



Helseøkonomiske utfordringer med nye genterapier

Regulatorisk høstmøte 23.11.17

Einar Andreassen, Seniorrådgiver

Innhold

Prioritering og legemidler –
ny legemiddelforskrift

Særskilt små
pasientgrupper med svært
alvorlig tilstand

Helseøkonomiske
utfordringer med
genterapier





Bilde fra: sweetprocess.com

Markedsførings-
tillatelse



Beslutning om
finansiering

Forskjeller MT og verdivurdering

Markedsførings- tillatelse

Nytte/risiko-vurdering

Holder å vise at det er
effekt

Verdivurdering

Vurdering av relativ
effekt (størrelsen)

Kvantifisere størrelsen
på effekt og over tid

Hva er verdien av behandlingen?

Kan prisen
rettferdiggjøres?

Tre prioriterings-
kriterier

- Nytte for pasienten
- Ressursbruk
- Alvorlighetsgrad

Måler vi som:

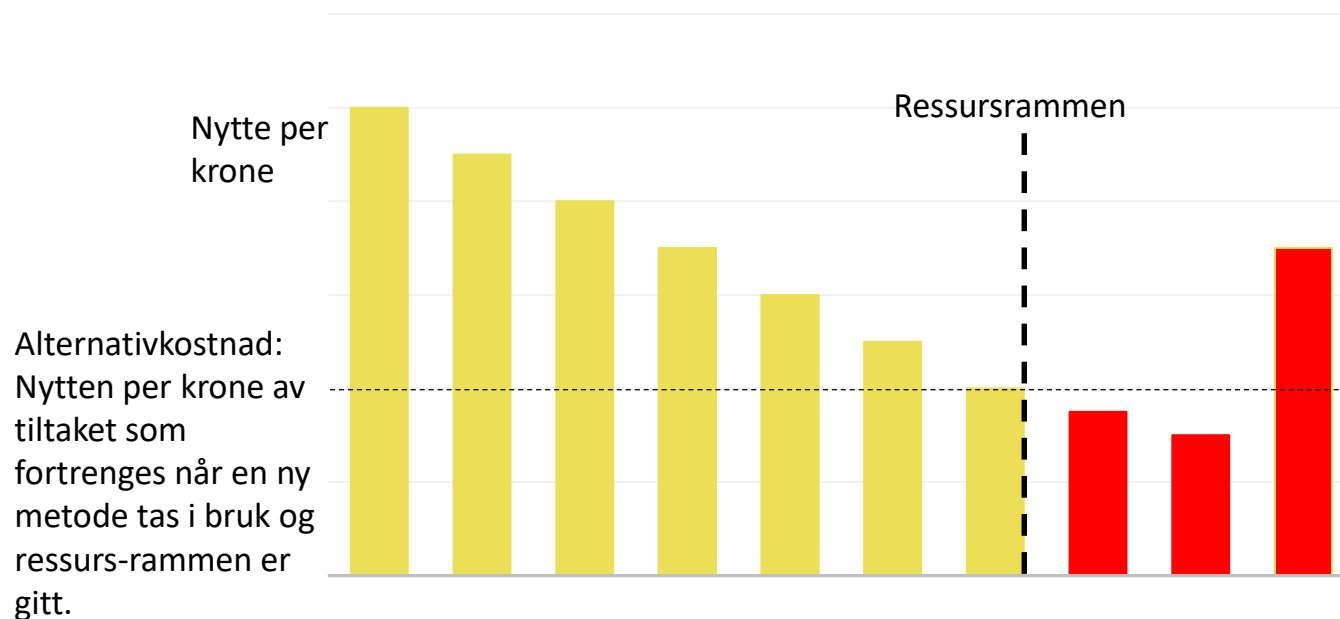
1) Kostnads-
effektivitetsratio

-> Kostnad/QALY

2) Absolutt
prognosetap

Nye metoder må sammenlignes med nytten vi alternativt kunne ha fått

- Metoder som er i bruk i helsetjenesten
- Nye metoder



Alternativkostnad – implikasjoner

- Alternativkostnad: Nytte pr krone
- Kan også måles som krone pr nytte, dvs Kostnad/QALY
- Prio-meldingen: 275 000 kr / QALY



