

Innkalling til møte i Bestillerforum for nye metoder

Sted: Digitalt møte

Tidspunkt: Mandag 27. mai kl. 10:00- 11:30

Deltakere: Helse Sør-Øst RHF v/ Leder i Bestillerforum, fagdirektør Ulrich Spreng
Helse Midt-Norge RHF v/ Fagdirektør Björn Gustafsson
Helse Vest RHF v/ Fagdirektør Bjørn Egil Vikse
Helse Nord RHF v/ Fagdirektør Geir Tollåli
Helsedirektoratet v/ Seniorrådgiver Ingvild Grendstad
Helsedirektoratet v/ Seniorrådgiver Hege Wang
Folkehelseinstituttet v/ avdelingsdirektør Hilde Risstad
Direktoratet for medisinske produkter v/ Enhetsleder Elisabeth Bryn
Direktoratet for medisinske produkter v/ Enhetsleder Anette Grøvan
Direktoratet for medisinske produkter v/ Enhetsleder Martin Lerner
Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet v/ Fagdirektør Eva Friberg
Sykehusinnkjøp HF, v/ Fagsjef Anne Marthe Ringerud
Sykehusinnkjøp HF, v/ Fagrådgiver Christina Sivertsen
Helse Sør-Øst RHF, v/ Prosjektdirektør Ole Tjomsland
Helse Vest RHF v/ Rådgiver Marianne Saugestad
Helse Nord RHF v/ Rådgiver Hanne Husom Haukland
Helse Midt-Norge RHF v/ Seniorrådgiver Ingvild Klevan
Brukerrepresentant Øystein Kydland
Brukerrepresentant Henrik Aasved

Kopi: Karianne Johansen, fagdirektørsekretariatet, Helse Sør-Øst RHF
Barbra Schjoldager Frisvold, Sekretariatet Nye metoder
Ellen Nilsen, Sekretariatet Nye metoder
Helene Örthagen, Sekretariatet Nye metoder
Karianne Mollan Tvedt, Sekretariatet Nye metoder
Michael Vester, Sekretariatet Nye metoder

Agenda:

Velkommen v/leder av Bestillerforum for nye metoder, fagdirektør Ulrich Spreng.

| Saksnummer | Sakstittel | Type sak |
|------------|--|------------------|
| Sak 074-24 | Protokoll fra møte 22. april 2024. | Til godkjenning. |
| Sak 075-24 | Anmodning: ID2024_022 Givinostat (Duvyzat) til behandling av Duchennes muskeldystrofi. | Til drøfting. |
| Sak 076-24 | Anmodning: ID2024_024 Elafibranor til behandling av primær biliær kolangitt; enten i kombinasjon med ursodeoksykolsyre (UDCA) hos voksne med en utilstrekkelig respons på UDCA, eller som monoterapi hos voksne som ikke tåler UDCA. | Til drøfting. |

| | | |
|------------|--|---------------|
| Sak 077-24 | Anmodning: ID2024_023 Fruquintinib (Fruzaqla) til behandling av voksne med metastatisk kolorektal kreft (mCRC) som tidligere har blitt behandlet med eller ikke anses som kandidater for tilgjengelige terapier, inkludert fluoropyrimidin-, oksaliplatin- og irinotekanbasert kjemoterapi, en anti-VEGF-terapi, en anti-EGFR-terapi og trifluridin/tipiracil (Lonsurf) eller regorafenib (Stivarga). | Til drøfting. |
| Sak 078-24 | Anmodning: ID2024_027 Enfortumab vedotin (Padcev) og pembrolizumab (Keytruda) i kombinasjon til behandling av lokalavansert eller metastatisk urotelialt karsinom hos voksne som er kvalifisert for platinabasert kjemoterapi. | Til drøfting. |
| Sak 079-24 | Anmodning: ID2024_026 Ribosiklib (Kisqali) til Adjuvant behandling av pasienter med hormonreseptor (HR)-positiv, human epidermal vekstfaktorreseptor 2 (HER2) negativ stadium II og III tidlig brystkreft, i kombinasjon med endokrin behandling. | Til drøfting. |
| Sak 080-24 | Anmodning: ID2024_031 Nivolumab (Opdivo) i kombinasjon med gemcitabin-cisplatin kjemoterapi til førstelinjebehandling for voksne pasienter med inoperabel eller metastatisk urotelialkreft. | Til drøfting. |
| Sak 081-24 | Anmodning om revurdering: ID2020_111 Tafasitamab (Minjuvi) i kombinasjon med lenalidomid, etterfulgt av tafasitamab monoterapi, til behandling hos voksne pasienter med residiverende eller refraktært diffust storcellet B-cellelymfom (DLBCL) som ikke er kandidater for autolog stamcelletransplantasjon (ASCT). | Til drøfting. |
| Sak 082-24 | Metodevarsel: ID2024_028 Elektrostimulering med lavspent, pulserende strøm til behandling av kroniske sår for å øke sårtilheling. | Til drøfting. |
| Sak 083-24 | Metodevarsel: ID2021_073 Burosumab (Crysvita). Notat fra | Til drøfting. |

| | | |
|------------|--|------------------|
| | Direktoratet for medisinske produkter. | |
| Sak 084-24 | Oppfølging av metodevarsel: ID2020_113 Belatacept (Nulojix) til konvertering fra et kalsinevrin-hemmerbasert regime til et belatacept-basert regime etter transplantasjon. Oppfølging av sak 219-20, Bestillerforum 14.12.2020. Notat fra sekretariatet for Nye metoder. | Til drøfting. |
| Sak 085-24 | Oppdrag ID2021_114 Axicabtagene ciloleucel (Yescarta) til behandling av residivert eller refraktær follikulært lymfom etter tre eller flere systemiske behandlinger. Innspill om endring av oppdrag fra leverandør. | Til drøfting. |
| Sak 086-24 | Presisering av navn på metoder og oppdrag fra Bestillerforum: ID2023_015, ID2023_026, ID2022_147, ID2022_068. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter og Sekretariatet for Nye metoder. | Til orientering. |
| Sak 087-24 | Oppdrag: ID2022_062, ID2022_026, ID2022_112. Søknader om markedsføringstillatelse som er trukket eller avslått. Forslag om avbestilling av oppdrag. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter og Sekretariatet for Nye metoder. | Til drøfting. |
| Sak 088-24 | Oppdrag: ID2019_103, ID2018_044, ID2021_015, ID2018_062 hvor legemiddelfirmaene ikke har levert dokumentasjon. Forslag om avbestilling av oppdrag. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter. | Til drøfting. |
| Sak 089-24 | Oppdrag: ID2024_002 Bærbar hjertestarter Til bruk for personer med høy risiko for plutselig hjertestans (f.eks. LifeVest®). Notat fra Direktoratet for medisinske produkter. | Til drøfting. |
| Sak 090-24 | Oppfølging av beslutning i Beslutningsforum. ID2019_119 Entrectinib (Rozlytrek) | Til drøfting. |

| | | |
|------------|--|------------------|
| Sak 091-24 | Brukerrepresentasjon i Bestillerforum. Notat fra sekretariatet for Nye metoder. | Til drøfting. |
| Sak 092-24 | Videreutvikling av Nye metoder: Involvering av fagpersoner i Nye metoder – beskrivelser og forslag til tiltak for problemstilling 1. Notat fra arbeidsgruppen. | Til drøfting. |
| Sak 093-24 | Referat fra møte i Referansegruppene for nye metoder. | Til orientering. |
| Sak 094-24 | Eventuelt | |

Bestillerforum for nye metoder - 22.04.2024 - Protokoll

man. 22 april 2024, 08:00 - 09:30

Fysisk møte på Grev Wedels plass 5 i Oslo, med mulighet for å delta digitalt.

Deltakere

Ulrich Johannes Spreng, Bjørn Egil Vikse, Bjørn Gustafsson, Geir Tollåli, Hege Wang, Ingvild Grendstad, Anette Grøvan, Elisabeth Bryn, Martin Lerner, Hilde Risstad, Anne Marthe Ringerud, Hanne Husom Haukland, Magnus Hole, Ingvild Klevan, Ole Tjomslund, Henrik Aasved, Øystein Kydland, Karianne Johansen, Michael Vester, Ellen Nilsen, Barbra Schjoldager Frisvold, Karianne Mollan Tvedt, Helene Orthagen

Møteprotokoll

Sak 055-24 Protokoll fra møte 18. mars 2024. Til godkjenning.

Beslutning

Protokollen fra møtet den 18. mars ble godkjent.

Sak 056-24 Anmodning: ID2024_016 Aflibercept (Eylea) til behandling av neovaskulær (våt) aldersrelatert makuladegenerasjon (nAMD) (8 mg). Til drøfting.

Direktoratet for medisinske produkter har opplyst saken i egnethetsvurderingen. En metodevurdering vil i liten grad kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker.

Beslutning

Et prisnotat utarbeides ved Sykehusinnkjøp HF for aflibercept (Eylea) 8 mg til behandling av neovaskulær (våt) aldersrelatert makuladegenerasjon (AMD).

Sak 057-24 Anmodning: ID2024_017 Aflibercept (Eylea) til behandling av nedsatt syn som følge av diabetisk makulaødem (DME) (8 mg). Til drøfting.

