

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*:	ID2019_111
Metodens tittel:	Fenfluramin (Fintepla)

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Anne Katrine Våtevik
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	SSE/OUS
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	anvaat@ous-hf.no

3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)
<p>Dravets syndrom er en svært alvorlig epilepsiform, som det er krevende å behandle for å få et tilfredsstillende behandlingsresultat med dagens behandlingsalternativer for hele pasientpopulasjonen. Fenfluramin benytter en helt ny virkningsmekanisme i behandlingen av Dravets syndrom, hvor behandlingsresultatene, når behandlingen har effekt, representerer et paradigmeskifte. Disse resultatene fremkommer både i kliniske studier, og ikke minst i klinisk praksis slik det rapporteres fra andre land vi kan sammenligne oss med. I metodevurderingen av fenfluramin står det at denne metoden ikke viser vesentlig forskjellig effekt fra cannabidiol. Dette stemmer ikke med klinisk erfaring som rapporteres fra land som har tatt i bruk fenfluramin. Cannabidiol har dessuten en mer krevende interaksjonsprofil ift andre antiepileptika enn fenfluramin, noe som gjør det mer krevende å bruke cannabidiol i klinisk praksis. I de internasjonale behandlingsretningslinjene er fenfluramin sidestilt med stiripentol og clobazam som andre linje-behandling, mens cannabidiol er anbefalt som tredjelinje. For en god del pasienter med Dravets syndrom er spesielt de første leveårene preget av hyppige</p>

akuttinnleggelser på sykehus pga status epilepticus. Dette påvirker ikke bare pasientenes utvikling og livskvalitet negativt samt økt risiko for SUDEP. Også deres familier som lever i en konstant beredskap for anfall påvirkes i stor grad av dette. Barna skjermes gjerne fra å delta i barnehage/skole og innebærer at foreldre er hjemme med barna på pleiepenger. Dette er store påkjenninger for foreldre og søsken til pasientene og må også være kostbart for samfunnet.

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:
 Dravets syndrom i første omgang, men også aktuelt ved Lennox-Gastauts syndrom

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

Beskriv kortfattet:
 Førstevalg: valproat
 Andrevalg: klobazam, topiramet, stiripentol, cannabidiol, klonazepam, levetiracetam.
 Zonisamid kan også forsøkes.
 Tilstanden er svært farmakoresistent og ikke-farmakologisk behandling bør vurderes, spesielt ketogen diettbehandling. Vi kjenner ikke til Dravet-pasienter i Norge som har blitt anfallsfri etter start cannabidiol, men vi ser at den har hatt en anfallsreducerende effekt i varierende grad hos en del av 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:
 Reduksjon i anfall / anfallsfrihet / økt antall anfallsfrie dager / antall ganger brukt akuttmed.

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 hatt oppdrag for UCB (fenfluramin) og Jazz Pharmaceuticals (cannabidiol/CBD) i 2022 og 2023. Det har dreid seg om foredrag om Dravets syndrom og våre erfaringer med CBD samt deltagelse i AdBoard om fenfluramin.