

Til: Bestillerforum, Nye Metoder

Oslo, 8. mai 2022

Statens Legemiddelverk

Fra: Norsk Interesseforening for Kortvokste (NiK)
Stallerudveien 89
0693 OSLO

[Sak 067-21 \(ID2021_045\) – Voxzogo \(Vosoritide\) til behandling av akondroplasi - Anke over valg av vurderingsmetode](#)

Vurderingsmetode

Det vises til sak 067-21 (ID2021_045), herunder den forestående vurdering av metodevalg for vurdering av medikament Voxzogo (tidligere Vosoritide), samt til anke fra legemiddelselskap BioMarin av 4. mars og vårt tidligere innspill av 20. april d.å. I uke 17 var vi i kontakt med saksbehandler for å be om utsettelse av saken ettersom vårt innspill ikke var lagt ved sakspapirene til beslutningstakerne. Dette ble etterkommet og vi har forstått at saken skal opp igjen i slutten av inneværende måned. Vi ber om at begge innspillene fra NiK inngår i saksgrunnlaget.

Vi anfører at den valgte metoden, Kostnad-nytte vurdering (metode C) ikke er den best egnede når medikamentet skal vurderes innført til bruk for våre barn som sårt trenger behandlingen. Voxzogo (Vosoritide) er en banebrytende behandling som virker på den underliggende genetiske årsaken til den ekstreme veksthemmingen. Det er stor risiko for at medikamentets reelle nytteverdi ikke vil kunne fanges tilstrekkelig opp ved bruk av denne metoden. Dette både på grunn av at diagnosen er så vidt sjelden og rammer få personer og fordi det i dag ikke finnes noen alternativ behandling å sammenligne med.

Diagnosen er svært sjelden og rammer kun noen få pasienter hvert år. Dette gjør det i seg selv krevende å fremskaffe tilstrekkelig datagrunnlag for nytteverdi på kort sikt.

Til dette kommer at dette er et helt nytt, banebrytende medikament hvis testperiode er av begrenset varighet. Den ekstreme veksthemmingen som følger diagnosen har direkte og indirekte konsekvenser for pasientene hele livet. Det er ikke rimelig at de norske barna som nå trenger behandling skal gå glipp av muligheten til å motta effektiv og helt trygg behandling i kritiske år i påvente av tilstrekkelig datafangst.

At barn med akondroplasi (og foreldrene deres) opplever mange andre utfordringer enn de rent medisinske, og som er vanskelig å fange opp i kost-nyttevurderingen det legges opp til, underbygges av en helt ny og grundig artikkel om diagnosen, se brev av 20. april med vedlegg 2. Mange av utfordringene med å være kortvokst gjelder hele livet, og de fleste utfordringene blir tyngre og mer inngripende etter hvert som pasientene blir eldre. I en tradisjonell kost-nyttevurdering er det stor risiko for at den reelle og langsiktige nytteverdien ikke fanges tilstrekkelig opp.

Det vises til at personer med akondroplasi typisk krever livslang oppfølging som i de fleste sammenhenger har økonomiske og sosiale kostnader som ikke direkte treffer helse systemet og dermed er vanskelig å fange opp i en ren kostnadseffektivitetsanalyse. Det følger av Meld. St. 34

(2015–2016) – Prioriteringsmeldingen at slike bredere hensyn bør inkluderes når nytte av en behandling vurderes, fra meldingen hitsettes:

Å ha god helse innebærer ikke bare fravær av sykdom. Mestring av dagliglivets gjøremål er viktig for de som lever med sykdom. Opplevelse av å ha god helse, mulighet for deltagelse i arbeids- og samfunnsliv og sosialt samvær er viktig for livskvaliteten. Slike hensyn bør inkluderes når nytte av behandling vurderes.