Direktoratet for medisinske produkter har opplyst saken i egnethetsvurderingen. En metodevurdering vil i liten grad kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker.

Beslutning

Et prisnotat utarbeides ved Sykehusinnkjøp HF for aflibercept (Eylea) 8 mg til behandling av nedsatt syn som følge av diabetisk makulaødem (DME).

Sak 058-24 Anmodning: ID2024_013 Elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor (Kaftrio) Kombinasjonsregime med ivakaftor til behandling av cystisk fibrose hos pasienter 2-5 år som har minst én F508del-mutasjon CFTR-genet. Til drøfting.

Direktoratet for medisinske produkter har opplyst saken i egnethetsvurderingen. En metodevurdering vil i liten grad kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker.

Beslutning

Et prisnotat utarbeides ved Sykehusinnkjøp HF for elexakaftor/tezakaftor/ ivakaftor (Kaftrio) granulat - kombinasjonsregime med ivakaftor til behandling av cystisk fibrose hos pasienter i alderen 2 til 6 år som har

minst én F508del-mutasjon i cystisk fibrose transmembran konduktansregulator (CFTR)-genet.

Beslutning om et tilleggsoppdrag

Lumakافتor/ivakافتor (Orkambi) er tidligere innført til pasienter over 2 år. Legemidlet fikk 04.07.2023 markedsføringsstillatelse for pasienter >1 år. Det gis derfor også følgende oppdrag:

Et prisnotat utarbeides ved Sykehusinnkjøp HF for lumakافتor/ivakافتor (Orkambi) granulat til behandling av cystisk fibrose hos pasienter >1 år som er homozygote for F508 delmutasjonen i CTFR-genet (ID2024_033).

Sak 059-24 Anmodning: ID2024_014 Zanubrutinib (Brukinsa) i kombinasjon med obinutuzumab til behandling av voksne med refraktær eller tilbakefallende follikulært lymfom (FL) som har mottatt minst to tidligere systemiske behandlinger. Til drøfting.

Beslutning

En metodevurdering, med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse), gjennomføres ved Direktoratet for medisinske produkter, basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør, for zanubrutinib (Brukinsa) i kombinasjon med obinutuzumab til behandling av voksne med refraktær eller tilbakefallende follikulært lymfom (FL) som har mottatt minst to tidligere systemiske behandlinger.

Et tilhørende prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.

Sak 060-24 Anmodning: ID2024_019 Amivantamab (Rybrevant) i kombinasjon med kjemoterapi til behandling av voksne pasienter med metastatisk ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) med EGFR ekson 20 innsettingsmutasjon Til drøfting.

Beslutning

En metodevurdering, med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse), gjennomføres ved Direktoratet for medisinske produkter, basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør, for amivantamab (Rybrevant) i kombinasjon med kjemoterapi til behandling av voksne pasienter med metastatisk ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) med EGFR ekson 20 innsettingsmutasjon.

Et tilhørende prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.

Sak 061-24 Anmodning: ID2024_021 Durvalumab (Imfinzi) i komb. med platinabasert kjemo., etterfulgt av durvalumab (Imfinzi) i komb. med olaparib (Lynparza) til 1.linjebeh. av voksne med avansert eller tilbakevendende endometriekreft. Til drøfting

Beslutning

En metodevurdering, med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse), gjennomføres ved Direktoratet for medisinske produkter, basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør, for durvalumab (Imfinzi) i kombinasjon med platinabasert kjemoterapi, etterfulgt av durvalumab (Imfinzi) i kombinasjon med olaparib (Lynparza) til førstelinjebehandling av voksne med avansert eller tilbakevendende endometriekreft.

Et tilhørende prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.

Sak 062-24 Anmodning om revurdering: ID2022_053 Zanubrutinib (Brukinsa) som monoterapi for beh. av voksne med MZL som har mottatt minst en tidligere anti-CD20-basert behandling. Til drøfting.

Bestillerforum for nye metoder mener ikke at opplysningene som leverandøren viser til i anmodningen om revurdering vil kunne resultere i en metodevurdering som vil endre gjeldende beslutning i Beslutningsforum for nye metoder.

Beslutning

Bestillerforum for nye metoder gir ikke oppdrag om en ny metodevurdering.

Sak 063-24 Metodevarsel: ID2024_018 Kunstig intelligens-assistert endoskopi for deteksjon av kreft og precancerøse tilstander i tarm. Til drøfting.

Det pågår en studie i Norge som vi ikke har noen resultater ifra ennå.

Nye metoders tilnærming til metoder med kunstig intelligens planlegges som et av flere tema på Nye metoders heldagsmøte i juni.

Beslutning

Bestillerforum for nye metoder gir ikke oppdrag om nasjonal metodevurdering.

Sak 064-24 Anmodning ID2023_097 Pegcetakoplan (Aspaveli) til behandling av voksne med PNH som ikke tidligere er behandlet med komplementhemmer. Tilbakemelding fra leverandør. Oppfølging av sak 003-24 fra januar møtet. Til drøfting.

Leverandøren planlegger ikke å levere dokumentasjonen som er nødvendig for å gjennomføre en metodevurdering med den komparator, «best supportive care», som Bestillerforum for nye metoder ser behov for.

Beslutning

Bestillerforum for nye metoder gir ikke oppdrag om en metodevurdering.

Saken sendes til de regionale helseforetakene som forbereder saken til beslutning.

Sak 065-24 Anmodning i oppdatert versjon: ID2022_073 Darolutamid (Nubeqa) i komb. med docetaxel og androgen deprivasjonsbeh. til menn med mHSPC der abirateron i trippelbehandling ikke er egnet. Oppfølging av sak 007-24 fra jan.møtet. Til drøfting.

Direktoratet for medisinske produkter har opplyst saken i egnethetsvurderingen. En metodevurdering vil i liten grad kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker.

Beslutning

Et prisnotat utarbeides ved Sykehusinnkjøp HF for darolutamid (Nubeqa) i kombinasjon med docetaxel og androgen deprivasjonsbehandling til menn med metastatisk hormonsensitiv prostatakreft (mHSPC) der abirateron i trippelbehandling ikke er egnet.

Fagdirektørene kontakter fagmiljøet for innspill om klinisk praksis.

Sak 066-24 Oppdragene: ID2022_023, ID2022_070. Forslag om endring av oppdrag som følge av registrering i ordningen «Forenklet vurdering av PD-(L)1 legemidler». Notat fra Sykehusinnkjøp HF. Til drøfting.

Beslutning

Leverandør har registrert legemiddelet i ordningen «Forenklet vurdering av PD-(L)1 legemidler».

Bestillerforum endrer derfor følgende oppdrag til prisnotat og justerer i henhold til endelig indikasjonsordlyd:

Et prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF for cemiplimab (Libtayo) som monoterapi til behandling av voksne med tilbakevendende eller metastatisk livmorhalskreft som har sykdomsprogresjon under eller etter

platinabasert kjemoterapi. (ID2022_023)

Et prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF for cemiplimab (Libtayo) i kombinasjon med platinumbasert kjemoterapi til førstelinjebehandling av voksne med ikkesmåcellet lungekreft (NSCLC) som uttrykker PD-L1 (i ≥ 1 % tumorceller), uten EGFR-, ALK- eller ROS1-avvik, som har:

-lokalavansert NSCLC som ikke er aktuelle for definitiv kjemoradioterapi, eller - metastatisk NSCLC. (ID2022_070)

Sak 067-24 Oppdrag: ID2022_027, ID2020_057 og ID2021_037. Søknader om markedsføringstillatelser som er trukket eller avslått. Forslag om avbestilling av oppdrag. Til drøfting.

Beslutning

Søknaden om markedsføringstillatelse er trukket (ID2020_057 og ID2021_037) eller avslått (ID2022_027).

Bestillerforum for nye metoder avbestiller derfor oppdraget. Saken sendes til de regionale helseforetakene som forbereder saken til beslutning.

Sak 068-24 Oppdrag: ID2022_115 Durvalumab (Imfinzi) og tremelimumab (Imjudo) i kombinasjon som førstelinjebehandling hos voksne med avansert eller inoperabel hepatocellulært karsinom. Forslag om endring av oppdrag. Til drøfting.

Direktoratet for medisinske produkter har vært i kontakt med de fagekspertene som er blitt rekruttert til arbeidet med metodevurderingen.

Kombinasjonsbehandlingen atezolizumab/bevacizumab er ikke relevant som komparator i norsk klinisk praksis.

Beslutning

Metodevurderingen skal gjøres i henhold til de indikasjoner som står i de godkjente i preparatomtalene til Imfinzi og Imjudo.

Bestillerforum endrer også oppdragsordlyden til følgende: En metodevurdering, uten en helseøkonomisk analyse, med en oppsummering av effekt, sikkerhet og ressursbruk (legemiddelkostnader) gjennomføres ved Direktoratet for medisinske produkter, basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør av durvalumab (Imfinzi) og tremelimumab (Imjudo) i kombinasjon hos voksne med avansert eller inoperabel hepatocellulært karsinom.

Et tilhørende prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.

Sak 069-24 Presisering av navn på metoder og oppdrag fra Bestillerforum: ID2022_049. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter og Sekretariatet for Nye metoder. Til drøfting.

Beslutning

Bestillerforum for nye metoder tar saken til orientering.

