

# Forslag om nasjonal metodevurdering

## Viktig informasjon – se på dette først og husk å krysse av!

- Innsendte forslag til nasjonale metodevurderinger vil bli publisert i sin helhet. Har du informasjon du mener ikke kan offentliggjøres, ta kontakt med sekretariatet før innsending. **Forslagsstiller er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (kryss av):**
- Forslagsstiller har fylt ut punkt 18 nedenfor: «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):
- Dette skjemaet brukes for å sende inn forslag om metodevurdering på nasjonalt nivå i Nye metoder. Skjemaet gjelder ikke forslag om forskningsprosjekter. En metodevurdering er en type kunnskapsoppsummering, og for at en slik skal kunne utføres, behøves dokumentasjon eksempelvis fra gjennomførte kliniske studier. Manglende dokumentasjonsgrunnlag kan være en av årsakene til at Bestillerforum RHF ikke gir oppdrag om en metodevurdering.
- Hvis forslaget gjelder et medisinsk utstyr, er forlagsstiller kjent med dokumentet [Veiledende kriterier for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder](#) (link) (kryss av):

## Opplysninger om forlagsstiller

|                                       |                               |
|---------------------------------------|-------------------------------|
| Navn/kontaktperson                    | Kjetil Boye                   |
| Eventuell organisasjon/arbeidsplass   | Oslo universitetssykehus      |
| Kontaktinformasjon (e-post / telefon) | kjetil.boy@ous-hf.no/97625032 |
| Dato for innsending av forslag        | 29.01.2025                    |

## Opplysninger om metoden som foreslås

1. Forslagstillers tittel på forslaget:\*

\*Denne kan endres under den videre behandlingen i systemet for Nye metoder:

Dokсорubicin og trabektedin ved leiomyosarkom

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Kombinasjonsbehandling med dokсорubicin og trabektedin for pasienter med metastatisk eller lokalavansert, ikke-operabelt leiomyosarkom som ikke har fått systemisk tumorrettet behandling.

3. Gi en kort begrunnelse for hvorfor det er viktig at metodevurderingen som foreslås bør gjennomføres:

Behandlingsresultatene ved ikke-operabelt eller metastatisk leiomyosarkom er ikke tilfredsstillende. Den aktuelle metoden vil kunne bidra til bedre behandling av pasientgruppen.

4. Foreslå hva som bør være hovedproblemstilling(er) for metodevurderingen, samt eventuelle underproblemstillinger. For deg som er kjent med «PICO (Patient, Intervention, Comparator, Outcome) -begrepet», inkluder gjerne tentativt forslag til PICO.\*

P: Pasienter med metastatisk eller lokalavansert, ikke-operabelt leiomyosarkom som ikke tidligere har fått systemisk tumorrettet behandling.

I: Kombinasjonsbehandling med doksorubicin og trabektedin.

C: Doksorubicin monoterapi.

O: Totaloverlevelse og progresjonsfri overlevelse.

\*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 er relevant å måle/vurdere. PICO er viktig for planlegging og gjennomføring av en metodevurdering.

5. Kort beskrivelse av dagens tilbud (Hvilken metode brukes nå? Status for metoden (gir kurativ behandling, forlenget levetid etc.) Vil metoden som foreslås vurdert erstatte eller komme i tillegg til dagens tilbud?)

Standard behandling i første linje for pasienter med metastatisk eller lokalavansert, ikke-operabelt leiomyosarkom er doksorubicin 75 mg/m<sup>2</sup> gitt hver tredje uke. Dersom objektiv respons er ønskelig å oppnå kan kombinasjonsbehandling med doksorubicin og dakarbazin vurderes. I en randomisert fase 3 studie er det nylig vist at kombinasjonsbehandling med doksorubicin og trabektedin etterfulgt av vedlikeholdsbehandling med trabektedin gir bedre progresjonsfri overlevelse og totaloverlevelse enn doksorubicin monoterapi (Pautier et al, N Engl J Med 2024; 391(9):789-799). Forskjellen i totaloverlevelse var betydelig, med 24 måneder median totaloverlevelse for doksorubicin og median 33 måneder for kombinasjonsbehandlingen. Kombinasjonsregimet var imidlertid mer toksisk. Trabektedin gis i dag som monoterapi i andre linje eller senere. Kombinasjonsbehandling med doksorubicin og trabektedin vil således erstatte dagens tilbud som er sekvensiell behandling med doksorubicin og trabektedin (i tillegg til andre medikamenter).

