

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:** 22. oktober 2025

ID2022_075: Etranakogendezaparvovek (Hemgenix) til behandling av alvorlig og moderat alvorlig hemofili B (medfødt faktor IX-mangel) hos voksne pasienter uten faktor IX-hemmere i historikken

Bakgrunn

Det vises til metodevurderingsrapport fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) datert 23.04.2025 - oppdatert okt. 2025 samt godkjent SPC for Hemgenix.

DMP har vurdert prioriteringskriteriene alvorlighet, nytte og ressursbruk, samt usikkerhet i dokumentasjonen og budsjettkonsekvenser. Behandling med etranakogendezaparvovek (ED) sammenlignes mot fullskala profylakse med rekombinant faktor IX. DMP vurderer at det ikke er grunnlag for å anta at behandling med genterapien ED vil gi bedre blødningskontroll enn komparator og har derfor utført en kostnadssammenligning/terskelanalyse.

Hemgenix har fått en betinget MT, hvor CSL Behring har forpliktet seg ovenfor EMA til å levere studiedata med lengre oppfølgingstid for å bekrefte effekt og sikkerhet av ED.¹

Godkjent indikasjon:

Hemgenix er indisert til behandling av alvorlig og moderat alvorlig hemofili B (medfødt faktor IX mangel) hos voksne pasienter uten faktor IX-hemmere i historikken.

ED er en genterapi, som innfører en kopi av DNA-sekvensen som koder for human faktor IX i pasientens leverceller for å behandle den grunnleggende årsaken til hemofili B. DMP vurderer at det ikke finnes grunnlag for å anta at behandling med ED vil gi bedre blødningskontroll og livskvalitet enn dagens standardbehandling. DMP vurderer likevel at behandling med ED er et godt behandlingsalternativ, hvor målet vil være å erstatte jevnlig infusjoner med FIX i en periode. DMP skriver at foreløpig vet man lite om hvor lenge man kan unngå jevnlig FIXinfusjoner, dvs. hvor lenge

¹ [Hengene; INN-etranacogene dezaparvovec](#)



effekten av ED varer, men DMP mener at det er god grunn til å anta at nytten av ED generelt vil være langvarig (flere år).

Det har blitt besluttet i det Interregionale fagdirektørmøtet (28 april 2025) at behandling med ED skal foregå ved Oslo universitetssykehus, forutsatt at behandlingen blir besluttet innført av Beslutningsforum for Nye metoder. Behandlingstilbudet vil kunne utvides på et senere tidspunkt, ved at ytterligere helseforetak inngår leveranseavtale for bruk av ED.

Pristilbud

CSL Behring har 02.07.2025 etter prisforhandling tilbudt følgende priser:

Varenummer	Pakning	Maks-AUP inkl. mva.	RHF-AUP inkl. mva.
557865	Hemgenix, konsentrat til infusjonsvæske. Hetteglass 10 ml, antall basert på pasientens vekt	43 028 738 NOK	

ED (Hemgenix) er en engangsbehandling, og hele kostnaden i tabellen over tilkommer når infusjonen blir administrert til pasientene. Behandlingen for den enkelte pasienten bestilles direkte fra produsenten. Det totale antallet hetteglass i hver pakning tilsvarer den nødvendige dosen til hver individuell pasient, basert på pasientens kroppsvekt.

Kostnadseffektivitet

DMP har utført en terskelanalyse som viser hvor lenge effekten av ED må vedvare for at behandlingen kan antas å være kostnadsnøytral med dagens standardbehandling av hemofili B bestående av jevnlig intravenøse infusjoner med rekombinant faktor IX med forlenget halveringstid. Terskelanalysen tar utgangspunkt i kumulative, diskonterte legemiddelkostnader for komparator.

DMP beregner at gjennomsnittlig behandlingskostnad per år med rekombinant faktor IX med forlenget halveringstid er [REDACTED] med RHF-AUP med mva. Med tilbudt RHF-AUP kan ED anses som kostnadsnøytral dersom effekten varer i om lag [REDACTED]. Dersom effektvarigheten er kortere enn [REDACTED] vil behandling med ED være mer kostbar enn dagens behandling, og dersom effektvarigheten er lengre vil behandlingen være kostnadsbesparende.