Sak 070-24 Oppdragene: Robotassistert kirurgi for prostatektomi (ID2022_131), hysterektomi (ID2022_132) og proktektomi (ID2022_133). Orientering om status for arbeidet med oppdragene ved FHI. Til drøfting.

Beslutning

Bestillerforum for nye metoder tar statusoppdateringen til orientering.

Sak 071-24 Videreutvikling: Harmonisering av ordlyden i oppdragstyper til Direktoratet for medisinske produkter og Sykehusinnkjøp HF. Notat fra Sekretariatet for Nye metoder, Direktoratet for medisinske produkter og Sykehusinnkjøp HF.

Beslutning

Fremover bruker Nye metoder ved Bestillerforum følgende hovedkategorier av oppdragstyper:

- Metodevurdering med en helseøkonomisk analyse, basert på innsendt dokumentasjon. Med tilhørende prisnotat.
- Metodevurdering uten en helseøkonomisk analyse, basert på innsendt dokumentasjon. Med tilhørende prisnotat.
- Metodevurdering (uten innsendt dokumentasjon). Med tilhørende prisnotat.
- Fullstendig metodevurdering. Med tilhørende prisnotat.
- Kartlegging.
- Prisnotat uten forutgående metodevurdering.

Sak 072-24 Videreutvikling: Håndtering av anmodninger om revurdering – mulighet for administrativt avslag uten drøfting i Bestillerforum. Notat fra Sekretariatet for Nye metoder, Direktoratet for medisinske produkter og Sykehusinnkjøp HF.

Beslutning

Bestillerforum for nye metoder beslutter at det, i tråd med foreslått fremgangsmåte, innføres en mulighet for Nye metoder å avslå anmodninger om revurdering uten at disse drøftes i Bestillerforum. Begrunnelsen er i slike tilfeller som følger: "Sekretariatet kan i samråd med Direktoratet for medisinske produkter ikke se at opplysningene, som leverandøren viser til i anmodningen om revurdering, vil kunne resultere i en ny metodevurdering som vil endre gjeldende beslutning i Beslutningsforum for nye metoder". Bestillerforum ønsker orientering om hvilke anmodninger om revurdering som er blitt avslått.

Ordningen tas opp igjen i Bestillerforum for nye metoder etter cirka seks måneder.

Sak 073-24 Eventuelt

Det var ingen saker til eventuelt.

Saksnummer 075-24 Oppsummering fra sekretariatet

ID2024_022 Givinostat (Duvyzat) til behandling av Duchennes muskeldystrofi (anmodning)

Kort om metoden fra anmodningen (vedlagt):

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er firmaet som søker om markedsføringstillatelse (MT): Italfarmaco
- Metoden gjelder et nytt virkestoff. Leverandøren vil komme tilbake med en mer spesifikk indikasjonsordlyd på ett senere tidspunkt, etter tilbakemelding fra EMA.
- Givinostat er et histon deacetylase (HDAC)-hemmer som virker ved å modulere avvikende genuttrykk og cellesignaler i musklene.
- Givinostat gis i tillegg til kortikosteroider.
- Sykdomsmodifiserende behandling.
- Antall pasienter: Vil avhenge av hvilken indikasjon EMA til slutt beslutter. Insidensen er mellom 4-6 fall per år i Norge. År 2022 var det ca. 130 personer med sykdommen i Norge, majoriteten under 30 år.
- Andre legemidler med lignende virkningsmekanisme eller tilsvarende effekt: ataluren (Translarna) har blitt vurdert for en undergruppe av DMD-populasjonen: pasienter med DMD og en non-sense-mutasjon i dystrofingenet (omtrent 10-15 % av befolkningen): ID2019_062, ID2023_006 og ID2019_033. Vamorolone (Agamree) er under vurdering i en "Forenklet metodevurdering": ID2023_044.
- Forventet tidspunkt for CHMP positive opinion i EMA: desember 2024.
- Forventet tidspunkt for MT i Norge: februar 2025.
- Leverandør foreslår en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse) slik at både merverdi i form av helsesrelatert livskvalitet og lenger levetid kan belyses.
- Leverandøren planlegger å sende inn dokumentasjonen til metodevurderingen: Q1 2025.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Metoden er ikke egnet for tidlig faglig vurdering av sammenlignbarhet.

Innspill fra leverandøren (vedlagt) – se sammen med anmodningen

- Data fra fase 3 studien EPIDYS er nå publisert
- Givinostat (Duvyzat) ble godkjent av FDA den 21. Mars til "the treatment of Duchenne Muscular Dystrophy (DMD) in patients six years of age and older. Duvyzat is the first nonsteroidal drug approved to treat patients with all genetic variants of DMD."
- Merk: Dette innspill kom inn seinere enn at Direktoratet for medisinske produkter (DMP) rakk å bruke det som underlag i egnethetsvurderingen.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (vedlagt):

- Det er i dag ingen godkjente sykdomsmodifiserende legemidler til behandling av Duchennes muskeldystrofi og det medisinske behovet for behandling er stort. Den placebokontrollerte fase 3 studien vil kunne benyttes i en kostnad-nytte-analyse, men det vil være stor usikkerhet knyttet til langtidseffekt og overlevelse grunnet kort observasjonstid i studiene.
- DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk av givinostat sammenlignet med dagens standardbehandling. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en kostnad-nytte-analyse.

Innspill – innspillene er vedlagtInnspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: 1 innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- Ingen innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Retningslinjesekretariatet: Ingen nasjonale faglige retningslinjer vil påvirkes.

Finansieringsdivisjonen: Finansieringsansvaret er plassert hos RHF-ene siden 01.01.2024.

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

En leverandør som ønsker et legemiddel vurdert i Nye metoder skal rette en henvendelse til sekretariatet for Nye metoder ved å bruke dette skjemaet. Ved å sende en anmodning signaliserer leverandøren at de vil sende inn dokumentasjon for vurdering av et nytt legemiddel eller en indikasjonsutvidelse for et eksisterende legemiddel.

Utfylt anmodningsskjema sendes via e-post til Nye metoder nyemetoder@helse-sorost.no.

Informasjon om Nye metoder finnes på <https://nyemetoder.no>. Kontakt sekretariatet ved spørsmål.

Anmodningen sendes tidligst ved dag 120 i vurderingsprosessen hos European Medicines Agency (EMA) for nye legemidler i normal godkjenningsprosedyre og tidligst ved dag 1 for indikasjonsutvidelser og for nye legemidler i akselerert godkjenningsprosedyre.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Nye metoder bruker anmodningen om vurdering til å planlegge vurderingsprosessen.

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet ha en plan for når de skal levere dokumentasjon.

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (**Må krysses av**):

| 1 Kontaktopplysninger | |
|---|--|
| Dato: | |
| Leverandør: | |
| Navn: | |
| Stilling: | |
| Telefon: | |
| E-post: | |
| Ekstern representasjon <i>OBS: Ved ekstern representasjon, vedlegg fullmakt</i> | |
| Navn/virksomhet | |
| Telefon/e-post | |

| 2 Legemiddelinformasjon | |
|---|--|
| Gjelder anmodningen et nytt virkestoff? | |
| Handelsnavn | |
| Generisk navn (virkestoff(er)) | |

| | |
|---|--|
| Innehaver av markedsføringstillatelse i Norge | |
| ATC-kode | |
| Administrasjonsform | |
| Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i> | |
| Hvilken indikasjon gjelder anmodningen? | |

3 Historikk

| | |
|---|--|
| Er legemidlet vurdert til andre indikasjoner tidligere i Nye metoder? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer i Nye metoder</i> | |
| Er du kjent med om andre legemidler er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer i Nye metoder</i> | |

4 Forventet tidslinje

| | |
|---|--|
| Prosedyrenummer for MT-saken i EMA | |
| Forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP positive opinion i EMA | |
| Forventet tidspunkt (måned/år) for markedsføringstillatelse (MT) i Norge | |
| Forventet tidspunkt (kvartal/år) for levering av dokumentasjon til Statens legemiddelverk <i>Tidspunkt må oppgis</i> | |

5 Diagnostikk og ressursbruk

Fyll inn der det er relevant

| | |
|---|--|
| Vil anvendelse av legemidlet kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør? | |
| Hvilken biomarkør(er) er aktuell og hvilke publikasjoner beskriver dette? | |
| <i>Henvis til publikasjoner</i> | |

| | |
|---|--|
| Kjenner dere til om diagnostikk kan utføres i offentlig helsetjeneste eller om den må utføres av ekstern leverandør? | |
| Kjenner dere til om innføring vil kreve etablering av annen/ny infrastruktur? <i>For eksempel tilpasset analysemaskin, digital patologi/AI-basert analyse, proteomikk, funksjonelle tester m.m.?</i> | |
| Pre-analytiske forhold <i>F.eks. kreves biopsiering, annen prøvetakning, prøveprosessering m.m.</i> | |
| Testutførelse: er det behov for etablering av én spesifikk test eller er biomarkør allerede etablert i helsetjenesten (f.eks. i genpanel)? | |
| Beskrivelse av avlesning av resultat inkl. dataanalyseprogram dersom det er nødvendig. | |
| Hvilke pasientgrupper må testes og hva er forventet andel funn som gir behandlingsmulighet? | |

