

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): JA X
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): JA X

1.Hvilken metode gjelder innspillet?	
ID-nummer*:	ID2025_001
Metodens navn:	Belzutifan (Welireg)

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	XXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXX
Eventuell organisasjonstilhørighet/arbeidsplass/firma	VHL-pasient
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	XXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXXX

3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) <i>Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.</i>
<p>Von Hippel-Lindau (VHL) syndrom er en alvorlig genetisk sykdom som fører til utvikling av flere svulster i kroppen. Pasienter med VHL står overfor en livslang kamp mot tumorer i øyne, hjerne, ryggmarg, nyrer, binyrer og andre organer, ofte med behov for gjentatte kirurgiske inngrep og med høy risiko for alvorlige komplikasjoner. Mange har allerede mistet organer som følge av svulster, og sykdommen krever tett medisinsk oppfølging for å bevare livskvalitet og funksjonsevne.</p> <p>For VHL-pasienter finnes det per i dag ingen kurativ behandling. Kirurgi og andre omfattende inngrep og metoder kan føre til store funksjonsnedsettelse, og i mange tilfeller er det ingen gode behandlingsoalternativer. Belzutifan representerer en ny, målrettet behandling som kan</p>

hindre tumorvekst og gi pasienter en reell sjanse til å bevare syn, bevegelighet og livskvalitet. Alt vi VHL-pasienter ønsker er et langt og godt liv slik at vi kan fortsette å være i jobb 100% og bidra i samfunnet, leve bekymringsfrie liv med stor grad av livskvalitet og unngå at vi må til ukentlige behandlinger og pådra oss nye sykdommer som konsekvens av å ha svulster som vokser seg farlig store i kroppen.

Hvorfor Belzutifan er livsviktig for VHL-pasienter:

1. Bevaring av synet

- VHL-pasienter utvikler ofte svulster (hemangioblastomer) i øynene, som kan føre til alvorlig synstap.
- Kirurgiske inngrep og laserbehandlinger innebærer høy risiko og kan forverre situasjonen.
- **Belzutifan kan bremse tumorvekst og redusere væskeansamling i øynene, noe som kan være avgjørende for å bevare synet.**

2. Forebygging av hjerneskade og neurologiske utfall

- Tumorer i hjernen og lillehjernen kan føre til balanseproblemer, koordinasjonsvansker og potensielt livstruende komplikasjoner.
- **Belzutifan kan redusere tumorvekst i hjernen og beskytte essensielle funksjoner.**

3. Hindre invaliditet

- Tumorer i ryggmargen kan føre til lammelser og store funksjonsnedsettelser.
- **Belzutifan kan bidra til å bevare bevegelighet og forhindre alvorlige neurologiske skader.**

4. Forebygge nye svulster i vitale organer

- VHL-pasienter har økt risiko for tumorer i øynene, nyrene, binyrene, bukspyttkjertelen, hjernen, øret, eggstokker, testikler og andre organer.
- Mange har allerede måttet gjennomgå omfattende operasjoner for å fjerne svulster og organer, noe som har ført til alvorlige helseutfordringer.
- **Belzutifan kan bidra til å forhindre utvikling av nye svulster og redusere veksten av eksisterende tumorer, noe som kan spare pasienter for ytterligere kirurgiske inngrep og livstruende komplikasjoner.**

Vitenskapelig grunnlag og dokumenterte resultater

Studier på Belzutifan har vist svært lovende resultater for pasienter med VHL. Data fra kliniske studier viser at **Belzutifan kan gi betydelig tumorrespons, spesielt i CNS, retina og nyrer**, og har en akseptabel bivirkningsprofil sammenlignet med andre behandlingsalternativer. Resultatene indikerer at medisinen ikke bare kan stabilisere sykdommen, men i flere tilfeller føre til tumorregresjon. (f.eks. fase 2-studien publisert i *The New England Journal of Medicine*).

Konklusjon

Pasienter med VHL har allerede en betydelig helsebelastning og står overfor risiko for synstap, nevrologiske skader og organsvikt. Tilgangen på effektive, ikke-kirurgiske behandlingsalternativer er svært begrenset. **Belzutifan (Welireg) representerer et banebrytende terapeutisk gjennombrudd for VHL-pasienter og kan være forskjellen mellom funksjon og invaliditet, syn og blindhet, liv og død.**

Det er derfor **kritisk at denne medisinen blir tilgjengelig i Norge**. Uten tilgang til Belzutifan vil mange VHL-pasienter stå uten behandlingsalternativer, noe som kan få alvorlige konsekvenser for deres helse og livskvalitet. Vi ønsker å ta del og bidra i samfunnet, fremfor å være en belastning for helsesystemet, samfunnet og pårørende.

Vi ber derfor om at det tas en rask og positiv beslutning om godkjenning og innføring av Belzutifan som behandling for VHL-pasienter i Norge.

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 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

Jeg har delt min sykdomshistorie i Aftenpostens A-Magasinet, som har blitt oversatt i Svenska dagbladet. Les gjerne mer om saken min der.

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).

Ingen interessekonflikter, økonomiske interesser eller andre oppdrag eller bindinger.
Dette er kun for å fremme viktigheten av medisinen Belzutifan (Welireg) for VHL-pasienter, slik at vi kan ha mulighet til å fortsette å leve et langt og godt liv.