

## Beslutningsgrundlag til Medicinrådet

Dette dokument er Amgros' indstilling til Medicinrådet om vurdering af Holoclar til mulig standardbehandling af voksne patienter med moderat til alvorlig limbal stamcellemangel forårsaget af fysiske eller kemiske okulære forbrændinger. Indstillingen er baseret på en vurdering af lægemidlets meromkostninger sammenholdt med den kliniske merværdi.

Dato for Medicinrådsbeslutning	10-10-2018
Firma	Chiesi Farmaceutici S.p.A.
Lægemiddel	Holoclar
Indikation	Holoclar er indiceret til behandling af voksne patienter med moderat til alvorlig limbal stamcellemangel forårsaget af fysiske eller kemiske okulære forbrændinger

### Amgros' indstilling

- Det indstilles, at Holoclar **anbefales** som mulig standardbehandling til:
  - Patienter uden funktionelt syn på begge øjne, hvoraf det ene øje har en overfladisk læsion (P1)
  - Patienter uden funktionelt syn på begge øjne, hvoraf det ene øje har en dyb stromal læsion (P2)
- Det indstilles at Holoclar **ikke anbefales** som mulig standardbehandling til:
  - Patienter uden funktionelt syn på ét øje pga. overfladisk læsion (P3)
  - Patienter uden funktionelt syn på ét øje pga. dyb stromal læsion (P4)

### Overordnet konklusion

Medicinrådet har vurderet, at behandling med Holoclar til voksne patienter med moderat til alvorlig limbal stamcellemangel forårsaget af fysiske eller kemiske okulære forbrændinger og manglende funktionelt syn på begge øjne har en **stor klinisk merværdi** sammenlignet med SOC. Behandling med Holoclar er forbundet med meromkostninger sammenlignet med SOC. Amgros vurderer at meromkostningerne er acceptable sammenlignet med en stor klinisk merværdi.

For patienter med funktionelt syn på et øje har Medicinrådet vurderet har en **ikkedokumenterbar klinisk merværdi**. Amgros vurderer at meromkostningerne **ikke** er acceptable sammenlignet med en ikkedokumenterbar klinisk merværdi.

Amgros har indgået en aftale med Chiesi Farmaceutici S.p.A. om indkøb af Holoclar til en aftalepris, som er lavere end AIP. Konklusionen er baseret på aftaleprisen for Holoclar.

Tabel 1: Merværdi, meromkostninger og Amgros' anbefaling

Intervention	Komparator	Patienter	Merværdi	Usikkerhed for klinisk merværdi	Amgros' konklusion om forhold mellem omkostninger og klinisk merværdi	Anbefaling som mulig standardbehandling
Holoclar	SOC	P1 & P2	Stor klinisk merværdi	Lav evidenskvalitet	Acceptabelt	Ja
Holoclar	SOC	P3 & P4	Ikke dokumenterbar	Meget lav evidenskvalitet	Ikke acceptabelt	Nej

## Supplerende informationer (resumé af resultaterne fra afrapporteringen)

### Konklusion på omkostnings- og budgetkonsekvensanalyserne

Den forhandlede aftalepris på Holoclar påvirker nedenstående resultater i høj grad. Foretages analyserne på baggrund af aftalepriser og ikke på AIP, er forskellen på behandlingsomkostningerne betydeligt mindre, end de er i de analyser, der er præsenteret nedenfor. De vigtigste resultater fra afrapporteringen på omkostningsanalyserne er gengivet i det følgende. For uddybende gennemgang af analyse og resultater henvises til afrapporteringen.

### Inkrementelle omkostninger per patient

Behandling med Holoclar er forbundet med betydelige meromkostninger sammenlignet med behandling med SOC.

Tabel 1: Estimerede inkrementelle omkostninger pr. patient, AIP

Intervention	Komparator	Inkrementelle omkostninger, pr patient.
Holoclar	SOC	753.222 kr.
Holoclar + hornhindetransplantation	SOC	788.990 kr.

### Budgetkonsekvenser

Ansøger estimerer antallet af patienter, som kvalificerer til behandling med Holoclar pr. år med udgangspunkt i beskrivelse af antallet af patienter i bilag 1 i Medicinrådets vurdering af den kliniske merværdi for Holoclar. I alt estimeres at ca. 52 patienter potentielt kan tilbydes behandling med Holoclar år 1 og 6 patienter år 2. Ansøger har indsendt en følsomhedsanalyse for budgetkonsekvenserne ved behandling med Holoclar til patienter uden funktionelt syn på begge øjne, tilsvarende P1-2. Dette medfører en ændring i antallet af patienter, tilsvarende én patient pr. år.

Amgros vurderer budgetkonsekvenserne for at behandle med Holoclar, inklusiv hornhindetransplantation, til at være 0,75 mio. kr. år 1, mellem 0,76 – 4,5 mio. kr. år 2 og mellem 0,76 – 4,6 mio. kr. år 3, sammenlignet med SOC. Tallene afspejler Chiesi Farmaceutici S.p.A. maximale leverancekapacitet på 5 årlige behandlinger.

Hvis alle patienter behandles år 1, vil budgetkonsekvenserne for at behandle med Holoclar være 6.4 mio. kr. for P1 og P3 (uden hornhindetransplantation) og 34.3 mio. kr. for P2 og P4 (inklusiv hornhindetransplantation) sammenlignet med SOC.

### **Kontraktforhold**

Amgros har indgået en rammeaftale med Chiesi Farmaceutici S.p.A. om en rabat på Holoclar. Aftalen gælder indtil 31.12.2019 med mulighed for forlængelse.