6 Sykdommen og eksisterende behandling

| | |
|--|--|
| Sykdomsbeskrivelse <i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i> | |
| Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i> | |
| Kreftområde <i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i> | |
| Dagens behandling <i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i> | |

| | |
|---|--|
| <p>Prognose</p> <p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p> | |
| <p>Det nye legemidlets innplassering i behandlingsalgoritmen</p> | |
| <p>Pasientgrunnlag</p> <p><i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i></p> <p><i>Antall norske pasienter antatt aktuell for ny behandling</i></p> <p><i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i></p> | |

| | |
|---|--|
| <p>7 Kan legemidlet vurderes som sammenlignbart med andre legemidler og inngå i anbud?</p> | |
| <p>Er det eksisterende anbud på terapiområdet?</p> | |
| <p>Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt (for samme indikasjon)?</p> | |
| <p>Vurderer leverandøren at legemidlet er sammenlignbart med andre legemidler?</p> | |

| | | | |
|---|-----------------|-----------------|-----------------|
| <p>8 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier</p> | | | |
| | <p>Studie 1</p> | <p>Studie 2</p> | <p>Studie 3</p> |
| <p>Studie ID</p> <p><i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i></p> | | | |
| <p>Studietype og -design</p> | | | |
| <p>Formål</p> | | | |
| <p>Populasjon</p> <p><i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i></p> | | | |

| | Studie 1 | Studie 2 | Studie 3 |
|--|----------|----------|----------|
| Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i> | | | |
| Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i> | | | |
| Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i> | | | |
| Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i> | | | |
| Oppfølgingstid <i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen i Legemiddelverket samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i> | | | |
| Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i> | | | |
| Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift, årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i> | | | |

9 Igangsatte og planlagte studier

Er det pågående eller planlagte studier for legemidlet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden?

Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt

Er det pågående eller planlagte studier for legemidlet for andre indikasjoner?

10 Forventet helseøkonomisk dokumentasjon

Angi informasjon om den forventede helseøkonomiske analysen

Type helseøkonomisk analyse

F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse (Begrunn forslaget)

Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle subgrupper.

Grunnanalysen (basecase) skal omfatte hele pasientpopulasjonen omfattet av ansøkt indikasjon.

Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn for relativ effekt?

(H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm)

Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn for helserelatert livskvalitet?

Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.

11 Aktuelt for FINOSE?

Kan legemidlet være aktuelt for utredning i FINOSE (ja/nei)

Dersom nei, hvorfor ikke?

| 12 Andre relevante opplysninger <i>Opplys om andre forhold som Nye metoder bør være oppmerksomme på.</i> | |
|---|--|
| <p>Har dere vært i kontakt med klinikere ved norske helseforetak om dette legemidlet/indikasjonen? Ja/nei</p> <p>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)</i></p> | |
| <p>Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemidlet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemidlet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene (ja/nei)?</p> <p>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes nyelegemidler@sykehusinnkjop.no samtidig med at dokumentasjon sendes til Statens legemiddelverk for metodevurdering.</p> <p>Informasjon og skjema: https://www.sykehusinnkjop.no/om-oss/informasjon-og-opplering/</p> | |
| <p>Andre relevante opplysninger?</p> | |

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*: | ID2024_022 |
| Metodens tittel: | Givinostat (Duvyzat) til behandling av Duchennes muskeldystrofi |

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

| | |
|--|----------------------------------|
| 2. Opplysninger om den som gir innspill | |
| Navn | Karin Söderbärg |
| Eventuell organisasjon/arbeidsplass | Italfarmaco |
| Kontaktinformasjon (e-post / telefon) | k.soderbarg@italfarmacogroup.com |

| |
|---|
| 3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle) |
| <p>Additional information available after request for assessment was sent in.</p> <ul style="list-style-type: none"> - Phase 3 clinical trial, EPIDYS, published. <i>Lancet Neurol 2024 Apr;23(4):393-403.</i> Safety and efficacy of givinostat in boys with Duchenne muscular dystrophy (EPIDYS): a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/38508835/ - Givinostat (Duvyzat) approved by FDA on 21st of March 2024. The U.S. Food and Drug Administration approved Duvyzat (givinostat) oral medication for the treatment of Duchenne Muscular Dystrophy (DMD) in patients six years of age and older. |

Duvyzat is the first nonsteroidal drug approved to treat patients with all genetic variants of DMD.

<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-nonsteroidal-treatment-duchenne-muscular-dystrophy>

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: **Nej**

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:

Behandling av Duchennes muskeldystrofi.

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

Beskriv kortfattet:

For DMD patients in Norway, current standard of care involves an interdisciplinary approach including, respiratory, cardiac, orthopedic and psychosocial management, as well as use of corticosteroids.

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:

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:
 Expected EMA approval is February 2025

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:

Employd by Italfarmaco

Innspill til Nye metoder

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og de fagmedisinske foreningene for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger som for eksempel LIS-priser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

| Metode: ID2024_022 Givinostat (Duvyzat) til behandling av Duchennes muskeldystrofi. | |
|---|---|
| Spørsmål | Faglige innspill |
| <p>Dagens behandling – alternativ</p> <ul style="list-style-type: none"> - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p> | <p>Steroider i form av prednisolon eller deflazacort.</p> <p>Enkelte pasienter med utvalgte genforandringer kan være tilgjengelig for behandling i form av exon-skipping, som kan gi pasienten et mildere symptombilde. Slik behandling har hovedsaklig vært som del av studier, det er et fåtall av pasientene i Norge som får dette. Micro-dystrofin gentransfer terapi er godkjent i USA for gående pasienter i alderen 4-5 år. Standard steroidbehandling er aktuelt å sammenlikne effekt mot.</p> |
| <p>Plass i norsk klinisk praksis</p> <ul style="list-style-type: none"> -Er det klinisk behov for metoden? -Vil metoden bli brukt <i>i stedet for</i> annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme <i>i tillegg til</i> dagens behandling? <p>Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p> | <p>Ja, det er stort behov for nye behandlingsmetoder for å bremse sykdomsutviklingen. Duchenne muskeldystrofi er en alvorlig, progressiv nevro-muskulær lidelse med stor morbiditet og betydelig reduserte livslengde. Man har ingen kurativ behandling for tilstanden, og dagens standardbehandling med steroider har store bivirkninger i form av bl a osteoporose og påfølgende brudd, veksthemming, uheldig vekttoppgang.</p> <p>Duvyzat /Givinostat vil bli brukt i tillegg til steroider. Preparatet vil være aktuelt medikament uavhengig av hvilken genvariant pasienten har, det er en stor fordel. Preparatet vil være aktuelt å forsøke på alle pasientene i aktuell aldersgruppe.</p> |

| | |
|---|---|
| <p>Pasientpopulasjonen i Norge Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?</p> | <p>Det fødes ca 4-6 barn pr år med diagnosen i Norge. I mai 2022 hadde Muskelregisteret registrert 128 personer i live med Duchenne muskeldystrofi. FDA har godkjent preparatet til pasienter over 6 år. Ved barne og ungdomsklinikken ved Haukeland Universitetssjukehus har vi seks pasienter i aktuell aldersgruppe.</p> |
| <p>Andre forhold -Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?</p> | <p>Nei</p> |

| | |
|--|--|
| <p>For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (utstyr/prosedyrer) -Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?</p> | |
|--|--|

Avsender av faglig innspill:

| Sykehus | Avdeling | Fagperson (navn og stilling) |
|--------------------------------|---------------------------|-----------------------------------|
| Haukeland Universitetssjukehus | Barne og ungdomsklinikken | Katrine Tyborg Leversen, overlege |

Saksnummer 076-24 Oppsummering fra sekretariatet

ID2024_024 Elafibranor til behandling av primær biliær kolangitt (PBC); enten i kombinasjon med ursodeoksykolsyre (UDCA) hos voksne med en utilstrekkelig respons på UDCA, eller som monoterapi hos voksne som ikke tåler UDCA (anmodning)

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er firmaet som søker om markedsføringstillatelse (MT): Ipsen Pharma SAS
- Metoden gjelder et nytt virkestoff og er en peroksisom proliferator-aktivert reseptor (PPAR)-agonist.
- Primær biliær kolangitt (PBC) er en sjelden, progressiv, kronisk autoimmun sykdom i leveren. Sykdommen fører til opphopning av galle i leveren, kolestase, som fører til arrdannelse i leveren (fibrose) og kan utvikle seg til alvorlig arrdannelse (cirrhose), leversvikt og død.
- De fleste pasientene som får sykdommen er mellom 40-60 år gamle, og er mer vanlig hos kvinner enn hos menn. Prevalensen er estimert til 216/million (1166 pasienter) og forekomsten er beregnet til 18/million/år (97 pasienter/år), beregnet ved bruk av gjennomsnittlige prevalens- og insidensestimater fra Sverige, Finland og Danmark.
- Dagens behandling: Leverandør skriver at ursodeoksykolsyre (UDCA) er førstelinjebehandling for sykdommen. Videre skriver de at opptil 5 % av pasientene intolerante for UDCA og ca. 30-40 % av pasientene i Norge vil bli vurdert til å ha utilstrekkelig respons på førstelinje-UDCA. Obetikolsyre (Ocaliva) benyttes som andrelinjebehandlingen for sykdommen – forskrives på H-resept i dag. Levertransplantasjon er per i dag eneste tilgjengelige behandlingsalternativ for de som ikke responderer adekvat på dagens behandling.
- Plassering i behandlingsalgoritmen: Elafibranor forventes å bli plassert som førstevalget i andrelinjebehandlingen.
- Tidspunkt for CHMP positive opinion i EMA: Forventet september 2024.
- Tidspunkt for MT i Norge: Forventet november 2024.
- Leverandør foreslår en forenklet vurdering av relativ effekt og sikkerhet for elafibranor, da det å utføre en kostnad-per-QALY-analyse ikke anses å gi vesentlig verdi og pålitelighet til beslutningsgrunnlaget i denne saken. Videre skriver leverandør at dette underbygges av at Bestillerforum ikke har bestilt metodevurdering av Ocaliva til behandling av PBC.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Metoden er ikke egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (vedlagt):

- Elafibranor er en PPAR-agonist. Andre PPAR-agonister er bezafibrat (uten MT) og seladelpar (søkt MT i EMA).
- Aktuelle legemidler i andrelinje er:
 - o Obetikolsyre (Ocaliva) til behandling av samme indikasjon, fikk MT i 2016. Finansieringsansvaret ble overført fra folketrygden til RHF-ene i 2019 og er ikke metodevurdert.

