



7. februar 2018

Til: Bestillerforum RHF/Beslutningsforum

ID_nr: 2017_001 «Nusinersen (Spinraza) – til behandling av spinal muskelatrofi (SMA)»

Ny LIS-pris for Nusinersen (Spinraza):

Legemiddelverket har mottatt et nytt tilbud fra Biogen, overlevert via Sykehusinnkjøp (LIS) den 5.februar 2018. Vilkår for avtalen er følgende:

Rabattene gir følgende pakningspriser:

LIS-AUP	LIS-AUP u/mva

Dette tilsvarer en flat rabatt på

Legemiddelverket har beregnet en ny kostnad/effekt-brøk (IKER):

- For type I blir IKER . Beregningen utelater kostnader til behandlings-, pleie og omsorgskostnader.
- For type II blir IKER

Flere sentrale forutsetninger for beregningene er svært usikre, jf. Metodevurdering av nusinersen. Dette er fordi modellen som er benyttet ikke fullt reflekterer verdien av behandlingen for pasienter med SMA. Dette gjelder særlig modellene for type II og type III.

Legemiddelverket har benyttet ny informasjon i beregningen av IKER (Se vedlegg 1 for beregninger). Det har ikke vært mulig å legge inn ny informasjon i modellen for type III. Følgende ny informasjon er lagt inn i beregningene:

- I. System for igangsetting og avslutting av behandling: etablering av ny nasjonal faggruppe for vurdering av effekt på klinisk nivå, og definerte start- og stoppkriterier.
- II. QALY-vekt basert på pasienter med ALS sykdom, tilsvarende som metodevurdering av TLV i Sverige
- III. Presentere resultat med og uten behandlings-, pleie og omsorgskostnader i vunne leveår, jf. notat til Beslutningsforum.

Budsjettberegninger

I samarbeid med kliniker Magnhild Rasmussen anslår Legemiddelverket at det er om lag 40 pasienter med SMA som kan få behandling med nusinersen, i tillegg til de 10 pasientene som allerede får. Dette er 5 flere pasienter i Norge enn tidligere anslått. Ny budsjettberegning blir derfor noe høyere i år 1 enn tidligere anslag. I år 2 er imidlertid budsjettkonsekvensene lavere enn tidligere anslag, grunnet innføring av stoppkriterier, se vedlegg 1.

Brutto budsjettvirkning	
År 1	År 2

Anslag på budsjettvirkningene over er brutto virkning av innføring. Per i dag får 10 pasienter Spinraza til full pris, hvilket innebærer i underkant av 30 millioner kroner per år

Statens legemiddelverk, 06/02 - 2018

Kristin Svanqvist

Enhetsleder

Einar Andreassen

Saksbehandler

Vedlegg 1

Forklaringer på ny beregning av IKER og budsjettvirkning

Beregning av IKER

Legemiddelverket har inkludert følgende ny informasjon i beregningen av IKER:

- I. System for igangsetting og avslutning av behandling etter definerte start- og stoppkriterier
- II. Benytte ALS QALY-vekter, tilsvarende som metodevurdering av Tandvård och Läkemedelsförmånsverket (TLV) i Sverige
- III. Presentere resultat med og uten behandlings-, pleie og omsorgskostnader i vunne leveår, jf. notat til Beslutningsforum.

Disse er beskrevet nærmere under:

- i) System for igangsetting og avslutning av behandling etter definerte start- og stoppkriterier

Sykehusinnkjøp HF (LIS) har initiert et samarbeid med klinikere for etablering av start- og stoppkriteriene. Klinikene har etablert en nasjonal faggruppe som skal vurdere pasientenes effekt på klinisk nivå og om effekten av behandling er i tråd med de etablerte start- og stoppkriteriene. Ved en ev. ja-beslutning innebærer avtalen at disse kriteriene vil være med å bestemme bruken av Spinraza på klinisk nivå, jf. notat fra Sykehusinnkjøp HF og klinikene.

I beregningene av kostnad per QALY ved tidligere tilbud inngår ikke disse stoppreglene. Klinikene anslår at om lag 30% av pasientene vil avslutte behandling etter i overkant av 1 år ved de nye stoppkriteriene.

