

**Nye metoder: Innspill til metoder (forslag/metodevarsler/oppdrag)**

Alle har anledning til å komme med tilleggsopplysninger til en metode som er foreslått for nasjonal metodevurdering. Det er ønskelig at innspill kommer inn så tidlig som mulig i prosessen, fortrinnsvis før behandling i Bestillerforum RHF.

Bruk dette skjemaet for å gi innspill til forslag, metodevarsler og oppdrag. På nyemetoder.no vil nye forslag/metodevarsler ha statusen «Forslag mottatt/åpent for innspill» før behandling i Bestillerforum RHF. Utfylt skjema sendes [nyemetoder@helse-sorost.no](mailto:nyemetoder@helse-sorost.no).

**NB: Punkt 1-3 og 11 fylles ut av alle.** Punkt 4-9 fylles ut avhengig av rolle og kjennskap til metoden.

**Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):**

Har du informasjon du mener ikke kan offentliggjøres, ta kontakt med sekretariatet før innsending.

**Jeg har fylt ut punkt 11 nedenfor «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):**

<b>1.Hvilken metode gjelder innspillet?</b>	
Metodens ID nummer*:	ID2023_016
Metodens tittel:	Behandling av barn og voksne med alvorlige manifestasjoner av PIK3CA-relatert overvekstsyndrom

\*ID-nummer finner du på metodesiden på nyemetoder.no og har formen ID2020\_XXX

<b>2. Opplysninger om den som gir innspill</b>	
Navn	Reidun Selmer
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Novartis Norge
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	Reidun.selmer@novartis.com

<b>3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)</b>
<p>Legemiddelverket (SLV) har foreslått en hurtig metodevurdering (CUA) for alpelisib til behandling av PIK3CA-relatert overvekstsyndrom (PROS). Dette er ikke i tråd med Novartis' innspill i forbindelse med utarbeidelse av Metodevarsel og vi ønsker derfor å gi ytterligere innspill for å sikkerstille at Bestillerforum gjør en hensiktsmessig bestilling.</p> <p>PROS er en svært sjelden og alvorlig tilstand der det finnes få gode behandlingsmuligheter i dag. Det er uvisst hvor mange pasienter som vil være behandlingstrengende i Norge, men for noen få pasienter vil dette være en viktig behandling. Den pågående EPIK-P2 studien med alpelisib går bl.a i Norge (Rikshospitalet) og inkluderer 6 pasienter, noe som demonstrerer at det er et udekket medisinsk behov.</p>

Novartis vil tilstrebe å gjøre alpelisib til behandling av alvorlige/livstruende manifestasjoner av PROS tilgjengelig i Norge. Det er imidlertid viktig for oss å gjøre Bestillerforum oppmerksom på at vi ikke vil kunne levere en ordinær helseøkonomisk modell, slik SLV ber om, med de data som ligger til grunn for søknad om markedsføringstillatelse (MT). Det vil dermed være behov for et alternativt beslutningsgrunnlag for å muliggjøre tilgang for norske pasienter. Søknad om MT baseres på en retrospektiv observasjonsstudie med 59 pasienter, uten kontrollarm (EPIK-P1). Det vil senere komme noe mer data fra den bekreftende fase II-studien EPIK-P2, men fra vår erfaring med hva SLV kan akseptere av dokumentasjon, vil datagrunnlaget fra denne studien være for mangelfullt til å kunne danne grunnlag for en robust helseøkonomisk analyse. Videre vil det på bakgrunn av syndromets natur, være utfordrende å definere klinisk relevante helsestadier.

Novartis ser behov for en dialog med SLV og SHI om hvilket beslutningsgrunnlag som kan være tilstrekkelig for å muliggjøre tilgang i Norge. Ettersom MTen sannsynligvis vil bli en «conditional approval» grunnet begrensede data vil en midlertidig innføring kunne være aktuelt. Vi foreslår at det bestilles en medisinsk oppsummering og en budsjettkonsekvensanalyse for å belyse nytte og kostnader og danne grunnlag for en midlertidig innføring. Forventet budsjettkonsekvens vil være lav. Det er svært få pasienter i Norge og Novartis ønsker å tilby en pris som muliggjør tilgang. Det er også vist en betydelig reduksjon i antall operasjoner/kirurgi ved behandling med alpelisib hos pasienter med alvorlig/livstruende PROS, noe som vil gi besparelser på sykehusbudsjettet. Videre vil man kunne se en rask eller langsom respons av behandlingen (avhengig av lokasjon) og det forventes at lege vil avslutte behandling dersom denne ikke er effektiv eller pasienten ikke tolererer behandlingen.

Novartis ber Bestillerforum ta våre innspill i betraktning slik at man unngår unødvendige runder i etterkant, og ikke minst kan redusere tid til tilgang for pasienter med alvorlig/livstruende manifestasjoner av PROS.

**Nærmere informasjon om metoden og innspill til PICO\***

\*PICO er et verktøy for å formulere presise problemstillinger i metodevurderingsarbeid. PICO er en forkortelse for Population/Problem – Intervention – Comparison – Outcome. PICO brukes til å presisere hvilken populasjon/problem som skal studeres, hvilke(t) tiltak (metode/behandling) som skal vurderes, hvilket tiltak-det er naturlig å sammenligne med, og hvilke utfall/endepunkter det å er relevant å måle/vurdere. PICO er viktig for planlegging og gjennomføring av en metodevurdering.

**4. Kjenner du til om metoden er i bruk i Norge i dag?**

Er metoden i bruk utenom kliniske studier i dag: alpelisib er til bruk under produktnavnet Piqray innen brystkreft (annen dosering og annet produktnavn).  
 Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk: juni 2022.  
 Hvor er eventuelt metoden i bruk: Flere sykehus

**5. Hvilken pasientgruppe i den norske spesialisthelsetjenesten er metoden aktuell for? (PICO)**

Beskriv kortfattet:

**6. Er du kjent med behandlingsalternativer til denne metoden og hvordan disse fungerer for pasientgruppen i dag? (PICQ)**

Beskriv kortfattet:

**7. Har du innspill til hva som vil være viktig for pasienter som er aktuelle for behandling med metoden? (PICQ)**

Hva kan oppfattes som en fordel for pasienter og brukere med denne metoden sammenlignet med aktuelle alternativer? Hvilke endepunkter/resultater av behandlingen er det aktuelt å måle? Beskriv kortfattet:

Dagens behandling er veldig begrenset og behandler kun symptomer som oppstår som følge av overvekstsyndromet. Alpelisib behandler den underliggende årsaken til overvekt og forventes dermed å redusere fortsatt overvekt og behov for operasjoner. Dette vil kunne bedre livskvaliteten betraktelig for mange av pasientene, hvor en stor andel er barn.

**8. Spesielt for medisinsk utstyr (besvares av leverandør): CE-merking**

Foreligger det CE-merking for bruksområdet som beskrives i metoden? I så fall angi type og tidspunkt:

**9. Spesielt for legemidler (besvares av leverandør): Markedsføringstillatelse (MT)**

Har legemiddelet MT for indikasjonen som omfattes av metoden? Angi i så fall tidspunkt eller ventet tidspunkt for MT:

**10. Andre kommentarer**

Novartis håper Bestillerforum tar våre kommentarer i betraktning og ser verdien av å sammen finne alternative løsninger for å muliggjøre tilgang i Norge.

**11. Interesser og eventuelle interessekonflikter**

Beskriv dine relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Beskriv kortfattet:

Ansatt i Novartis Norge