmiljøet [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Overgang fra topprisavtale til ordinær pris

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]



Sykehusinnkjøp vurderer at

Prisnivå

Med tilbudt pris

I kostnadssammenligningen vs. risdiplam, når oppdaterte administrasjonskostnader, samt reise- og tidskostnader er inkludert for nusinersen, er totalkostnadene knyttet til behandling med risdiplam

Vilkår for oppstart av behandling

Det ble knyttet vilkår til innføring av nusinersen til voksne. Disse er delt inn i «Grunnforutsetninger for oppstart» og «Start/stopp-kriterier» ved behandling av voksne med SMA.

Det foreliggende avtaleforslaget (volumbasert prisavtale for risdiplam) inneholder i seg selv ingen spesifikke krav om oppfølging ved hjelp av motoriske skåringsverktøy.

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom risdiplam blir besluttet innført til aktuell indikasjon på møte i Beslutningsforum 22.09.2025, kan behandlingen tas i bruk 01.11.2025.

Informasjon om refusjon av risdiplam (Evrysdi) i andre land

Sverige 01.02.2025³: Evrysdi (risdiplam), för behandling av spinal muskelatrofi, ingår i högkostnadsskyddet med begränsning. Begränsningen innebär att läkemedlet endast subventioneras för behandling av spinal muskelatrofi hos patienter med SMA typ 1, typ 2 eller typ 3.

Danmark⁴: Medicinrådet har den 28. august 2024 godkendt en lægemiddelrekommandation og behandlingsvejledning for spinal muskelatrofi, som afløser den tidligere anbefaling for risdiplam. Medicinrådet anbefaler nu risdiplam til alle patienter efter faste start- og stopkriterier.

Skottland (SMC) 07.02.2022⁵: risdiplam (Evrysdi®) is accepted for use within NHSScotland. Indication under review: for the treatment of 5q spinal muscular atrophy (SMA) in patients 2 months of age and older, with a clinical diagnosis of SMA type 1, type 2 or type 3 or with one to four SMN2 [survival of motor neuron 2] copies.

³ <https://www.tlv.se/beslut/beslut-lakemedel/begransad-subvention/arkiv/2025-01-24-evrysdi-ingar-i-hogkostnadsskyddet-med-begransning.html?query=risdiplam>

⁴ <https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/r/risdiplam-evrysdi-spinal-muskelatrofi>

⁵ <https://scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/risdiplam-evrysdi-full-smc2401/>



England (NICE/NHS) 16.12.2021⁶: Risdiplam is recommended as an option for treating 5q spinal muscular atrophy (SMA) in people of all ages with a clinical diagnosis of SMA types 1, 2 or 3 or with pre-symptomatic SMA and 1 to 4 SMN2 copies. It is recommended only if the conditions of the managed access agreement are followed.

Oppsummering

Det foreligger et forslag om en volumbasert prisavtale for risdiplam til behandling av voksne med SMA, og et oppdatert pristilbud. DMP har beregnet kostnadseffektiviteten på nytt i hht. opprinnelig metodevurdering for risdiplam til voksne (ID2020_104, risdiplam vs støttebehandling). DMP har også utført en kostnadssammenligning mot nusinersen med oppdaterte kostnader, samt beregnet budsjettkonsekvenser ved evt. innføring. DMP har ikke utredet særskilt forhold knyttet til at konsekvenser for personell skal veie tyngre enn tidligere når man tar stilling til ny teknologi (ref. den nye prioriteringsmeldingen).

Dersom risdiplam blir besluttet innført til aktuell indikasjon på møte i Beslutningsforum 22.09.2025, kan behandlingen tas i bruk 01.11.2025.

Anne Marthe Ringerud
Fagsjef

Christina Kvalheim
Fagrådgiver

⁶ <https://www.nice.org.uk/guidance/ta755/chapter/1-Recommendations>



Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra Legemiddelverket	10.02.2025	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	13.02.2025	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	26.06.2025	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	03.09.2025	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	205 dager hvorav 86 dager i påvente av prisopplysninger og avklaringer fra legemiddelfirma. Dette innebærer en reell saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp på 119 dager, hvorav 22 dager i forbindelse med konseptgodkjenning i IRF.	