Legemiddelverket har derfor beregnet ny kostnad per QALY, gitt disse stoppkriteriene. Dette innebærer at pasienter der effekten uteblir eller avtar, vil klinikene stoppe behandlingen. Modellen som Biogen har utarbeidet til metodevurderingen åpner for å sette inn slike stoppregler.

Stoppkriterier får store konsekvenser i beregningen av kostnad per QALY. Bakgrunnen for dette er at den tidligere modelleringen tok høyde for at pasienter der effekten avtok og helsetilstanden ble vesentlig lavere, likevel fikk behandling. Ved å ekskludere disse legemiddelkostnadene til pasienter der effekten avtar, vil de totale kostnadene bli lavere. Dette påvirker imidlertid ikke den totale nytten som er beregnet i modellen. Resultatet blir en lavere IKER.

- ii) Benytte ALS QALY-vekter, tilsvarende som metodevurdering av TLV i Sverige

I møte med Biogen tirsdag 30.1.18 kom det frem at TLV i Sverige hadde diskutert grundig med Biogen de ulike QALY-vektene som Biogen hadde lagt til grunn i modellen. TLV kom da frem til at det var hensiktsmessig å benytte QALY-vekter for ALS. Biogen overbrakte ikke denne informasjonen til Legemiddelverket under vår metodevurdering.

Det er flere forutsetninger i målemetodene som gjør det svært utfordrende å måle livskvalitet hos små barn, som for eksempel at de ikke svarer på skjema selv og at dimensjoner og verditariffer

ikke er tilrettelagt for barn. Derfor er QALY-vektene benyttet i modellen beheftet med mye usikkerhet.

TLV vurderte at ALS og SMA har noenlunde sammenfallende sykdomsforløp og livskvalitet tilknyttet de ulike tilstandene. På denne måten unngår de problemene med å måle livskvalitet hos barn. Dette ble støttet av klinikere Legemiddelverket har vært i kontakt med. Vi mener derfor det kan være rimelig å benytte ALS-vekt, tilsvarende QALY-vektene benyttet av TLV¹.

iii) Beregne med og uten behandlings-, pleie og omsorgskostnader i vunne leveår

[REDACTED] se tabell under.

Pasienter med SMA type I har forventet økt levetid, men siden denne levetiden er forbundet med høye behandlings-, pleie og omsorgskostnader vil vi presentere IKER-beregningen i to scenarier, med og uten kostnader til behandling, pleie og omsorg. SMA type II har ikke forventet økt levetid. Det kan derfor argumenteres for at inklusjon av behandlings-, pleie og omsorgskostnader ikke gir samme utilsiktede fordelingsmessige konsekvenser for SMA type II.

Legemiddelverkets analyse med endringene i-iii(merkostnad per vunnet QALY, avrundet),				
	Type I	Type I (uten behandlings-, pleie og omsorgskostnader)	Type II	Type II (uten behandlings-, pleie og omsorgskostnader)
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Legemiddelverket vurderer at inkludering av behandlings-, pleie og omsorgskostnader kan ha utilsiktede fordelingsmessige konsekvenser for pasienter med SMA type I. Dette er fordi disse pasientene får en økt forventet levetid forbundet med høye behandlings-, pleie- og omsorgskostnader, jf. diskusjon under punkt iii).

Budsjettvirkninger

Klinikere Legemiddelverket har vært i kontakt med antar at om lag 30% av pasientene vil avslutte behandling grunnet nytt system for vurdering av klinisk effekt hos pasientene, ved etablering av nasjonal faggruppe, og start- og stoppkriterier.

I budsjettberegningene har vi tatt følgende antakelser:

- 6 nye tilfeller av SMA diagnostiseres pr. år, jf anslag fra klinikere.
- Ved ja-beslutning vil alle pasienter få rabattert pris,
- [REDACTED]

¹ I tillegg har TLV benyttet en QALY-vekt basert på et sykdomsspesifikt måleinstrument. Livskvaliteten målt med denne metoden ble svært høy (f.eks tilsvarende QALY-vekt ved atrieflimmer). Legemiddelverket vurderer at de høye QALY-vektene ikke er plausible gitt tilstanden barn med SMA har.

- Ved ja-beslutning vil start- og stoppkriterier gjelde. Om lag 30% av pasientene vil avslutte behandling, jf effektstudier og stoppkriterier. Dette omfatter også de som allerede har påbegynt behandling fra år 1.