- Bezafibrat har ikke MT og forskrives på godkjenningsfritak. Ifølge innspill fra klinikere er det lang erfaring med bruk av bezafibrat ved PBC.
- Forventet at elafibranor kan plasser seg på samme behandlingslinje som obetikolsyre og bezafibrat. Disse er imidlertid ikke metodevurdert tidligere og det er ikke avklart om disse er kostnadseffektive. En tilleggsanalyse med UDCA som komparator kan derfor være nødvendig.
- DMP er ikke kjent med at det finnes studier som direkte sammenligner elafibranor med obetikolsyre eller med bezafibrat. Det vil derfor være nødvendig med evidenssyntese for å etablere relativ effekt. Biokjemiske markører er utfallsmål i de kliniske studiene. Det må vurderes om dette er valide surrogatendepunkter for kliniske endepunkter i denne pasientgruppen og denne behandlingen, og dermed egnet for modellering i en helseøkonomisk analyse.
- Anbefaling fra DMP: DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk av elafibranor. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en kostnad-nytte-analyse

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: 1 innspill
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- Ingen innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Retningslinjesekretariatet: Ingen nasjonale faglige retningslinjer vil påvirkes.

Finansieringsdivisjonen: Finansieringsansvaret er plassert hos RHF-ene siden 01.03.2024.

Nye metoder - Request for assessment of medicinal product

To request an assessment of a new medicinal product or a new indication for an existing medicinal product through Nye metoder, health technology developers should complete this form. By submitting a request for assessment, the developer signals that it plans to submit documentation for such an assessment.

Please send the completed form to Nye metoder by e-mail: nyemetoder@helse-sorost.no.

A request for assessment may not be submitted prior to day 120 of the European Medicines Agency (EMA) marketing authorisation assessment process for new medicinal products under regular approval procedure, or prior to day 1 for variation/extension assessments and for medicinal products under accelerated assessment.

This form must be completed in its entirety. Nye metoder will plan the assessment process based on the information provided in the request form.

At the time of request for assessment, the health technology developer must have a plan for when it intends to submit documentation for assessment.

Information about Nye metoder can be found online (nyemetoder.no). Please contact Sekretariatet for Nye metoder if you have any questions.

Please note: The form will be published in its entirety.

The submitter is aware that the form will be published in its entirety (**tick**):

| 1 Contact information | |
|---|--|
| Date | |
| Health technology developer | |
| Name | |
| Position | |
| Telephone | |
| E-mail | |
| External representation Name/Organization Phone/E-mail | |
| <i>PLEASE NOTE: For external representation, please attach an authorisation/power of attorney</i> | |

2 Medicinal product overview

| | |
|--|--|
| Does the request concern a new active substance? | |
| Trade name | |
| Generic name | |
| Marketing authorisation in Norway | |
| ATC code | |
| Mode of administration | |
| Pharmacotherapeutic group and mechanism of action <i>Briefly describe</i> | |
| Expected indication relevant to the request <i>Expected indication must be written in Norwegian</i> | |

3 Assessment history

| | |
|--|--|
| Has the medicinal product previously been assessed by Nye metoder for other indications? <i>If yes, enter the Nye metoder ID number</i> | |
| Are you aware of other medicinal products assessed by Nye metoder for the same indication? <i>If yes, enter the Nye metoder ID number</i> | |

4 Expected timeline

| | |
|---|--|
| Procedure number for the marketing authorisation assessment in EMA | |
| Expected date (month/year) of CHMP positive opinion | |
| Expected date (month/year) of marketing authorisation in Norway | |
| Expected date (quarter/year) for submission of documentation to Norwegian Medicines Agency <i>Dates must be stated</i> | |

5 Diagnostics and resource use

Fill inn where relevant

| | |
|---|--|
| Will the new method require diagnostic testing for biomarker analysis? | |
| Which biomarker(s) are relevant and which publications describe this? <i>Please refer to publications</i> | |
| Do you know whether diagnostics can be performed by the public health service or whether it must be performed by an external supplier? | |
| Will introduction of the new method require establishment of other/new infrastructure? <i>For example, custom analysis machine, digital pathology/ AI-based analysis, proteomics, functional tests etc.?</i> | |
| Pre-analytical requirements <i>For example, biopsies, other sampling, sample processing etc. are required.</i> | |

| | |
|--|--|
| <p>Test execution: is there a need to establish one specific test or is a biomarker already established in the health service (e.g. in gene panels)?</p> | |
| <p>Description of reading of results including data analysis program if necessary.</p> | |
| <p>Which patient groups need to be tested, and what is the expected proportion of findings that provide treatment options?</p> | |

6 Description of the disease and current treatments

| | |
|---|--|
| <p>Description of the disease <i>Brief description of the pathophysiology and clinical presentation/symptoms, possibly including references</i></p> | |
| <p>Therapeutic area <i>Specify which field best describes the method</i></p> | |
| <p>Cancer <i>If the method applies to the medical field of cancer, specify which type of cancer is relevant</i></p> | |
| <p>Current treatment <i>Current standard treatment in Norway, including references</i></p> | |

| | |
|---|--|
| <p>Prognosis</p> <p><i>Describe the prognosis with current treatment options, including references</i></p> | |
| <p>The new medicinal product's placement in the treatment algorithm</p> | |
| <p>Patient population</p> <p><i>Description, incidence and prevalence of the patient population covered by the relevant indication* in Norway, including references.</i></p> <p><i>Number of Norwegian patients assumed to be relevant for new method</i></p> <p><i>* The entire patient group covered by the indication in question is to be described</i></p> | |

7 Comparability to other medicinal products and inclusion in tender

| | |
|---|--|
| <p>Are there existing procurements or tenders in the therapeutic area?</p> | |
| <p>Are there other medicinal products with a similar mechanism of action and/or similar effect (for the same indication)?</p> | |
| <p>Does the supplier consider the medicinal product to be comparable to other medicinal products?</p> | |

| 8 Relevant clinical trials (pivotal trial(s) and clinical studies relevant for establishing relative efficacy) | | | |
|--|---------|---------|---------|
| | Study 1 | Study 2 | Study 3 |
| Study ID <i>Study name, NCT number, hyperlink</i> | | | |
| Study type and design | | | |
| Objective | | | |
| Population <i>Important inclusion and exclusion criteria</i> | | | |
| Intervention (n) <i>Dosage, dosing interval, duration of treatment</i> | | | |
| Comparator (n) <i>Dosage, dosing interval, duration of treatment</i> | | | |
| Endpoints <i>Primary, secondary and exploratory endpoints, including definition, measurement method and, if applicable, time of measurement</i> | | | |
| Relevant subgroup analyses <i>Description of any relevant subgroup analyses</i> | | | |

| | Study 1 | Study 2 | Study 3 |
|--|---------|---------|---------|
| <p>Follow up time</p> <p><i>If the study is ongoing, indicate the follow-up time for the data expected to be available for assessment by the Norwegian Medicines Agency as well as the expected/planned total follow-up time for the study</i></p> | | | |
| <p>Time perspective results</p> <p><i>Ongoing or completed study? Available and future data cut-offs</i></p> | | | |
| <p>Publications</p> <p><i>Title, author, journal, year. Expected date of publication</i></p> | | | |

9 Ongoing and planned studies

| | |
|--|--|
| <p>Are there ongoing or planned studies for the medicinal product within the same indication that may provide further information in the future?</p> <p><i>If yes, state the expected time perspective for data availability</i></p> | |
| <p>Are there ongoing or planned studies for the medicinal product for other indications?</p> | |

10 Expected health economic documentation*Enter information about the expected health economic analysis*

Type of health economic analysis

*E.g. cost-per-QALY analysis or cost minimisation analysis**(Justify the proposal)*

The patient population on which the health economic analysis is based, including any subgroups.

The main analysis (base case) shall include the entire patient population covered by the indication sought.

What type of documentation will form the basis for estimating relative efficacy?

(Direct or indirect evidence)

What type of documentation will form the basis for health-related quality of life data?

Expected pharmaceutical budget impact per year, in the 5-year period following a potential approval

11 Suitable for FINOSE?

Can the method be appropriate for assessment through FINOSE (yes/no)

If no, why not?

