

**NYE METODER****NYE METODER 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 offentligjøres, 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*:	ID2022_099 og ID2022_130
Metodens tittel:	Alfa 1-antitrypsin (Respreeza og Prolastina). Vedlikeholdsbehandling er for å bremse progresjonen av emfysem hos voksne med dokumentert alvorlig $\alpha$ 1- proteinasehemmerman gel (f.eks. genotypene PiZZ, PiZ(null), PiSZ)

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

<b>2. Opplysninger om den som gir innspill</b>	
Navn	Arbeidsutvalget

	Interessegruppen LHL Alfa-1 ved Kari D. Aasheim, Knut M. Skaar, Sonia Sæther og Anne Line Engebretsen
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Vi arbeider på frivillig basis i Interessegruppen LHL Alfa-1
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	lhl.alfa-1@lhl.no

### 3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)

Arbeidsutvalget i LHL Alfa-1 viser til innspill 16. januar 2023, fra legemiddelprodusent CSL Behring om endring fra hurtig metodevurdering spor C til spor D, samt Grifols sitt innspill samme dato med forespørsel om en forenklet metodevurdering. Vi vil gjerne komme med noen tilleggskommentarer.

Vi ser med stor bekymring på at Nye Metoder, i følge innspill fra CSL Behring, har blitt forelagt feil tallgrunnlag på antall Alfa-1 pasienter som kan ha behov for behandling med Prolastina/Respreeza, dvs et estimat på "Ca. 2000 personer i Norge" (Offentlige sakspapirer, Bestillerforum 26.09.2022, Saksnummer 151-22, s. 26). Vi vil påpeke at sykdomsbyrden ved Alfa-1 er høyst individuell. Noen utvikler emfysem, andre er heldige og merker aldri noe til sin mangel, mens andre får først emfysem i alderdommen. Det mest typiske er at man utvikler emfysem ved 40-50 års alder. **Aldri på noe tidspunkt** vil det bli aktuelt å gi Prolastina/Respreeza til alle i Norge som har alvorlig Alfa-1 mangel. Man behandler selvfølgelig kun personer som har utviklet emfysem. Å gi Prolastina/Respreeza til personer som ikke har utviklet emfysem ville være både kostbart, uhensiktsmessig, og en belastning for pasienten. Man vil heller aldri gi denne medisinen gjennom et helt livsløp. Dersom Nye Metoder opererer med et estimat på 2000 vil norske Alfa-1 pasienter fremstå som en massiv utgiftspost i metodevurderingen. Som det påpekes av CSL Behring vil utgifter til å behandle de anslåtte 35-50 pasienter som antatt kan trenge Prolastina/Respreeza, representere moderate kostnader for det norske helsevesenet. Vi må be om rettferdighet i metodevurderingen, hvor de som er oppnevnt til medisinske eksperter forholder seg til fakta og ikke til et voldsomt overestimat. Vi ber også om at man i vurderingen tar hensyn til at de ukentlige infusjonene Prolastina/Respreeza kan foregå som selv-infusjon hjemme, via innlagt venoport eller av hjemmesykepleie. Dette er en kostnadsbesparende og pasientvennlig løsning som man med hell har innført ved sykehuset i Aalborg.

Livet er generelt urettferdig for den som er født med Alfa-1 mangel i Norge. Vi har tilfeldigvis arvet en genetisk sykdom som er sjelden. Det er krevende å forske på sjeldne sykdommer, man har få deltakere i studiene og vårt emfysem utvikles gradvis over lengre tid. Dette går nødvendigvis ut over mulighetene til å demonstrere voldsomme effekter i kontrollerte enkeltstudier som går over få år. Vi mener det vil være svært urimelig å operere med samme krav til evidensmengde for effekt og kost/nytte som ved mer vanlige sykdommer. Vi vil derfor be om at Nye Metoder, i tillegg til de seneste RCT-studiene, vurderer det samlede evidensgrunnlag for Prolastina/Respreeza som er opparbeidet gjennom mange år, gjennom ulike typer studiedesign. Da vil man, som leverandørene påpeker, finne at Prolastina/Respreeza bremser tap av FEV1, bidrar til å opprettholde tetthet i lungevevet, og gir en betydelig økt median levetid. Se vårt forrige innspill for referanseliste.

En økt median levetid kan, som vi pekte på i forrige innspill, føre til at vi kan stå betydelig lenger i

jobb og at vi belaster helsevesenet og samfunnet mindre økonomisk. Vi vil også få økt livskvalitet, og vi kan se våre barn vokse opp, gifte seg, og kanskje kan vi få oppleve å bli besteforeldre. Ikke minst slipper vi å dø i donorkø som relativt unge mennesker. Hvor enn verdifullt dette er for oss, så lar ikke alle positive effekter ved Prolastina/Respreeza seg måle i penger. Arbeidsutvalget i LHL Alfa-1 er derfor bekymret for at den metodevurdering som Nye Metoder nå har lagt opp til, ikke vil fange opp de mange positive effektene for individ og samfunn.