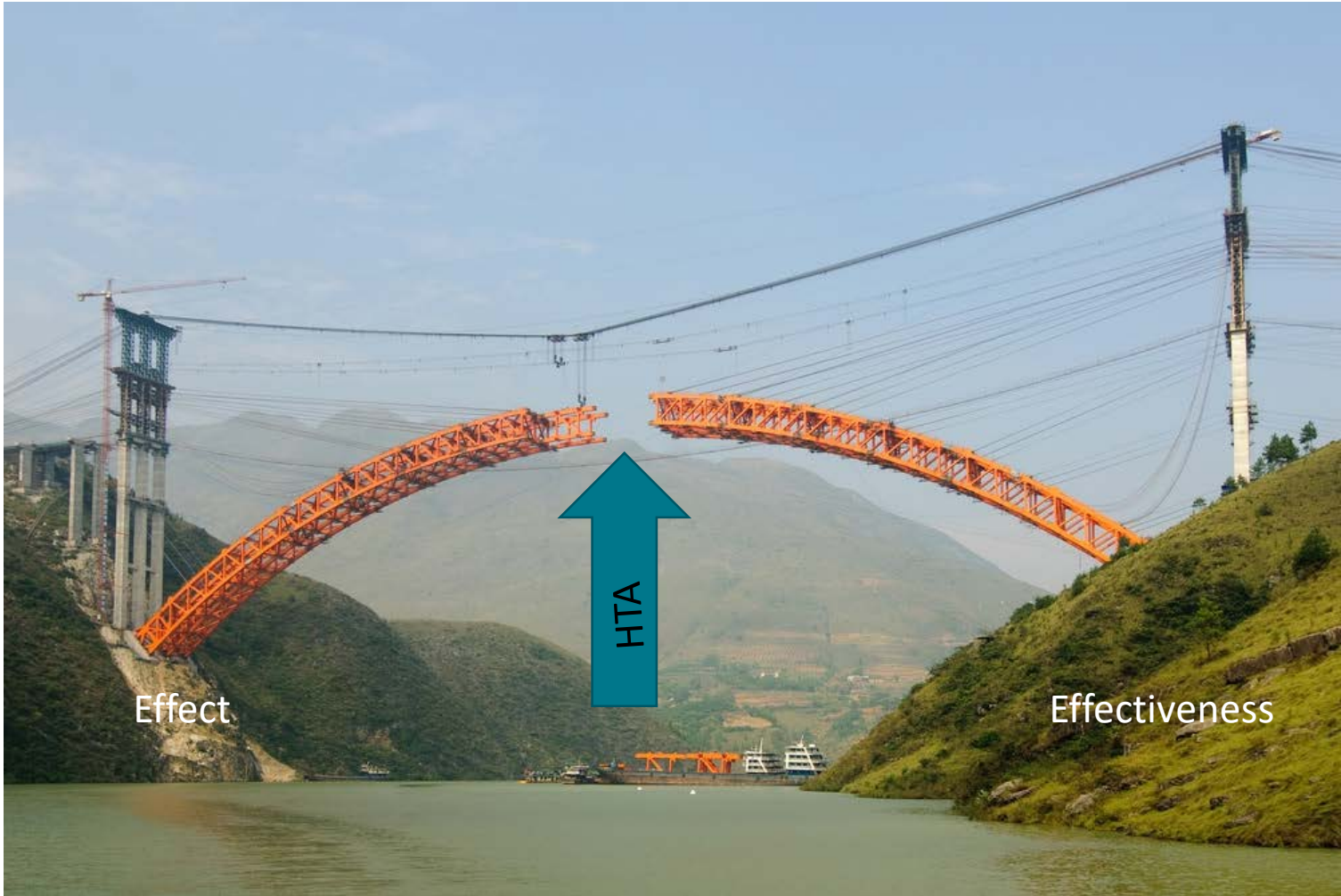
Eksempel:

Nytt tiltak: 1 375 000 kr /QALY

5 ganger så som alternativkostnaden

For hver QALY som vinnes med det nye tiltaket, tapes 5 QALYs pga tiltak som fortrenses

Netto tap av helse



Effect

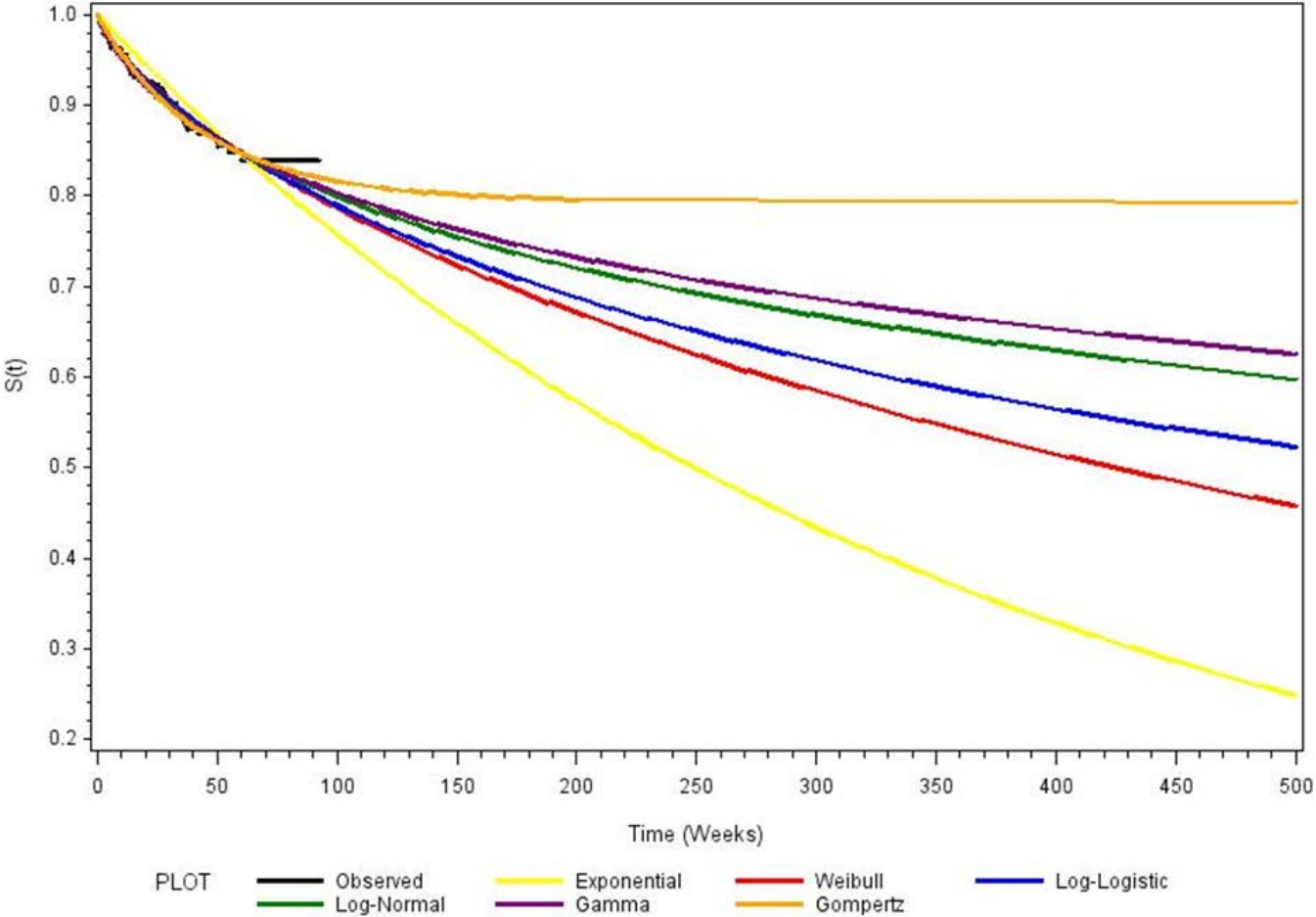


Effectiveness

Utfordringer i verdivurderingen

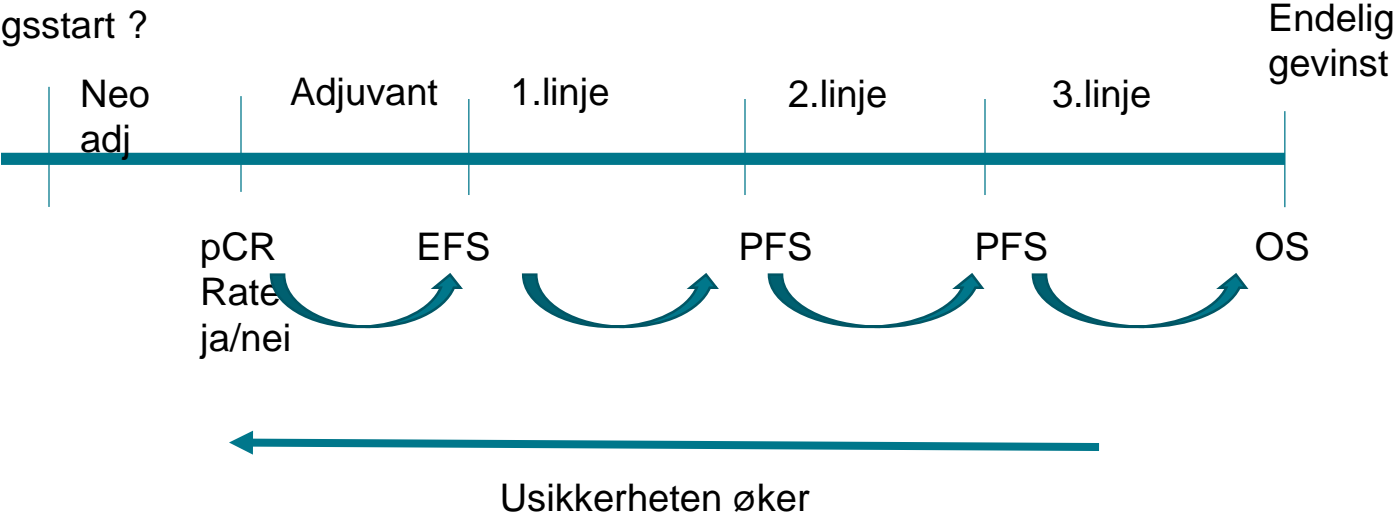
- Umodne data
- Surrogatendepunkter
- Små studier/små populasjoner

Umodne data - Extrapolation of overall survival for Darzalex



Pertuzumab – neo adjuvant - surrogatendepunkter

Ønske om
behandlingsstart ?



Små pasientpopulasjoner - Enarmede studier

- Ser en økende bruk av enarmede studier - orphan drugs
 - Har sett mer av dette i sjeldne tilstander /sjeldne kreftformer
 - Begrunnes med at det er vanskelig å rekruttere nok pasienter
- Godtar ofte dette i påvente av mer data kommer – conditional approval innvilges
- Utfordringen kommer i verdivurderingen når dataene ikke er tilstrekkelig robuste og prisen er høy...



Legemiddelforskrift 1.1.18

1) Alle legemidler skal metodevurderes

2) Ressurbruken skal stå i et rimelig forhold til nytten, hensyntatt alvorligheten.

3) særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand der forventet nytte av legemidlet er stor: akseptere høyere ressursbruk.
Ressursbruken må likevel stå i et akseptabelt forhold til nytten