12 Other relevant information

Disclose other aspects that Nye metoder should be aware of.

Have you been in contact with clinicians at Norwegian health trusts about this medicinal product/ indication? Yes/no

If so, who have you been in contact with and what have been their contribution?

(Relevant information in connection with the recruitment of experts in the field at Nye metoder)

Are there specific circumstances related to the medicinal product implying that a plain discount may not be appropriate for fulfilment of the priority criteria (yes/no)?

If yes, a separate form must be completed and sent nyelegemidler@sykehusinnkjop.no at the same time as documentation is sent to the Norwegian Medicines Agency for a health technology assessment.

Information and form:

<https://www.sykehusinnkjop.no/om-oss/informasjon-og-opplering/>

Any other relevant information?

Innspill til Nye metoder

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og de fagmedisinske foreningene for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger som for eksempel LIS-priser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

| | |
|--|--|
| <p>Metode: ID2024_024 Elafibranor til behandling av primær biliær kolangitt; enten i kombinasjon med ursodeoksykolsyre (UDCA) hos voksne med en utilstrekkelig respons på UDCA, eller som monoterapi hos voksne som ikke tåler UDCA</p> | |
| <p>Spørsmål</p> | <p>Faglige innspill</p> |
| <p>Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering?</p> <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p> | <p>1. Linje Ursodeoxykolsyre (Ursofalk) 2. Linje: Registrert: Ocaliva (obeticholsyre) Registreringsfritak: Bezalip (bezafibrat)</p> |
| <p>Plass i norsk klinisk praksis -Er det klinisk behov for metoden? -Vil metoden bli brukt <i>i stedet for</i> annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme <i>i tillegg til</i> dagens behandling?</p> <p>Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p> | <p>Elafibranor er en PPAR α/δ agonist med en enkelt fase III studie for andrelinjebehandling ved PBC som støtte (PMID: 37962077). I flere tiår har det både i Norge og internasjonalt vært i bruk på denne indikasjon en pan-PPAR agonist (dvs. $\alpha/\beta/\delta$), som har like sterke fase III studiedata (PMID: 29874528) og i tillegg – med disse tiårene med foreskrivning foreligger også betydelige safety-data, og også fase III studier ifht. pasient-rapporterte outcomes for bezafibrat (PMID: 33031833). Det er således feilaktige opplysninger under flere punkter i produsentens innmelding, der man bevisst utelater å nevne bezafibrat som et velprøvd generisk preparat med tilnærmet lik virkningsmekanisme i utstrakt bruk i dag.</p> |
| <p>Pasientpopulasjonen i Norge Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?</p> | <p>Pga. den betydelig større litteraturbasis for bezafibrat (se over), særlig for safety, vil vi anse det som klokt å avvente utstrakt foreskrivning av elafibranor til mer erfaring med isolert PPAR α/δ agonist hos pasientgruppe foreligger, og forstette foreskrivning av pan-PPAR agonoisten bezafibrat på registreringsfritak. Således er</p> |

| | |
|--|---|
| | det faglig sett svært usikkert hvor mange pasienter elafibranor kan være aktuelt for, med mindre det vil oppstå problemer med foreskriving av generika som bezafibrat på registreringspreparat ifm. innføringen. |
| Andre forhold -Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med? | Faglig sett er den viktigste forskjellen mellom eksisterende PPAR-agonist i bruk og ny innmelding at elafibranor har patentbeskyttelse, mens for generisk bezafibrat er dette utgått for lenge siden. Man kan således gjøre seg bekymringer om negative helseøkonomiske effekter av evt. innføring, med mindre elafibranor prissettes identisk med bezafibrat, som kanskje er lite trolig. Det er også relevant for Bestillerforum at i tillegg til fase III studiene for elafibranor og bezafibrat som nevnt over, er det også nylig publisert positive fase III data på samme indikasjon for en isolert PPAR- δ agonist (seladelpar, PMID: 38381664). Vi forventer økt innsikt i fordeler og ulemper med pan-PPAR agnoisme vs. mer isolert PPAR spesifisert de kommende årene. |

| | |
|---|-----|
| For metoder som ikke er legemidler (utstyr/prosedyrer) -Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr? | N/A |
|---|-----|

Avsender av faglig innspill:

| Sykehus | Avdeling | Fagperson (navn og stilling) |
|--------------------------|--------------------------------------|---|
| Oslo Universitetssykehus | Avdeling for transplantasjonsmedisin | Kirsten Muri Boberg (overlege) Johannes Roksund Hov (overlege) Tom Hemming Karlsen (overlege) |

Saksnummer 077-24 Oppsummering fra sekretariatet

ID2024_023 Fruquintinib (Fruzaqla) til behandling av voksne med metastatisk kolorektal kreft (mCRC) som tidligere har blitt behandlet med eller ikke anses som kandidater for tilgjengelige terapier, inkludert fluoropyrimidin-, oksaliplatin- og irinotekanbasert kjemoterapi, en anti-VEGF-terapi, en anti-EGFR-terapi og trifluridin/tipiracil (Lonsurf) eller regorafenib (Stivarga) (anmodning)

Kort om metoden fra anmodningen (vedlagt):

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er firmaet som søker om markedsføringstillatelse (MT): Takeda Norway AS.
- Metoden gjelder et nytt virkestoff til bruk i 4. linje.
- Firma er ikke kjent med at det er andre legemidler som er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon.
- Fruquintinib er en VEGF (vascular endothelial growth factor)-hemmere som hindrer tumorvekst.
- Administrasjon: oral
- Antall pasienter: I år 2022 var det 4745 pasienter som fikk diagnosen kolorektal kreft i Norge og av dem hadde 892 pasienter metastatisk kolorektal kreft (mCRC) ved første diagnose. Det er ventet at mellom 10-30 % av pasientene med mCRC kan være egnede for 4. linje behandling. I tillegg kan det være pasienter som utvikler metastatisk sykdom etter diagnostidspunktet som blir egnede.
- Tidspunkt for CHMP positive opinion i EMA: juni/juli 2024.
- Tidspunkt for MT i Norge: juli/august 2024.
- Leverandøren foreslår at det gjennomføres en forenklet metodevurdering. Dette da det ikke foreligger noen komparator i den aktuelle behandlingslinjen samt høy belastning og alvorlighetsgrad av sykdommen.
- Leverandøren skriver at fruquintinib kommer å inngå i neste onkologianbud.
- Leverandøren planlegger sende inn dokumentasjonen til metodevurderingen: september 2024.
- Leverandøren mener ikke at FINOSE er egnet grunnet ulikhetene i finansieringsveiene til de nordiske landene.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Metoden er ikke egnet for tidlig faglig vurdering av sammenlignbarhet.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (vedlagt):

- De kliniske studiene som ligger til grunn for vurderingen om MT er en randomisert, placebokontrollert fase III studie. Relevant komparator for norske forhold vil være avhengig av endelig godkjent indikasjon for bruk. Godkjent indikasjon i USA avviker noe fra gjengitt indikasjon i firmas anmodning.
- DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en kostnad-nytte-analyse.

Innspill – innspillene er vedlagtInnspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: 1 innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- Ingen innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Retningslinjesekretariatet: Kan påvirke krefthandlingsprogrammet for tykk og endetarmskreft.

Finansieringsdivisjonen: Finansieringsansvaret ble plassert hos RHF-ene 1.8.2023.

Nye metoder - Request for assessment of medicinal product

To request an assessment of a new medicinal product or a new indication for an existing medicinal product through Nye metoder, health technology developers should complete this form. By submitting a request for assessment, the developer signals that it plans to submit documentation for such an assessment.

Please send the completed form to Nye metoder by e-mail: nyemetoder@helse-sorost.no.

A request for assessment may not be submitted prior to day 120 of the European Medicines Agency (EMA) marketing authorisation assessment process for new medicinal products under regular approval procedure, or prior to day 1 for variation/extension assessments and for medicinal products under accelerated assessment.

This form must be completed in its entirety. Nye metoder will plan the assessment process based on the information provided in the request form.

At the time of request for assessment, the health technology developer must have a plan for when it intends to submit documentation for assessment.

Information about Nye metoder can be found online (nyemetoder.no). Please contact Sekretariatet for Nye metoder if you have any questions.

Please note: The form will be published in its entirety.

