

Beslutningsgrundlag til Medicinrådet

Dette dokument er Amgros' vurdering af voretigene neparvovec (Luxturna) som mulig standardbehandling til patienter med synstab som følge af nedarvet retinal dystrofi, der skyldes bekræftede biallele RPE65-mutationer, og som har et tilstrækkeligt antal levedygtige retinaceller. Vurderingen er baseret på lægemidlets gennemsnitlige inkrementelle omkostninger (baseret på SAIP) sammenholdt med Medicinrådets vurdering af den kliniske merværdi.

Dato for Medicinrådsbeslutning	25-09-2019
Firma	Novartis Healthcare A/S (ansøger)
Lægemiddel	Voretigene neparvovec (Luxturna)
Indikation	Luxturna er indiceret til behandling af voksne og pædiatriske patienter med synstab som følge af nedarvet retinal dystrofi, der skyldes bekræftede biallele RPE65-mutationer, og som har et tilstrækkeligt antal levedygtige retinaceller.

Amgros' vurdering

- Amgros vurderer at der **ikke** er et rimeligt forhold mellem meromkostningerne og den kliniske merværdi for voretigene neparvovec (Luxturna) som mulig standardbehandling til patienter med synstab som følge af nedarvet retinal dystrofi, der skyldes bekræftede biallele RPE65-mutationer, og som har et tilstrækkeligt antal levedygtige retinaceller.

Overordnet konklusion

Medicinrådet har vurderet, at voretigene neparvovec (Luxturna) sammenlignet med ingen aktiv behandling giver **vigtig klinisk merværdi**.

Behandling med voretigene neparvovec (Luxturna) er forbundet med ekstremt høje meromkostninger sammenlignet med ingen aktiv behandling til nævnte indikation. Amgros vurderer, at der **ikke** er rimeligt forhold mellem den kliniske merværdi for voretigene neparvovec sammenlignet med komparator Meromkostninger drives næsten udelukkende af prisen på voretigene neparvovec (Luxturna).

Andre overvejelser

Amgros har indgået en aftale med Novartis om at indkøbe lægemidlet til en pris lavere end AIP. Aftalen er gældende fra 25-09-2019. Analysens konklusion er baseret på aftaleprisen.

I overensstemmelse med Amgros metodevejledning for nye lægemidler og indikationsudvidelser inkluderer den økonomiske analyse ikke tabt arbejdsfortjeneste, da denne type omkostninger ligger uden for et begrænset samfundsperspektiv. Allerede ved Medicinrådet etablering blev det besluttet af Danske Regioners bestyrelse, at der ikke skulle være forskelsbehandling af personer i arbejde og uden for arbejdsmarkedet. Dette er i overensstemmelse med Folketingets 7 principper, hvorfor tabt arbejdsfortjeneste ikke må indgå i de økonomiske analyser.

Analysen inkluderer udelukkende lægemiddelomkostninger, administrationsomkostninger og monitoreringsomkostninger, som beskrevet i Amgros afrapportering for voretigene neparvovec (Luxturna). Dermed kan omkostningerne til både intervention og komparator potentielt være underestimeret. Det har ikke været muligt hverken for virksomheden eller Amgros, at kvalificere yderligere omkostninger til f.eks. hjælpemidler, assistance og tilpasning af hjem/skole i forbindelse med synstab. Varigheden af den afledte effekt ved anvendelse af voretigene neparvovec (Luxturna) er usikker, mens det samtidig er usikkert, hvor stor en forbedring af synet voretigene neparvovec (Luxturna) medfører. Dette vanskeliggør en kvalificering af de yderligere omkostninger for både patienter, der modtager behandling med voretigene neparvovec (Luxturna) og for de patienter, som ikke modtager behandling.

Der vil være engangsomkostninger i forbindelse med opstart af behandlingen ved ibrugtagning af voretigene neparvovec (Luxturna). Disse omkostninger er ikke inkluderet i analysen da de vurderes at være af ubetydelig størrelse set i forhold til lægemiddelomkostning.

Konklusion for populationen

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

Population	Komparator	Merværdi	Usikkerhed for klinisk merværdi	Amgros' konklusion om forholdet mellem meromkostninger og merværdi
Voksne og pædiatriske patienter med synstab som følge af nedarvet retinal dystrofi, der skyldes bekræftede biallele RPE65-mutationer, og som har et tilstrækkeligt antal levedygtige retinaceller	Voretigene neparvovec (Luxturna)	Vigtig klinisk merværdi	Meget lav evidens kvalitet	Ikke rimeligt

Supplerende informationer (resumé af resultaterne fra afrapporteringen)

Konklusion på omkostnings- og budgetkonsekvensanalyserne

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

Behandling med voretigene neparovec (Luxturna) er forbundet med ekstremt høje meromkostninger sammenlignet med behandling med komparator. I tabel 2 ses de inkrementelle omkostninger for voretigene neparovec (Luxturna).

Amgros' hovedanalyse resulterer i gennemsnitlige meromkostninger per patient for voretigene neparovec (Luxturna) sammenlignet med ingen aktiv behandling på [REDACTED].

Tabel 2: Resultat af Amgros hovedanalyse for voretigene neparovec (Luxturna) sammenlignet med ingen aktiv behandling, DKK, SAIP

Omkostningselement	Voretigene neparovec (Luxturna)	Ingen aktiv behandling	Inkrementelle omkostninger
Lægemiddelomkostninger	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Hospitalsomkostninger	70.450	0	70.450
Omkostninger til bivirkninger	1.645	0	1.645
Totale omkostninger	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Hvis analysen udføres på baggrund af AIP, bliver de inkrementelle omkostninger per patient for voretigene neparovec (Luxturna) sammenlignet med ingen aktiv behandling ca. 5.223.000 DKK.

Lægemiddelomkostningerne for voretigene neparovec (Luxturna) er 5.151.000 DKK i AIP.

Amgros' afrapportering – Budgetkonsekvenser

Amgros vurderer, at anbefaling af voretigene neparovec (Luxturna) som mulig standardbehandling, vil resultere i budgetkonsekvenser på [REDACTED] første år, [REDACTED] andet og tredje år og [REDACTED] fjerde år. Fra år fem og fremefter vil budgetkonsekvenserne være [REDACTED] hvert andet år.

Hvis analysen udføres med AIP bliver budgetkonsekvenserne ca. 21 mio. DKK første år, ca. 42 mio. DKK andet og tredje år og 10 mio. DKK fjerde år. Fra år fem og fremefter estimeres budgetkonsekvenserne at være ca. 5 mio. DKK hvert andet år.