Effektvarigheten av ED er usikker. Det beskrives i metodevurderingsrapporten av DMP at effekten av ED på gruppenivå trolig vil være langvarig, men at det ikke er mulig å kvantifisere dette nærmere, da oppfølgingsdata er begrenset til 48 og 60 måneder for henholdsvis pivotalstudien og støttestudien. Det beskrives videre at fagekspertene vurderer at foreliggende data for ED per i dag viser en stabil effekt, og at det samlet er grunn til å anta at man kan se en gjennomsnittlig effektvarighet (tid til re-start profylakse) som varer 10-12 år eller lengre for ED. Fagekspertene påpeker imidlertid at det ikke er mulig å predikere hvor langvarig effekten vil være ettersom mye er usikkert og man ikke har data med lengre oppfølgingstid.

Medisinske fagekspertene som DMP har konsultert med beskriver at norske hemofilipasienter har en livskvalitet og blødningskontroll som er svært god med dagens profylakse, og at man ikke forventer at denne endres for pasienter som får genterapi istedenfor profylakse.

Budsjettkonsekvenser

DMP har beregnet følgende budsjettkonsekvenser for spesialisthelsetjenestens legemiddelbudsjett.



DMP har lagt til grunn at det innledningsvis vil behandles 5-10 pasienter med Hemgenix, og at etter dette vil det være aktuelt med 1 eller 2 nye pasienter per år. I beregningene er det benyttet 7,5 pasienter første året, og 1,5 pasienter årene etterpå. Beregningene som presenteres under viser budsjettkonsekvens for år 1 ved innføring av Hemgenix.

Pris	Budsjettkonsekvenser
Maks AUP inkl. mva.	265 593 782 NOK
Avtalepris mottatt har 02.07.2025 inkl. mva.	

Under presenteres DMPs budsjettanalyser for år 1 til år 5, oppdatert med avtalepris på komparator og tilbudt pris for Hemgenix.

Korresponderer med Tabell 17 i metodevurderingsrapporten - Forventet budsjettvirkning på spesialisthelsetjenestens legemiddelbudsjett av Hemgenix til behandling av aktuelle pasienter med moderat til alvorlig hemofili B (Udiskontert, NOK, RHF-AUP inkl. mva.).

	År 1	År 2	År 3	År 4	År 5
Intervensjon					
Komparator					
Budsjettvirkning av anbefaling					

Avtaleverk for gen- og celleterapi

Det har blitt besluttet i det Interregionale fagdirektørmøtet (28 april 2025) at behandling med ED skal foregå ved Oslo universitetssykehus, forutsatt at behandlingen blir besluttet innført av Beslutningsforum for Nye metoder. Behandlingstilbudet vil kunne utvides på et senere tidspunkt, ved at ytterligere helseforetak inngår leveranseavtale for bruk av ED.

Sykehusinnkjøp har fremforhandlet en Rammeavtale for gen- og celleterapi om leveranse av ED, og det aktuelle helseforetaket som skal administrere behandlingen har gjennomgått leverandørs dokumentasjon knyttet til IKT-sikkerhet og personvern, og funnet dette akseptabelt.

Før behandlingen kan tas i bruk ved norske sykehus, må det dessuten foreligge enighet mellom leverandør, sykehus og sykehusapotek om innholdet i leveranseavtale om gen- og celleterapi. Fagdirektørene har besluttet at disse avtalene som hovedregel skal være ferdigforhandlet innen 3 måneder etter beslutning om innføring

Betydning for fremtidig anskaffelse

Dersom ED (Hemgenix) blir besluttet innført av Beslutningsforum 17.11.2025 kan ny pris på legemidlet gjelde fra 01.01.2026.. Faktisk oppstartstidspunkt for behandlingen vil avhenge av at leveranseavtalen er ferdigforhandlet, og at nødvendige forberedelser for å ta i bruk legemidlet.

