

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*:	ID2024_012
Metodens navn:	Omaveloksolon (Skyclarys)

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Leif Arne Rønningen
Eventuell organisasjonstilhørighet/arbeidsplass/firma	Professor Emeritus, NTNU
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	leif.arn@online.no, +47 900 30 473

3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) <i>Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.</i>
Viser til metodevurderingen av Omaveloksolon(heretter OMA) av dato 17.12.2024 Innspillet handler om vurdering av datasettet og å se medisinen OMA i en større sammenheng. Metodevurderingen peker på at en relativt liten effekt over noen år kan bety en mulig betydelig langsiktig forskjell, og at dette innebærer at tidlig behandlingsstart er viktig. Samtidig argumenteres det for at den langsiktige effekten av medisinen er usikker. Metodevurderingens Quality-gevinst-utregning gir at beregnet forventet nytte ikke er oppfylt. Den tilhørende rapporten (JNBL) viser at første år med behandling med OMA, så stopper sykdomsutviklingen omtrent helt (målt med mFARS). Etter andre år er bremsingen (lest av på figuren) ca $4.2 - 1.0 = 3.2$ i <u>middelverdi</u> . Og selv om trenden er fallende, så bør man kanskje være forsiktig med å

konkludere i noen som helst retning på en langsiktig beregnet nytte på så korte tidsdata. I datasettet kan man si at år tre er unaturlig avvikende, og representerer dermed en potensiell feilkilde.

Det eneste som er sikkert, er at medisinen har en opplagt stor betydning for pasienten de første årene.

I de kommende år vil mye skje med utprøving av nye medisiner mot Friedreich ataksi, og flere lovende medisiner er i fase II. Sannsynligheten er sterkt økende for at andre medisiner mot FA vil komme på markedet i nær framtid. Og det er her man bør balansere det kortsiktige og det langsiktige bildet.

Metodevurderingen har sådd tvil om innføring av medisinen. OMA vil, og kan hjelpe til med å bremse sykdommen frem til andre medisiner som kan bidra, er tilgjengelige. Og da kan man vurdere disse nye medisinerne opp mot videre bruk av OMA.

Utfyllende tekst er lagt i punkt 10.

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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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

Beskriv kortfattet: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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

Viser til metodevurderingen av Omaveloksolon (Skyclarys), utført av JNHB og DMP, med ID2024_012.

Med utgangspunkt i muligheten til brukermedvirkning er det ønskelig at Nye Metoder (og Bestillerforum) tar følgende innspill med i den videre prosessen og vurderingen av medisinen Omaveloksolon (heretter OMA).

Innspillet handler om en vurdering av datasettet, samt å se medisinen OMA i en større sammenheng. Metodevurderingens mandat er selvsagt å vurdere selve medisinen, og det er derfor ikke riktig å utfordre rapportens arbeid med utgangspunkt i en større diskusjon, men man kan bruke rapportens argumentasjon til å vurdere et større bilde.

Resultatene av behandlingene (fra JNHB) oppsummert i rapporten kan - isolert sett for de tre første årene - sies å være gode, selv om det selvsagt er en usikkerhet basert på en liten pasientgruppe som det er testet på. Rapporten peker på at medisinske fagekspertter forklarer

at selv små endringer kan være viktige for enkeltpasienter. Og siden FA er en sykdom som gradvis utvikler seg over år, kan selv en relativt liten effekt over noen år bety en mulig betydelig langsiktig forskjell. Dette innebærer også at tidlig behandlingsstart er viktig.

Samtidig argumenteres det for at den langsiktige effekten av medisinen er svært usikker, og dermed konkluderes det at fordi kostnaden av omaveloksolon er høy, og beregnet nytte begrenset, er kostnadseffektivitetsbrøken sensitiv.

Rapporten oppsummerer i siste avsnitt på side 8 at beregnet nytte er begrenset. Dette står også i kapittel 4 (side 21), "Ordning for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand" at "beregnet forventet nytte av legemidlet ikke er oppfylt", ved at Qaly-gevinst er 0,74 og 0,31. Som det står skrevet, så har disse scenariene en betydelig usikkerhet. Samtidig, som tidligere nevnt, finner man i den tilhørende rapporten JNBL at første år med behandling med OMA, så stopper sykdomsutviklingen omtrent helt (målt med mFARS). Etter andre år er bremsingen (lest av på figuren) ca $4.2 - 1.0 = 3.2$ i middelverdi. Og selv om trenden er fallende, så bør man kanskje være forsiktig med å konkludere i noen som helst retning på en langsiktig beregnet nytte på så korte tidsdata. I datasettet kan man si at år tre er unaturlig avvikende, og representerer dermed en potensiell feilkilde).

Det eneste som er sikkert, er at medisinen har en opplagt stor betydning for pasienten de første årene.

I de kommende to-tre år vil mye skje med utprøving av nye medisiner mot FA (www.clinicaltrials.gov og www.orpha.net). Flere lovende medisiner er i slutten av/har passert fase II (eksempelvis Dimethyl Fumarate). I tillegg er samfunnet generelt på vei inn i et teknologisk skifte, ved bruk av kunstig intelligens og samtidig eksponentiell utvikling av raskere datakraft, som samlet tilsier at sannsynligheten er sterkt økende for at andre medisiner mot FA vil komme på markedet i nær framtid. Og det er her man bør balansere det kortsiktige og det langsiktige bildet. Medisinen OMA bremser de facto sykdommen de første årene. Det er samtidig økende sannsynlighet for at det i løpet av de neste årene vil komme andre medisiner på markedet, for en arvelig betinget sykdom som til nå har vært uhelbredelig.

Metodevurderingen har sådd tvil om innføring av medisinen. OMA vil, og kan hjelpe til med å bremse sykdommen frem til andre medisiner som kan bidra, er tilgjengelige. Og da kan man vurdere disse nye medisinene opp mot videre bruk av OMA.

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: [REDACTED]