

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.

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):

1.Hvilken metode gjelder innspillet?	
Metodens ID nummer*:	ID2020_048
Metodens tittel:	Metodevarsel: ID2020_048 Berotralstat til forebyggende behandling av akutte angrep ved arvelig angioødem (HAE).

*ID-nummer finner du på metodesiden på nyemetoder.no og har formen ID2020_XXX

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Linn Landrø
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Seksjon for hudsykdommer, Avd. for revmatologi, hud –og infeksjonssykdommer, Oslo Universitetssykehus
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	linn.landro@ous-hf.no

3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)
<p>Det foreligger ingen tilsvarende behandling for denne pasientgruppen per tid. Det er et udekket behov for en mer hensiktsmessig og brukervennlig administrering av forebyggende medisin for denne pasientgruppen. Forutsatt god sykdomskontroll, dvs effektiv forebyggende behandling, kan denne pasientgruppen ha likt funksjonsnivå som den friske befolkningen. Uten sykdomskontroll er denne pasientgruppen avhengig av helsehjelp i form av å oppsøke legevakt og sykehusinnleggelse for akutte anfall, noe som resulterer i at de får høyt fravær fra skole, utdanning og arbeidsliv –og som dessverre ender med at de faller helt ut av arbeidslivet.</p>

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: nei 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: Forebyggende behandling til pasienter med HAE

6. Er du kjent med behandlingsalternativer til denne metoden og hvordan disse fungerer for pasientgruppen i dag? (PICO)
<p>Beskriv kortfattet: Hos pasienter med HAE med frekvente hevelser er det indikasjon for forebyggende behandling. Tilgjengelig forebyggende behandling for denne pasientgruppen per i dag:</p> <ul style="list-style-type: none"> - Cyklokapron tabletter: Peroral daglig behandling, hemmer aktivering av plasminogen til plasmin. Lite effektiv som forebyggende behandling hos pasienter med HAE - C1 inhibitor konsentrat (Berinert/Cinryze): Intravenøs behandling, administreres min 2 ggr/uke eller opp til hver annen dag, substituerer C1 inhibitor mangel Effektiv hos mange pasienter, men ressurskrevende mhp opplæring i å administrere i.v. medisin, eller hvis pasienten må få hjelp av helsepersonell til å administrere medikamentet. Utstyrskrevende. Et fåtall pasienter har behov for å få innlagt veneport. Ikke egnet for alle pasienter: de som ikke klarer ikke å administrere medisinen selv, og/eller ikke har tilgjengelig ordning for hjelp av helsepersonell. I tillegg medfører det en risiko for infeksjoner og tromboemboliske hendelser. - C1 inhibitor konsentrat (Berinert): subkutant hver 3.-4.dag, substituerer C1 inhibitor mangel. Ikke godkjent i Nye metoder. Ikke i bruk i Norge - Takzhyro: subkutant hver 14.dag, evt hver 4.uke kan vurderes, hemmer plasma kallikrein. Ikke godkjent i Nye metoder. Ikke i bruk i Norge - Danozol tabletter: peroral daglig behandling, lavattenuert anabolt steroid. Har ikke markedsføringstillatelse. Off-label

Kan ha effekt hos enkelte pasienter, men må brukes med varsomhet på grunn av uheldig bivirkningsprofil, bla annet risiko for neoplasi, hyperlipedemi, hjerte og karsykdom. Ikke egnet til bruk hos barn og kvinnelige pasienter.

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:

HAE er en sjelden og uforutsigbar sykdom, der god sykdomskontroll er avgjørende for funksjonsnivå. Effektiv forebyggende behandling reduserer behovet for å få hjelp/ta kontakt med helsevesenet, betydelig bedre livskvalitet og reduserer risikoen for at pasientene faller ut av arbeidslivet.

Det er per i dag ingen brukervennlig effektiv forebyggende behandling som peroral behandling vil være.

Per nå er intravenøs C1 inhibitor den mest effektive (og mest brukte) forebyggende behandlingen, og som nevnt i pkt 6, er denne behandlingen ressurskrevende og ikke egnet for alle pasienter som har behov for forebyggende behandling.

Det kan være aktuelt å måle

- antall anfall
- antall akutte kontakter med helsevesenet
- antall med fullført skolegang/utdanning
- antall og grad av deltagelse i arbeidslivet

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:

Jeg har ingen økonomiske interesser i saken, kun interesse for bedre pasientbehandling.