

## Beslutningsgrundlag til Medicinrådet

Dette dokument er Amgros' vurdering af tisagenlecleucel (Kymriah) som mulig standardbehandling af børn og unge op til 25 år med B-celle akut lymfatisk leukæmi (ALL), som er refraktære, i relaps efter stamcelletransplantation eller i andet eller senere relaps. Vurderingen er baseret på en vurdering af lægemidlets meromkostninger (baseret på Amgros' aftalepriser) sammenholdt med Medicinrådets vurdering af den kliniske merværdi.

Dato for Medicinrådsbeslutning	30-01-2019
Firma	Novartis Healthcare A/S (ansøger)
Lægemiddel	Tisagenlecleucel (Kymriah)
Indikation	Behandling af børn og unge op til 25 år med B-celle akut lymfatisk leukæmi (ALL), som er refraktære, i relaps efter stamcelletransplantation eller i andet eller senere relaps.

### Amgros' vurdering

- Amgros vurderer, at der **ikke** er et rimeligt forhold mellem meromkostningerne og den kliniske merværdi for tisagenlecleucel (Kymriah) ved behandling af børn og unge op til 25 år med B-celle akut lymfatisk leukæmi (ALL), som er refraktære, i relaps efter stamcelletransplantation eller i andet eller senere relaps.

### Overordnet konklusion

Medicinrådet har vurderet, tisagenlecleucel (Kymriah) giver **Stor klinisk merværdi** sammenlignet med den nuværende standardbehandling af børn og unge op til 25 år med B-celle akut lymfatisk leukæmi (ALL), som er refraktære, i relaps efter stamcelletransplantation eller i andet eller senere relaps.

Behandling med tisagenlecleucel (Kymriah) er forbundet med meget høje meromkostninger sammenlignet med den nuværende standardbehandling til behandling af børn og unge op til 25 år med B-celle akut lymfatisk leukæmi (ALL), som er refraktære, i relaps efter stamcelletransplantation eller i andet eller senere relaps.

Meromkostningerne drives primært af prisen på tisagenlecleucel (Kymriah).

Med den nuværende aftalepris på tisagenlecleucel (Kymriah) vurderer Amgros, at meromkostningerne **ikke** er rimelige sammenlignet med den kliniske værdi, som lægemidlet tilbyder.

Amgros har indgået en aftale med ansøger om indkøb af tisagenlecleucel (Kymriah) til en aftalepris, som er lavere end AIP. Konklusionen er baseret på aftaleprisen for tisagenlecleucel (Kymriah).

## Konklusion for populationen

Tabel 1 Merværdi, meromkostninger og Amgros' vurdering (baseret på aftalepriser)

Population	Komparator	Merværdi	Usikkerhed for klinisk merværdi	Amgros' konklusion om forholdet mellem meromkostninger og merværdi
Behandling af børn og unge op til 25 år med B-celle akut lymfatisk leukæmi (ALL), som er refraktære, i relaps efter stamcelletransplantation eller i andet eller senere relaps.	Bedste nuværende standardbehandling	Stor klinisk merværdi	Meget lav evidenskvalitet	Ikke acceptabelt

## Supplerende informationer (resumé af resultaterne fra afrapporteringen)

### Konklusion på omkostnings- og budgetkonsekvensanalyserne

Amgros' afrapportering af omkostnings- og budgetkonsekvensanalyser er baseret på AIP for tisagenlecleucel (Kymriah). Foretages analyserne på baggrund af SAIP og ikke på baggrund af AIP reduceres de inkrementelle omkostninger, men meromkostningerne er stadig meget høje. Resultatet fra Amgros' afrapportering på omkostningsanalyserne er gengivet i det følgende. For uddybende gennemgang af analyse og resultater henvises til afrapporteringen på <http://www.amgros.dk>.

### Amgros' afrapportering - Inkrementelle omkostninger per patient (AIP)

Behandling med tisagenlecleucel (Kymriah) er forbundet med meget høje meromkostninger sammenlignet med den bedste nuværende standardbehandling.

I tabel 2 illustreres de estimerede meromkostninger ved behandling med tisagenlecleucel (Kymriah) sammenlignet med bedste nuværende behandling.

Tabel 2 Estimerede gennemsnitlige meromkostninger per patient, DKK, AIP

Intervention	Komparator	Inkrementelle omkostninger
Tisagenlecleucel (Kymriah)	Bedste nuværende standardbehandling	2,4 mio. DKK

### *Amgros' afrapportering – Budgetkonsekvenser (AIP)*

Amgros vurderer at anbefaling af tisagenlecleucel (Kymriah) som mulig standardbehandling vil resultere i budgetkonsekvenser ca. 7 mio. DKK per år ved 3 patienter.

### **Kontrakt- og markedsforhold**

I forbindelse med denne ansøgning har Amgros og ansøger udarbejdet en alternativ prisaftale gældende fra december 2018 til december 2020 med mulighed for forlængelse. Derudover har Amgros og ansøger også arbejdet med en anden alternativ prisaftale som vil ændre prisen fra den nuværende AIP-pris.