

Nye metoder: Innspill til metoder, oppdrag og beslutninger

Bruk dette skjemaet for å gi innspill til metoder i Nye metoder uansett hvor de befinner seg i prosessen. Skjemaet skal for eksempel brukes hvis du har innspill til en metode i en anmodning eller et forslag som skal behandles i Bestillerforum for nye metoder. Det skal også brukes for innspill til oppdrag som er gitt av Bestillerforum, og for innspill til beslutninger som er tatt.

Det er generelt ønskelig at innspill kommer inn så tidlig som mulig i prosessen, gjerne før metoden behandles i Bestillerforum.

Utfylt skjema sendes til Sekretariatet for Nye metoder; nyemetoder@helse-sorost.no. Merk e-posten med "innspill" og ID-nummer.

Merk: Punkt 1-3 og 11 skal fylles ut av alle. Øvrige punkter fylles ut avhengig av hva innspillet gjelder.

Jeg er klar over at skjemaet kan 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 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):

1.Hvilken metode gjelder innspillet?	
ID-nummer*:	ID2021_67
Metodens navn:	Evinacumab (Evkeeza). Behandling av homozygot familiær hyperkolesterolemi

*ID-nummer finner du på metodesiden på nyemetoder.no og har formen ID2024_XXX.

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Gisle Langslet
Eventuell organisasjonstilhørighet/arbeidsplass/firma	Lipidklinikken, Oslo Universitetssykehus
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	glangsle@ous-hf.no Tlf. 90144284

3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) <i>Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.</i>
Det vises til tidligere innsendt Innspillskjema til LIS 09.01.2024. Vi er kjent med at det nå pågår prisforhandlinger mellom firmaet Ultragenyx og Legemiddelinnkjøpssamarbeidet (LIS)/Beslutningsforum for nye metoder om eventuell godkjenning av Evinacumab til bruk i denne pasientgruppen. Vi har forespurt Ultragenyx om fremdriften i forhandlingene og får opplyst at det har vært forsinkelser pga uenighet om pris. Kort kan det oppsummeres at HoFH er en svært alvorlig arvelig lipidforstyrrelse. Ubehandlet er LDL-kolesterolnivået for de alvorligste formene typisk i området 15-25 mmol/L. Selv med dagens behandling, får pasientene med den alvorligste formen for HoFH arteriosklerotisk kardiovaskulær sykdom eller påvist aterosklerose i barneårene. I Norge er det et fåtall pasienter

som har svært høye LDL-verdier og som er aktuelle for behandling med Evinakumab. Ingen av disse oppnår LDL-behandlingsmål som er fastsatt i Europeiske anbefalinger for å forebygge ateroskleroseutvikling på nåværende behandling, som er en kombinasjon LDL-aferease og medikamenter.

I Metodevurdering for Evkeeza (Evinakumab) D2021_067 av 17.07.2024 (DMP-rapporten), står det:

«Medisinske fagekspertener mener at redusert behandlingshyppighet av LDL-aferease, i kombinasjon med Evinakumab, trolig vil gi lavere LDL-C verdier, redusert behandlingsbyrde og bedre livskvalitet, sammenlignet med hyppig afereasebehandling alene. Over tid vil redusert LDL-C trolig føre til redusert antall kardiovaskulære hendelser og forlenget overlevelse».

Fagmiljøet og pasientforening ønsker å understreke nettopp dette poenget: Det er usikkert i hvilken grad afereasehyppigheten kan reduseres ved innføring av Evinakumab, men Evinakumab som tilleggsbehandling vil bedre situasjonen for disse pasientene. Fagmiljøet og pasientforeningen er bekymret for at LIS/Beslutningsforum utelukkende ser på bespart kostnad ved aferease. Selv om pris for nytt medikament er ukjent, er det åpenbart at kostnad for nytt medikament vil være betydelig høyere enn innsparing ved redusert afereasehyppighet. Det forventes derfor at betalingsvillighet for nytt medikament tar hensyn til de vedtatte prioriteringskriterier om alvorlighet og nye behandlinger, uavhengig av kostnaden for aferease. Det presiseres også at dette er en svært liten pasientgruppe, hvor totalkostnaden uansett er lav.