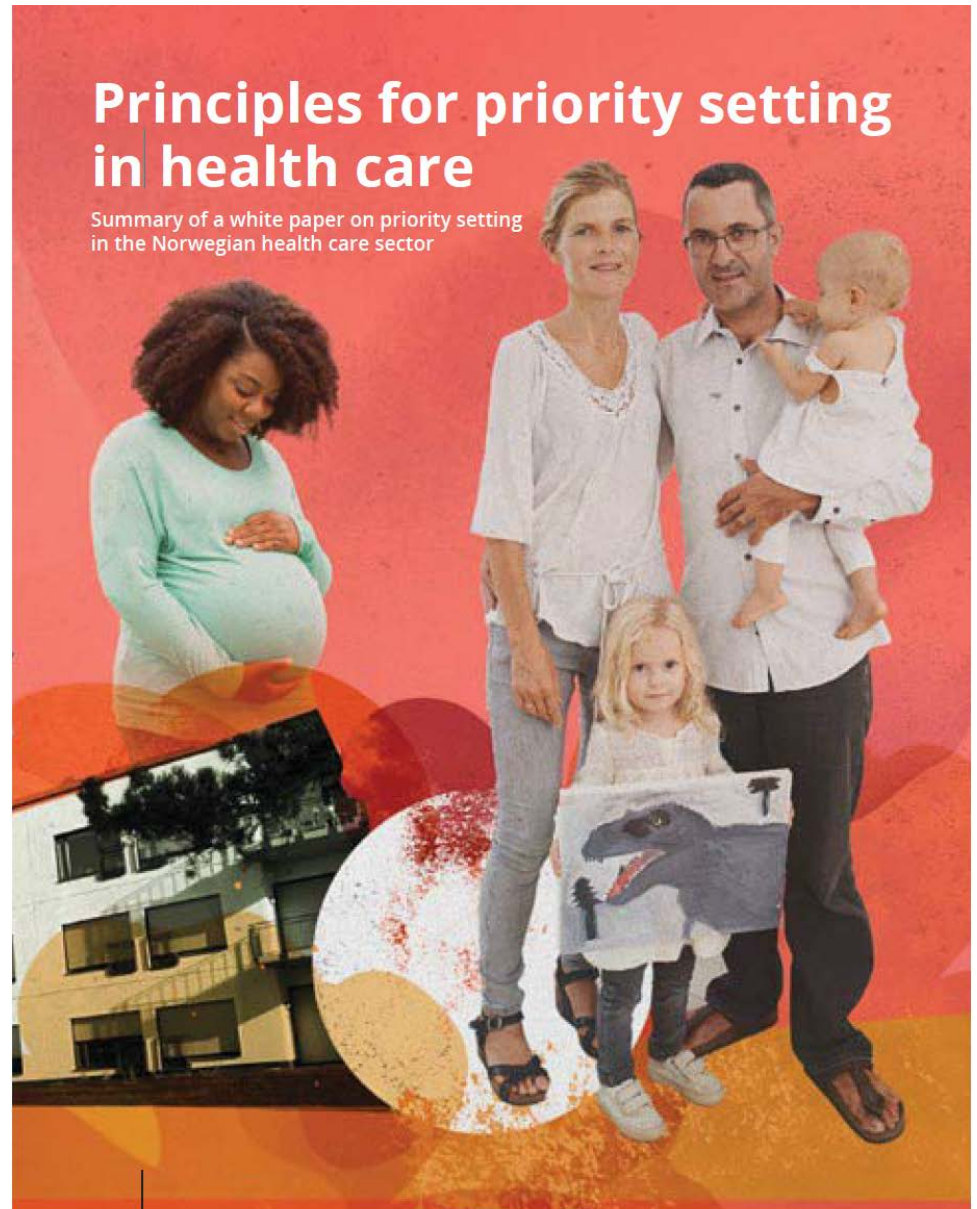
- Like kriterier for finansiering uavhengig av hvem i det offentlige som betaler
- Finansieringsansvaret følger behandlingsansvaret

Innhold

Prioritering og legemidler –
ny legemiddelforskrift

Særskilt små
pasientgrupper med svært
alvorlig tilstand

Helseøkonomiske
utfordringer med
genterapier



Prioriteringsmeldingen

- Særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand kan vi akseptere høyere ressursbruk og lavere krav til dokumentasjon
 - Industrien kan ha svakere insentiver – færre å dele utviklingskostnaden på.
 - Industrien kan ha vanskeligere å fremskaffe dokumentasjon

Sjeldenhet er ikke et prioriteringskriterium

«ordningen avgrenses til det som faktisk kan sies å være særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand».

