

**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*:	ID2020_031
Metodens tittel:	Nusinersen (Spinraza) - Indikasjon II. Behandling av spinal muskeltrofi (SMA) hos voksne pasienter

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

<b>2. Opplysninger om den som gir innspill</b>	
Navn	Jens Torup Østby
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Biogen Norway AS
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	<a href="mailto:Jens.ostby@biogen.com">Jens.ostby@biogen.com</a> / 97129378

<b>3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)</b>
<p>22.06.2020 ble det besluttet i Bestillerforum at en hurtig metodevurdering med en kostnad-nytte-vurdering (løp C) skulle gjennomføres ved Statens legemiddelverk for nusinersen til behandling av voksne pasienter med SMA. Etter dialog med Statens Legemiddelverk (SLV) i etterkant av beslutningen, er vi av den forståelse at det er enighet om at det eksisterende dokumentasjonsgrunnlaget er dårlig egnet for en kostnad-nytte-vurdering (utdypes nedenfor). Derfor sendes det her et innspill der det foreslås at metodevurderingsløp D «andre forenklinger» følges istedenfor. Parallelt med dette er et nytt pristilbud presentert for Sykehusinnkjøp Divisjon Legemidler. Dette pristilbudet ligger til grunn for kostnadsestimatene i dokumentasjonsgrunnlaget, som også er oversendt Statens Legemiddelverk 11.02.2021.</p>

Eksisterende dokumentasjonsgrunnlag dokumenterer effekt og sikkerhet for nusinersen til behandling av voksne 5q SMA-pasienter. Dog egner eksisterende dokumentasjonsgrunnlag seg dårlig for en kost-nytte-analyse (CUA). Hovedutfordringene forbundet med å utføre en CUA basert på tilgjengelig datamateriale listes opp nedenfor:

- Hovedstudien som dokumentasjonsgrunnlaget bygger på, er en prospektiv observasjonsstudie (Hagenacker et al. 2020).
- Hagenacker-studien er gjennomført av en ekstern forskergruppe i Tyskland, uavhengig av Biogen. Biogen har derfor ikke tilgang til individnivå-data, kun aggregerte data som er rapportert i publikasjonen.
- Hagenacker-studien var heller ikke designet for å undersøke komparativ effekt ettersom det ikke var noen kontrollarm i studien. Det var en enarmet studie der samtlige pasienter motok behandling med nusinersen.
- Ingen tilgjengelige studier utgjøre et solid sammenligningsgrunnlag for kontrollarm gjennom en indirekte sammenligning.
- Hagenacker-studien målte heller ikke helserelatert livskvalitetsutvikling hos studiedeltagerne. Livskvalitetsmål må derfor eventuelt baseres på antagelser eller hentes fra andre, lignende sykdomsgrupper i litteraturen.

Flere andre utfordringer forbundet med å gjennomføre en CUA ble løftet frem på formøtet med Statens Legemiddelverk i oktober 2020, men punktene over oppsummerer de mest betydningsfulle.

Til tross for begrensninger i studiedesign dokumenteres effekt og sikkerhet blant voksne pasienter grundig i studien (Hagenacker et al. 2020), men manglene nevnt over medfører at en kost-nytte-analyse vil tilføre lite robust informasjon. Vi foreslår som nevnt derfor at vurderingen følger metodevurderingsløp D «andre forenklinger», der Biogen beskriver effekt- og sikkerhetsdata, pasientpopulasjon, plassering i behandlingstilbudet og estimerer budsjettkonsekvenser. Dette er en fremgangsmåte som vil spare alle parter tid uten at vi mister meningsfull informasjon.

Dokumentasjonspakken er allerede oversendt Statens Legemiddelverk, slik at behandlingen av søknaden kan starte umiddelbart etter en eventuell beslutning i Bestillerforum om å endre evalueringsform.

Da dokumentasjonsgrunnlaget ikke er like omfattende som for den yngre pasientpopulasjonen, har Biogen også presentert et pristilbud for Sykehusinnkjøp Divisjon Legemidler som er benyttet i budsjettberegningene.

Dokumentasjon og evalueringsform har altså blitt diskutert med SLV, og vårt inntrykk er at SLV deler oppfatningen om at tilgjengelig data ikke oppfyller kravene til en solid kost-nytte-analyse.

Biogen håper dette innspillet kan bidra til en snarlig løsning voksne 5q SMA pasienter som nå står uten effektive behandlingsalternativer.

For utfyllende informasjon til punkt 4-9, se tidligere innsendt metodeforslag.

--

## 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:

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

Beskriv kortfattet:

### 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:

### 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**

Referanse:

1. Hagenacker T, et al. Nusinersen in adults with 5q spinal muscular atrophy: a non-interventional, multicentre, observational cohort study. Lancet Neurol. 2020;19(4):317-325

**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:

Undertegnede er ansatt i Biogen Norway AS, som er leverandør av Spinraza (nusinersen).