- | 6. Forslaget gjelder:  | Ja                                  | Nei                                 |
|--|-------------------------------------|-------------------------------------|
| En metode som er aktuell for spesialisthelsetjenesten                  | <input checked="" type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/>            |
| En ny og innovativ metode  | <input type="checkbox"/>            | <input checked="" type="checkbox"/> |
| Et nytt bruksområde, eller en ny indikasjon for en etablert metode     | <input type="checkbox"/>            | <input checked="" type="checkbox"/> |
| En sammenligning mellom flere metoder                                  | <input checked="" type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/>            |
| Er metoden tatt i bruk?  | <input type="checkbox"/>            | <input checked="" type="checkbox"/> |
| Hvis ja – metode er tatt i bruk i klinisk praksis                      | <input type="checkbox"/>            | <input type="checkbox"/>            |
| Hvis ja – metode er tatt i bruk innen forskning/utprøving              | <input type="checkbox"/>            | <input type="checkbox"/>            |
| Revurdering/utfasing av en metode som er tatt i bruk i klinisk praksis | <input type="checkbox"/>            | <input checked="" type="checkbox"/> |

Eventuelle kommentarer til bruken av metoden:

7. Hva omfatter metoden som foreslås (flere kryss mulig)?

Legemiddel

Medisinsk utstyr som er CE-merket\*

\*Angi klassifisering og bruksområde:

Medisinsk utstyr som ikke er CE-merket

Prosedyre

Screening

Høyspesialiserte tjenester/nasjonale tilbud

Organisatorisk oppsett av helsetjenesten

Annet (beskriv)

8. Finansieringsansvar Ja      Nei

Har spesialisthelsetjenesten et finansieringsansvar for metoden i dag?

Vil spesialisthelsetjenesten kunne få finansieringsansvar for metoden?

Eventuelle kommentarer:

9. Er metoden omtalt i nasjonale faglige retningslinjer eller handlingsprogrammer utarbeidet av Helsedirektoratet? Ja      Nei

Angi eventuelt hvilke og kommenter eventuelt behov for endringer:

Nasjonalt handlingsprogram for sarkom. Kun de første dataene fra studien uten totaloverlevelsesgevinst er omtalt. Handlingsprogrammet er nå under revisjon og dette vil bli endret.

10. Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)? Ja      Nei

Angi eventuelt type strålekilde, utstyr og stråleeksponering:

11. Hvilke fagområde(r) gjelder metoden, og hvilke pasienter berøres? (Får metoden evt. også konsekvenser for andre grupper (som personell, pårørende?))

Onkologi. Gjelder pasienter med metastatisk eller lokalavansert, ikke-operabelt leiomyosarkom

12. Hvilke aspekter er relevante for metodevurderingen? (flere kryss mulig)

- Klinisk effekt
- Sikkerhet/bivirkninger
- Kostnader/ressursbruk
- Kostnadseffektivitet
- Organisatoriske konsekvenser
- Etiske
- Juridiske

13. Kommenter metoden som forslås vurdert mht. følgende punkter:

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

Meget alvorlig. Dette er pasienter med ikke-kurabel sykdom og relativt kort forventet levetid.

Forventet effekt

Forlenget overlevelse.

Sikkerhet og bivirkninger

Bivirkninger er rapportert i Pautier et al, N Engl J Med 2024; 391(9):789-799.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Antatt 10-20 pr år, men det finnes ikke eksakte tall

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Kostnader til legemiddelet og eventuelle ekstra behandlinger i forbindelse med vedlikeholdsbehandlingen med trabektedin.

14. Oppgi referanser til dokumentasjon om metodens effekt og sikkerhet (eks. tidligere metodevurderinger). (Inntil 10 sentrale referanser oppgis. Ikke send vedlegg nå.)

Pautier et al, N Engl J Med 2024; 391(9):789-799

15. Oppgi navn på produsenter/leverandører vedrørende metoden (dersom aktuelt/tilgjengelig):

Pharma Mar

16. Status for markedsføringstillatelse (MT) eller CE-merking: Når forventes MT- eller CE-merking? Eventuelt opplysning om planlagt tidspunkt for markedsføring.

MT foreligger for trabektedin, men ikke i første linje. Det er ikke forventet at det vil bli søkt om endring av MT. MT for doksorubicin foreligger for bløtvevssarkom uten at det er spesifisert i hvilken linje.

17. Fritekstrubrikk (Supplerende relevant informasjon, inntil 300 ord.)

Patentet for trabektedin er utløpt og det er derfor ikke forventet at firmaet vil søke endring i MT. Studien var støttet av Pharma Mar, men var akademisk ledet.

18. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv forslagstillers relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som foreslås metodevurdert. (Eksempler: Forslagsstiller har økonomiske interesser i saken. Forslagsstiller har eller har hatt oppdrag i forbindelse med, eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.)

Ingen interessekonflikter i den aktuelle saken.