Vi er bekymret for at LIS/Beslutningsforum forholder seg til et scenario som er presentert på s6. i DMP-rapporten:

DMP estimerer at en rabatt påer nødvendig for at innføringen av evinakumab skal være kostnadsnøytral. Det tilsvarer en kostnad per enhet (345 mg) påEstimert pris for budsjettneutryllet forutsetter en delvis fortregning av LDL-aferease, det vil si at hyppigheten av aferease reduseres hos pasienter som får evinakumab.

Dette står i kontrast til DMPs vurdering av alvorlighet, også på s6:

Ubehandlet er HoFH en svært alvorlig tilstand, med dramatisk redusert forventet levetid. Til tross for at norske pasienter har tilgang til god oppfølging og behandling, vil noen pasienter med HoFH fremdeles ha høy grad av morbiditet og forkortet forventet levetid, spesielt de som ikke responderer tilstrekkelig på dagens behandling og som ikke kan opprettholde akseptable kolesterolnivåer over tid. HoFH kan medføre tidlig aterosklerose, hjerteinfarkt, hjertesvikt og andre kardiovaskulære problemer, allerede fra barneår.

Det vanskelig å forstå, og ikke akseptabelt, dersom LIS/Beslutningsforum mener at totalkostnaden for behandling med aferease og/eller Evinakumab ikke må øke ved innføring av Evinakumab. Behandlingsgevinsten vil da bli borte eller vesentlig redusert. Vi mener at en tilleggskostnad ved innføring av en ny og viktig behandling for disse pasientene med alvorlig HoFH må aksepteres, slik det også gjøres ved innføring av nye behandlinger for andre pasientgrupper med alvorlig sykdom.

Mer detaljert informasjon 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 (kryss av hvis ja):

Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk: [Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.](#)

Hvor er eventuelt metoden i bruk: [Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.](#)

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

Beskriv kortfattet: Se ovenfor. Behandling med evinakumab er aktuell for et fåtall pasienter med alvorlig homozygot familiær hyperkolesterolemi i Norge.

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

Beskriv kortfattet: Se ovenfor og tidligere innsendt innspill. LDL-afereose og behandling med statiner, ezetimib og PCSK-9 hemmere benyttes i dag, men har ikke tilstrekkelig effekt for disse pasientene.

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: Se ovenfor og tidligere innsendt innspill. Behandling med evinakumab kan for noen pas antagelig føre til at aferesehyppigheten kan reduseres, men det er usikkert i hvor stor grad. Effekt av behandlingen måles i LDL-kolesterolnivå. Ingen av pasientene med alvorlig HoFH er pr. dag på anbefalt LDL-kolesterolnivå. På lengre sikt antas det at redusert LDL-kolesterolnivå vil kunne redusere risikoen for hjerte- og karsykdom.

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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

10. Andre kommentarer

Dette innspillet er undertegnet av:

Ellen C Strøm,
Seksjonsleder, Lipidklinikken, Oslo universitetssykehus

Kirsten B Holven
Faglig ansvarlig, Nasjonalt kvalitets- og kompetansenettverk for familiær hyperkolesterolemi,
Oslo universitetssykehus

Mette E Bornstedt
Overlege, Lipidklinikken, Oslo Universitetssykehus

Gisle Langslet
Overlege, Lipidklinikken, Oslo Universitetssykehus

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: Gisle Langslet har mottatt honorar fra Ultragenyx for deltakelse i møter om homozygot familiær hyperkolesterolemi. Kirsten B Holven har mottatt honorarer fra Sanofi. Ellen Strøm, Mette E Bornstedt og Margaretha Hamrin har ingen interessekonflikter