Det finnes etter hvert mye dokumentasjon på medisinske komplikasjoner hos barn med akondroplasi. I en stor amerikansk studie (CLARITY, nesten 1400 deltakere) rapporterte over 80% at de hadde hatt minst en akondroplasi-relatert operasjon. Inntil nylig har det derimot vært mindre dokumentert hvordan dette er for voksne. Dette har vært tema for et helt ferskt doktorgradsarbeid av den norske overlegen ved TRS kompetansesenter for sjeldne diagnoser, Svein O. Fredwall, <http://urn.nå.no/URN:NBN:no-95472>. Fredwall har undersøkt forekomst av medisinske komplikasjoner og påvirkning på funksjon, dagligliv og smerte hos voksne i en populasjons-basert studie¹, herunder at 70% av de voksne med akondroplasi har problemer med innsnevring av spinalkanen i nakken eller ryggen (spinal stenose), 70% har kroniske smerter og 50% lider av hørselshemming:

The Norwegian Adult Achondroplasia Study:
Key findings

Spinal stenosis	≈ 70%
Impact on physical functioning and ADL	High
Chronic pain	≈ 70%
Obstructive sleep apnoea	≈ 60%
Hypertension (in men)	≈ 50%
Cardiovascular risk & type 2 diabetes	Low
Hearing loss	≈ 50%

5

Undersøkelsen viser dessuten at det er stor risiko for at voksne med akondroplasi vil oppleve alvorlig svekket psykososial helse, herunder rapporteres det om at kun 30% av de voksne med diagnosen er yrkesaktive:

Psychosocial health in adults with achondroplasia

- Psychosocial health reported lower in adults with achondroplasia
- More anxiety, depression, and low self-esteem
- 1 high proportion was single (60% in our study)
- Low work participation (30% overall in our study)

1. Jennings SE, Ditro CP, Bober MB, et al. Prevalence of mental health conditions and pain in adults with skeletal dysplasia. Qual Life Res. 2019;28(6):1457-1464.

2. Yonko EA, Emanuel JS, Carter EM, Raggio CL. Quality of life in adults with achondroplasia in the United States. Am J Med Genet A. 2021;186(3):695-701.

3. Fredwall SO, Steen U, de Vries O, et al. High prevalence of symptomatic spinal stenosis in Norwegian adults with achondroplasia: a population-based study Orphanet J Rare Dis. 2020;15(1):123.

6

¹ <https://www.sunnaas.no/seksjon/trs/PublishingImages/fag-og-forskning/kompetansesentre-og-tjenester/trs-kompetansesenter-for-sjeldne-diagnoser/prosjekter/pagaende-forskning-og-prosjekter/akondroplasi-studien/Akondroplasi studien%20Norsk%20Oppsummering.pdf>

Myndighetene uttaler i sin egen vurdering av metoden, Probas Rapport 2021–16² kapittel 7.1.2 at Metode C «er aktuell der en ny metode sammenliknes med en annen som allerede er i bruk». For barn med akondroplasi finnes det ikke noen metode eller behandling som virker på årsaken til diagnosen p.t. Det er dessuten veldig få med klinisk ekspertise om akondroplasi og ingen med ekspertise om voxzogo (Vososritide)-behandling.

Det anføres at diagnosens sjeldenhet og karakter, herunder det er kritisk for effekten at barna mottar behandling så tidlig som mulig, tilsier at myndighetene i dette tilfellet anvender en metode som gir større fleksibilitet og mulighet til å fange opp reell nytteverdi for denne sårbare gruppen. Vurderingen bør i stede basere seg på vurderinger av medikamentets trygghet, dets kliniske effektivitet og potensiale, samt budsjettpåvirkning.

Med vennlig hilsen

A handwritten signature in blue ink that reads 'Åsne Alstad Hanto'.

Åsne Alstad Hanto

Leder, Norsk Interesseforening for Kortvokste

² Evaluering av systemet for Nye metoder i spesialisthelsetjeneste: [rapport-evaluering-nye-metoder-2021115-ferdig.pdf \(regjeringen.no\)](https://www.regjeringen.no/no/dokumenter/rapport-evaluering-nye-metoder-2021115-ferdig-pdf)