Veiledende kriterier for å kvalifisere til ordningen – høringsnotat til forskriften

Særskilt liten pasientgruppe

Svært alvorlig tilstand

Stor forventet nytte

Prevalens på verdensbasis 1/100 000 eller 50 personer i Norge

Minimum 30 tapte QALYs

Minimum 2 QALYs nytte av behandling



Innhold

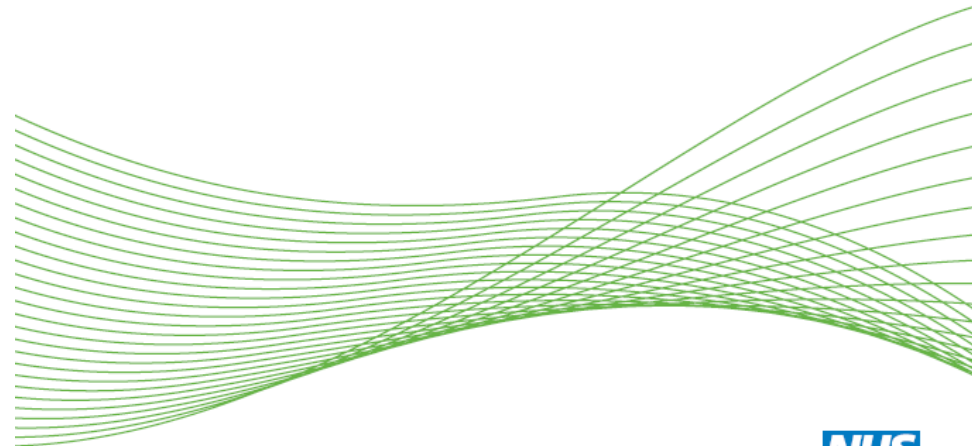
Prioritering og legemidler –
ny legemiddelforskrift

Særskilt små
pasientgrupper med svært
alvorlig tilstand

Helseøkonomiske
utfordringer med
genterapier

The assessment and appraisal of regenerative
medicines and cell therapy products:
an exploration of methods for review,
economic evaluation and appraisal

*Robert Hettle, Mark Corbett, Sebastian Hinde, Robert Hodgson,
Julie Jones-Diette, Nerys Woolacott and Stephen Palmer*



Helseøkonomiske utfordringer

- Umodne data
- Surrogatendepunkter
- Små populasjoner – endarmede studier

Abstract

scope of existing methods used to conceptualise decision uncertainty. Regarding the clinical evidence for regenerative medicines, the issues were those associated with a limited evidence base but were not unique to regenerative medicines: small non-randomised studies, high variation in response and the intervention subject to continuing development. The relative treatment effects generated from single-arm trials are likely to be optimistic unless it is certain that the historical data have accurately estimated the efficacy of the control agent. Pivotal trials may use surrogate end points, which, on average, overestimate treatment effects. To reduce overall uncertainty, multivariate meta-analysis of all available data should be considered. Incorporating indirectly relevant but more reliable (more mature) data into the analysis can also be considered; such data may become available as a result of the evolving regulatory pathways being developed by the European Medicines Agency. For the exemplar case of CAR T-cell therapy, target product profiles (TPPs) were

Konklusjon: ...although there were a number of evidential challenges, none was unique to regenerative medicines or was beyond the scope of existing methods used to conceptualise decision uncertainty.

Tidlig råd (collaborative advice)

- Godt etablert å søke råd for den regulatoriske prosess
- Råd om krav i HTA –prosess
- Kombinasjon av råd om MT og HTA kan føre til
 - Raskere tilgang til nye og effektive legemidler
 - De riktige studiene utføres
 - Endepunkt som gir ønsket verdi og nytte sett fra både
 - Pasientperspektiv
 - Regulatorisk perspektiv
 - HTA perspektiv
 - Betalerperspektiv

Følg oss



@legemiddelinfo



legemiddelverket

legemiddelverket.no



Statens
legemiddelverk