Uheldigvis lider vi av en tilstand hvor det har vært få medisinske gjennombrudd. Som legemiddelprodusentene påpeker, er Prolastina/Respreeza den eneste behandlingen vi for tiden har som kan bremse emfysemprogresjonen. Det skjer nå heldigvis litt på forskningsfronten. Man er blant annet i gang med studier på inhalert anti-trypsin og neutrofile elastasehemmere i tablettform som vil være rimeligere enn dagens løsning som er basert på donorblod. Man jobber også med å utvikle støttmolekyler som bidrar til at Alfa-1 antitrypsinet får gjenopprettet sin naturlige form og går over i blodbanen, fremfor å hope seg opp i leveren. Per nå er det dog kun Prolastina/Respreeza som har beviselig effekt og er trygg i bruk. Vi ber Nye Metoder innstendig om hjelp til å holde oss i live med Prolastina/Respreeza frem til de rimeligere legemidlene er utprøvd i fase-3 og gjort tilgjengelige i Norge.

Vi har med stor glede sett at norske cystisk fibrose-pasienter har fått dekket sin medisin Kaftrio. På lik måte som cystisk fibrose-pasienter gjorde, vurderer norske Alfa-1 pasienter å flytte til Danmark for å få tilgang på vår livsforlengende medisin. Vi synes det er leit at man skal behøve å bryte opp og flytte fra sitt hjemland for å få behandling, og vi synes det er pinlig at et naboland skal stå som garantist for vår livslengde. Vi vil også påpeke at selv om vi dør langsommere enn cystisk fibrose-pasienter, og vår tilstand kan fremstå som mindre dramatisk, så er det likefullt dramatisk for oss å miste pusten. Vi mener også at våre liv er like verdifulle å forlenge.

Livet som Alfa-1 pasient i Norge er krevende. I motsetning til i Danmark og Sverige har vi ingen nasjonale behandlingsretningslinjer for Alfa-1 mangel. Vi har ikke et nasjonalt forskningsregister for Alfa-1 pasienter, og vi er ikke med i det europeiske Alfa-1 EARCO forskningssamarbeidet. Norske sykehus har ikke vært villige til å delta i medisinske studier og vi har ingen norske lungeleger som taler vår sak i medisinsaken. Som en konsekvens at dette opplever Norske Alfa-1 pasienter at vi blir oversett i helsevesenet, at det er tilfeldig om vi treffer på en lungelege som har kunnskap om Alfa-1, at vi ikke nødvendigvis får oppfølging i helsevesenet, og at vi nektes deltakelse i Alfa-1 forskningsstudier som kan øke vår livslengde. Norske Alfa-1 pasienter må kjempe sin sak alene mens vi ser se på at klokken tikker og går mot transplantasjonslisten, når det rett over landegrensen forskes, behandles, og fra lungelegers hold kjempes for Alfa-1 pasientenes sak. Vi er slitne av å kjempe alene og nå trenger vi at Nye Metoder taler vår sak.

--

## 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:

Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk:

Hvor er eventuelt metoden i bruk:

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

Beskriv kortfattet:

Personer med alvorlig Alfa-1 Antitrypsinmangel som har utviklet emfysem, uavhengig av FEV1 og genotype.

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

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

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:

Pasienter som får Prolastina/Respreeza, vi få erstattet manglende Alfa-1 antitrypsin i blodet. Dette vil hindre neutrofil elastase fra å ødelegge lungevevet og det vil bevare lungetetthet/bremse emfysemutviklingen. Det er per i dag ingen medisinsk behandling tilgjengelig for norske Alfa-1 pasienter som kan oppnå slike resultater. Lungetetthet og destruktive lungeprosesser relatert til Alfa-1 mangel kan måles ved CT-scan, biomarkører, lungefunksjonstester, eksaserabasjonshyppighet mm.

Vedlikeholdsbehandling vil bidra til at Alfa-1 pasienter får sterkt forøket livslengde og redusert sykdomsbyrde, slik at de kan stå lengre i arbeid og være en mindre økonomisk belastning for

samfunn og helsevesen. Dette kan måles i kostnadsbesparelserapporter utarbeidet av økonomer.

Alfa-1 pasienter som mottar vedlikeholdsbehandling vil kunne bidra i frivillighet, delta i familieaktiviteter og sosiale relasjoner hvilket bidrar til å opprettholde en god livskvalitet. Dette kan måles via kvalitativ forskning.

## 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

## 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: Alle fire i arbeidsutvalget LHL Interessegruppen for Alfa-1 er selv Alfa-1 pasienter og vil ha nytte av Respreeza/Prolastina. Kari D. Aasheim har på invitasjon fra Alfa-1 Danmark fortalt sin pasienthistorie på CSL Behring sin Nordiske samling i Stockholm 2022. Dette som privatperson for å sikre at pasientstemmen skal bli hørt hos legemiddelprodusenter. Oppdraget ble honorert med 5000 NOK. Arbeidsutvalget og Kari D. Aasheim understreker at vi ikke på noen måte er i et lojalitetsforhold overfor produsenter av vedlikeholdsterapi. Vi er, og vil til enhver tid være i dialog med andre legemiddelprodusenter som forsker frem bremsende og kurative medisiner for Alfa-1 for å sikre at norske Alfa-1 pasienter får tilgang til medisin som kan gi normal livslengde og redusert sykdomsbyrde.