The submitter is aware that the form will be published in its entirety (**tick**):

| 1 Contact information | |
|---|--|
| Date | |
| Health technology developer | |
| Name | |
| Position | |
| Telephone | |
| E-mail | |
| External representation Name/Organization Phone/E-mail | |
| <i>PLEASE NOTE: For external representation, please attach an authorisation/power of attorney</i> | |

2 Medicinal product overview

| | |
|--|--|
| Does the request concern a new active substance? | |
| Trade name | |
| Generic name | |
| Marketing authorisation in Norway | |
| ATC code | |
| Mode of administration | |
| Pharmacotherapeutic group and mechanism of action <i>Briefly describe</i> | |
| Expected indication relevant to the request <i>Expected indication must be written in Norwegian</i> | |

3 Assessment history

| | |
|--|--|
| Has the medicinal product previously been assessed by Nye metoder for other indications? <i>If yes, enter the Nye metoder ID number</i> | |
| Are you aware of other medicinal products assessed by Nye metoder for the same indication? <i>If yes, enter the Nye metoder ID number</i> | |

| 4 Expected timeline | |
|---|--|
| Procedure number for the marketing authorisation assessment in EMA | |
| Expected date (month/year) of CHMP positive opinion | |
| Expected date (month/year) of marketing authorisation in Norway | |
| Expected date (quarter/year) for submission of documentation to Norwegian Medicines Agency <i>Dates must be stated</i> | |

| 5 Diagnostics and resource use | |
|---|--|
| Fill inn where relevant | |
| Will the new method require diagnostic testing for biomarker analysis? | |
| Which biomarker(s) are relevant and which publications describe this? <i>Please refer to publications</i> | |
| Do you know whether diagnostics can be performed by the public health service or whether it must be performed by an external supplier? | |
| Will introduction of the new method require establishment of other/new infrastructure? <i>For example, custom analysis machine, digital pathology/ AI-based analysis, proteomics, functional tests etc.?</i> | |
| Pre-analytical requirements <i>For example, biopsies, other sampling, sample processing etc. are required.</i> | |

| | |
|--|--|
| <p>Test execution: is there a need to establish one specific test or is a biomarker already established in the health service (e.g. in gene panels)?</p> | |
| <p>Description of reading of results including data analysis program if necessary.</p> | |
| <p>Which patient groups need to be tested, and what is the expected proportion of findings that provide treatment options?</p> | |

6 Description of the disease and current treatments

| | |
|---|--|
| <p>Description of the disease <i>Brief description of the pathophysiology and clinical presentation/symptoms, possibly including references</i></p> | |
| <p>Therapeutic area <i>Specify which field best describes the method</i></p> | |
| <p>Cancer <i>If the method applies to the medical field of cancer, specify which type of cancer is relevant</i></p> | |
| <p>Current treatment <i>Current standard treatment in Norway, including references</i></p> | |

| | |
|---|--|
| <p>Prognosis</p> <p><i>Describe the prognosis with current treatment options, including references</i></p> | |
| <p>The new medicinal product's placement in the treatment algorithm</p> | |
| <p>Patient population</p> <p><i>Description, incidence and prevalence of the patient population covered by the relevant indication* in Norway, including references.</i></p> <p><i>Number of Norwegian patients assumed to be relevant for new method</i></p> <p><i>* The entire patient group covered by the indication in question is to be described</i></p> | |

7 Comparability to other medicinal products and inclusion in tender

| | |
|---|--|
| <p>Are there existing procurements or tenders in the therapeutic area?</p> | |
| <p>Are there other medicinal products with a similar mechanism of action and/or similar effect (for the same indication)?</p> | |
| <p>Does the supplier consider the medicinal product to be comparable to other medicinal products?</p> | |

| 8 Relevant clinical trials (pivotal trial(s) and clinical studies relevant for establishing relative efficacy) | | | |
|--|---------|---------|---------|
| | Study 1 | Study 2 | Study 3 |
| Study ID <i>Study name, NCT number, hyperlink</i> | | | |
| Study type and design | | | |
| Objective | | | |
| Population <i>Important inclusion and exclusion criteria</i> | | | |
| Intervention (n) <i>Dosage, dosing interval, duration of treatment</i> | | | |
| Comparator (n) <i>Dosage, dosing interval, duration of treatment</i> | | | |
| Endpoints <i>Primary, secondary and exploratory endpoints, including definition, measurement method and, if applicable, time of measurement</i> | | | |
| Relevant subgroup analyses <i>Description of any relevant subgroup analyses</i> | | | |

| | Study 1 | Study 2 | Study 3 |
|--|---------|---------|---------|
| <p>Follow up time</p> <p><i>If the study is ongoing, indicate the follow-up time for the data expected to be available for assessment by the Norwegian Medicines Agency as well as the expected/planned total follow-up time for the study</i></p> | | | |
| <p>Time perspective results</p> <p><i>Ongoing or completed study? Available and future data cut-offs</i></p> | | | |
| <p>Publications</p> <p><i>Title, author, journal, year. Expected date of publication</i></p> | | | |

9 Ongoing and planned studies

| | |
|--|--|
| <p>Are there ongoing or planned studies for the medicinal product within the same indication that may provide further information in the future?</p> <p><i>If yes, state the expected time perspective for data availability</i></p> | |
| <p>Are there ongoing or planned studies for the medicinal product for other indications?</p> | |

10 Expected health economic documentation*Enter information about the expected health economic analysis*

Type of health economic analysis

*E.g. cost-per-QALY analysis or cost minimisation analysis**(Justify the proposal)*

The patient population on which the health economic analysis is based, including any subgroups.

The main analysis (base case) shall include the entire patient population covered by the indication sought.

What type of documentation will form the basis for estimating relative efficacy?

(Direct or indirect evidence)

What type of documentation will form the basis for health-related quality of life data?

Expected pharmaceutical budget impact per year, in the 5-year period following a potential approval

11 Suitable for FINOSE?

Can the method be appropriate for assessment through FINOSE (yes/no)

If no, why not?

12 Other relevant information

Disclose other aspects that Nye metoder should be aware of.

Have you been in contact with clinicians at Norwegian health trusts about this medicinal product/ indication? Yes/no

If so, who have you been in contact with and what have been their contribution?

(Relevant information in connection with the recruitment of experts in the field at Nye metoder)

Are there specific circumstances related to the medicinal product implying that a plain discount may not be appropriate for fulfilment of the priority criteria (yes/no)?

If yes, a separate form must be completed and sent nyelegemidler@sykehusinnkjop.no at the same time as documentation is sent to the Norwegian Medicines Agency for a health technology assessment.

Information and form:

<https://www.sykehusinnkjop.no/om-oss/informasjon-og-opplering/>

Any other relevant information?

Innspill til Nye metoder

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og de fagmedisinske foreningene for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger som for eksempel LIS-priser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

| | |
|--|--|
| Metode: ID2024_023 Fruquintinib (Fruzaqla) til behandling av voksne med metastatisk kolorektal kreft (mCRC) som tidligere har blitt behandlet med eller ikke anses som kandidater for tilgjengelige fluoropyrimidin-, oksaliplatin- og irinotekanbasert kjemoterapi, en anti-VEGF-terapi, en anti-EGFR-terapi eller trifluridin/tipiracil (Lonsurf) eller regorafenib (Stivarga) | |
| Spørsmål | Faglige innspill |
| Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder. | Det er ingen etablert behandling for denne pasientgruppen i dag. Best supportive care bør være komparator. |
| Plass i norsk klinisk praksis -Er det klinisk behov for metoden? -Vil metoden bli brukt <i>i stedet for</i> annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme <i>i tillegg til</i> dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer. | Det er et stort klinisk behov for metoden. Metoden vil komme i tillegg til dagens behandling, nærmere bestemt etter at dagens behandling er utprøvd. Den foreslåtte metoden vil være det eneste gjenværende behandlingsalternativet, med unntak av pasienter som kan motta behandling i studier. |
| Pasientpopulasjonen i Norge Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)? | Nei. |
| Andre forhold -Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med? | Nei. |

| | |
|---|------|
| For metoder som ikke er legemidler (utstyr/prosedyrer) -Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr? | Nei. |
|---|------|

Avsender av faglig innspill:

| | | |
|--------------------------|------------------------------|-------------------------------------|
| Sykehus | Avdeling | Fagperson (navn og stilling) |
| Oslo universitetssykehus | Avdeling for kreftbehandling | Jørgen Smeby, Overlege |

Saksnummer 078-24 Oppsummering fra sekretariatet

ID2024_027 Enfortumab vedotin (Padcev) og pembrolizumab (Keytruda) i kombinasjon til behandling av lokalavansert eller metastatisk urotelialt karsinom hos voksne som er kvalifisert for platinabasert kjemoterapi (anmodning)

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er firmaet som søker markedsføringstillatelse (MT) for enfortumab vedotin: Astellas. MSD søker MT for tilsvarende indikasjonsutvidelse for pembrolizumab. Astellas og MSD har blitt enig om at Astellas sender inn anmodning og dokumentasjon for indikasjonen.
- Metoden gjelder en kombinasjon av to kjente virkestoff.
- Begge virkestoff har vært vurdert i Nye metoder tidligere: Enfortumab vedotin er vurdert og ikke innført som monoterapi til behandling av voksne pasienter med lokalavansert eller metastatisk urotelial kreft som tidligere har fått platinabasert kjemoterapi ([ID2021_096](#)). Pembrolizumab er vurdert og innført til en rekke indikasjoner. Det vises til lignende indikasjon [ID2018_001](#).
- Administrasjonsform: Intravenøst.
- Innplassering i behandlingsalgoritmen: Førstelinjebehandling for pasienter med tidligere ubehandlet lokalavansert eller metastatisk urotelialt karsinom.
- Pasientgrunnlag: Det estimeres at 100-120 pasienter er aktuelle for metoden.
- Tidspunkt for CHMP positive opinion i EMA: Juli 2024.
- Tidspunkt for MT i Norge: September 2024.
- Leverandøren mener at kombinasjonsbehandlingen ikke er sammenlignbar med andre legemidler.
- Leverandør forventer at det må gjøres en kostnad-nytte-analyse.
- Forventet tidspunkt for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter: Kort tid etter CHMP positive opinion (tidlig i Q3 2024).