Informasjon om refusjon av ED (Hemgenix) i andre land

Sverige: Anbefaling om ikke innføring (25.04.2025)²

² [Hemgenix \(etranakogen-dezaparvovek\) vid hemofili B](#)



«Rekommendationen i det här fallet är att inte använda Hemgenix eftersom det inte bedöms kostnadseffektivt.»

Danmark: Anbefaling om innføring (19.06.2024) med en alternativ prisavtale (payment-by-result)³

«Medicinrådet **anbefaler** Hemgenix (etranacogene dezaparvovec) til voksne patienter med blødersygdommen hæmofili B (medfødt faktor IX-mangel) i svær og moderat svær grad.

(...)

Virksomheden har tilbudt en alternativ prisavtale, hvor der kun betales for de patienter, som fortsat har effekt. Med den aftale vurderer Medicinrådet, at omkostningerne til Hemgenix er rimelige.»

Skottland (SMC): Interim acceptance (12.08.2024)⁴. Midlertidig innføring med avtale om revurdering når det foreligger mer data.

“Etranacogene dezaparvovec is accepted for use subject to ongoing evaluation and reassessment once further evidence is available.”

England (NICE/NHS): Innført med en alternativ avtale (24.07.2024).⁵ Innføring med avtale om revurdering når det foreligger mer data.

“Etranacogene dezaparvovec is recommended with [managed access](#) as an option for treating moderately severe or severe haemophilia B (congenital factor IX [FIX] deficiency) in adults without anti-FIX antibodies. It is only recommended if the conditions in the [managed access agreement](#) for etranacogene dezaparvovec are followed.”

Oppsummering

Etranakogendezaparvovek (ED) er en genterapi til behandling av alvorlig og moderat alvorlig hemofili B (medfødt faktor IX-mangel) hos voksne pasienter uten faktor IX-hemmere i historikken. Målet med genterapi-behandlingen er å erstatte jevnlig infusjoner med rekombinant faktor IX (FIX) som profylaktisk behandling i en periode.

Med tilbudt RHF-AUP kan ED anses som kostnadsnøytral dersom effekten av ED varer i [redacted] før pasienten må gjenoppta behandling med FIX. Dersom effektvarigheten er kortere enn [redacted] vil behandling med ED være mer kostbar enn dagens behandling, og dersom effektvarigheten er lengre vil behandlingen være kostnadsbesparende.

Dersom ED (Hemgenix) blir besluttet innført av Beslutningsforum 17.11.2025 kan ny pris på legemidlet gjelde fra 01.01.2026. Faktisk oppstartstidspunkt for behandlingen vil avhenge av at leveranseavtalen er ferdigforhandlet, og at nødvendige forberedelser for å ta i bruk legemidlet.

Anne Marthe Ringerud
Fagsjef

Hana Mikami Salyga
Fagrådgiver

³ [Etranacogene dezaparvovec \(Hemgenix\) - Hæmofili B](#)

⁴ [etranacogene dezaparvovec \(brand name: Hemgenix®\)](#)

⁵ <https://www.nice.org.uk/guidance/ta989/chapter/1-Recommendation>



Prosess		
Sykehusinnkjøp mottatt underlag til forhandlingene fra DMP	05.05.2025* *Oppdatert rapport mottatt 22.10.2025	
Henvendelse til leverandør om prisopplysninger	n.a.	
Fullstendige prisopplysninger fra leverandør mottatt hos Sykehusinnkjøp HF	02.07.2025	
Forhandlinger om rammeavtale for gen- og celleterapi fullført	15.10.2025	
Prisnotat ferdigstilt av Sykehusinnkjøp HF	22.10.2025	
Saksbehandlingstid hos Sykehusinnkjøp HF	170 dager hvorav 58 dager i påvente av prisopplysninger fra legemiddelfirma, og ytterlige 105 dager til forhandling om rammeavtale.	