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Metoden er ikke egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (vedlagt):

- Vurdering fra DMP: Den kliniske studien som ligger til grunn for vurderingen om MT er en åpen, randomisert kontrollert fase III studie hvor intervensjonen sammenlignes med relevant komparator.
- DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en kostnad-nytte-analyse.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.

- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: 1 innspill.
- Helse Vest RHF: 1 innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- Ingen innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Retningslinjesekretariatet: Kan påvirke handlingsprogram for blærekreft.

Finansieringsdivisjonen: Finansieringsansvaret plassert hos RHF-ene 1.11.2021 og overført 1.5.2017.

Nye metoder - Request for assessment of medicinal product

To request an assessment of a new medicinal product or a new indication for an existing medicinal product through Nye metoder, health technology developers should complete this form. By submitting a request for assessment, the developer signals that it plans to submit documentation for such an assessment.

Please send the completed form to Nye metoder by e-mail: nyemetoder@helse-sorost.no.

A request for assessment may not be submitted prior to day 120 of the European Medicines Agency (EMA) marketing authorisation assessment process for new medicinal products under regular approval procedure, or prior to day 1 for variation/extension assessments and for medicinal products under accelerated assessment.

This form must be completed in its entirety. Nye metoder will plan the assessment process based on the information provided in the request form.

At the time of request for assessment, the health technology developer must have a plan for when it intends to submit documentation for assessment.

Information about Nye metoder can be found online (nyemetoder.no). Please contact Sekretariatet for Nye metoder if you have any questions.

Please note: The form will be published in its entirety.

The submitter is aware that the form will be published in its entirety (**tick**):

| 1 Contact information | |
|---|--|
| Date | |
| Health technology developer | |
| Name | |
| Position | |
| Telephone | |
| E-mail | |
| External representation Name/Organization Phone/E-mail | |
| <i>PLEASE NOTE: For external representation, please attach an authorisation/power of attorney</i> | |

2 Medicinal product overview

| | |
|--|--|
| Does the request concern a new active substance? | |
| Trade name | |
| Generic name | |
| Marketing authorisation in Norway | |
| ATC code | |
| Mode of administration | |
| Pharmacotherapeutic group and mechanism of action <i>Briefly describe</i> | |
| Expected indication relevant to the request <i>Expected indication must be written in Norwegian</i> | |

3 Assessment history

| | |
|--|--|
| Has the medicinal product previously been assessed by Nye metoder for other indications? <i>If yes, enter the Nye metoder ID number</i> | |
| Are you aware of other medicinal products assessed by Nye metoder for the same indication? <i>If yes, enter the Nye metoder ID number</i> | |

4 Expected timeline

| | |
|---|--|
| Procedure number for the marketing authorisation assessment in EMA | |
| Expected date (month/year) of CHMP positive opinion | |
| Expected date (month/year) of marketing authorisation in Norway | |
| Expected date (quarter/year) for submission of documentation to Norwegian Medicines Agency <i>Dates must be stated</i> | |

5 Diagnostics and resource use

Fill inn where relevant

| | |
|---|--|
| Will the new method require diagnostic testing for biomarker analysis? | |
| Which biomarker(s) are relevant and which publications describe this? <i>Please refer to publications</i> | |
| Do you know whether diagnostics can be performed by the public health service or whether it must be performed by an external supplier? | |
| Will introduction of the new method require establishment of other/new infrastructure? <i>For example, custom analysis machine, digital pathology/ AI-based analysis, proteomics, functional tests etc.?</i> | |
| Pre-analytical requirements <i>For example, biopsies, other sampling, sample processing etc. are required.</i> | |

| | |
|--|--|
| <p>Test execution: is there a need to establish one specific test or is a biomarker already established in the health service (e.g. in gene panels)?</p> | |
| <p>Description of reading of results including data analysis program if necessary.</p> | |
| <p>Which patient groups need to be tested, and what is the expected proportion of findings that provide treatment options?</p> | |

6 Description of the disease and current treatments

| | |
|---|--|
| <p>Description of the disease <i>Brief description of the pathophysiology and clinical presentation/symptoms, possibly including references</i></p> | |
| <p>Therapeutic area <i>Specify which field best describes the method</i></p> | |
| <p>Cancer <i>If the method applies to the medical field of cancer, specify which type of cancer is relevant</i></p> | |
| <p>Current treatment <i>Current standard treatment in Norway, including references</i></p> | |

| | |
|---|--|
| <p>Prognosis</p> <p><i>Describe the prognosis with current treatment options, including references</i></p> | |
| <p>The new medicinal product's placement in the treatment algorithm</p> | |
| <p>Patient population</p> <p><i>Description, incidence and prevalence of the patient population covered by the relevant indication* in Norway, including references.</i></p> <p><i>Number of Norwegian patients assumed to be relevant for new method</i></p> <p><i>* The entire patient group covered by the indication in question is to be described</i></p> | |

7 Comparability to other medicinal products and inclusion in tender

| | |
|---|--|
| <p>Are there existing procurements or tenders in the therapeutic area?</p> | |
| <p>Are there other medicinal products with a similar mechanism of action and/or similar effect (for the same indication)?</p> | |
| <p>Does the supplier consider the medicinal product to be comparable to other medicinal products?</p> | |

| 8 Relevant clinical trials (pivotal trial(s) and clinical studies relevant for establishing relative efficacy) | | | |
|--|---------|---------|---------|
| | Study 1 | Study 2 | Study 3 |
| Study ID <i>Study name, NCT number, hyperlink</i> | | | |
| Study type and design | | | |
| Objective | | | |
| Population <i>Important inclusion and exclusion criteria</i> | | | |
| Intervention (n) <i>Dosage, dosing interval, duration of treatment</i> | | | |
| Comparator (n) <i>Dosage, dosing interval, duration of treatment</i> | | | |
| Endpoints <i>Primary, secondary and exploratory endpoints, including definition, measurement method and, if applicable, time of measurement</i> | | | |
| Relevant subgroup analyses <i>Description of any relevant subgroup analyses</i> | | | |

| | Study 1 | Study 2 | Study 3 |
|--|---------|---------|---------|
| <p>Follow up time</p> <p><i>If the study is ongoing, indicate the follow-up time for the data expected to be available for assessment by the Norwegian Medicines Agency as well as the expected/planned total follow-up time for the study</i></p> | | | |
| <p>Time perspective results</p> <p><i>Ongoing or completed study? Available and future data cut-offs</i></p> | | | |
| <p>Publications</p> <p><i>Title, author, journal, year. Expected date of publication</i></p> | | | |

9 Ongoing and planned studies

| | |
|--|--|
| <p>Are there ongoing or planned studies for the medicinal product within the same indication that may provide further information in the future?</p> <p><i>If yes, state the expected time perspective for data availability</i></p> | |
| <p>Are there ongoing or planned studies for the medicinal product for other indications?</p> | |

10 Expected health economic documentation*Enter information about the expected health economic analysis*

Type of health economic analysis

*E.g. cost-per-QALY analysis or cost minimisation analysis**(Justify the proposal)*

The patient population on which the health economic analysis is based, including any subgroups.

The main analysis (base case) shall include the entire patient population covered by the indication sought.

What type of documentation will form the basis for estimating relative efficacy?

(Direct or indirect evidence)

What type of documentation will form the basis for health-related quality of life data?

Expected pharmaceutical budget impact per year, in the 5-year period following a potential approval

11 Suitable for FINOSE?

Can the method be appropriate for assessment through FINOSE (yes/no)

If no, why not?

12 Other relevant information

Disclose other aspects that Nye metoder should be aware of.

Have you been in contact with clinicians at Norwegian health trusts about this medicinal product/ indication? Yes/no

If so, who have you been in contact with and what have been their contribution?

(Relevant information in connection with the recruitment of experts in the field at Nye metoder)

Are there specific circumstances related to the medicinal product implying that a plain discount may not be appropriate for fulfilment of the priority criteria (yes/no)?

If yes, a separate form must be completed and sent nyelegemidler@sykehusinnkjop.no at the same time as documentation is sent to the Norwegian Medicines Agency for a health technology assessment.

Information and form:

<https://www.sykehusinnkjop.no/om-oss/informasjon-og-opplering/>

Any other relevant information?

Innspill til Nye metoder

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og de fagmedisinske foreningene for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger som for eksempel LIS-priser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

| | |
|--|--|
| Metode: ID2024_027 Enfortumab vedotin (Padcev) og pembrolizumab (Keytruda) i kombinasjon til behandling av lokalavansert eller metastatisk urotelialt karsinom hos voksne som er kvalifisert for platinabasert kjemoterapi | |
| Spørsmål | Faglige innspill |
| <p>Dagens behandling – alternativ</p> <p>- Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag?</p> <p>- Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering?</p> <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p> | Gemcitabin og Cisplatin/Karboplatin (GC/GK) opp til 6 kurer og evt vedlikeholdsbehandling med Avelumab til de som ikke progredierer og Pembrolizumab/Atezolizumab/Nivolumab til de som progredierer. Disse behandlingene bør være komparator i en metodevurdering. |
| <p>Plass i norsk klinisk praksis</p> <p>-Er det klinisk behov for metoden?</p> <p>-Vil metoden bli brukt <i>i stedet for</i> annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme <i>i tillegg til</i> dagens behandling?</p> <p>Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p> | Det er helt klart et behov for metoden da fase III –studien viser en dobling av totaloverlevelsen sammenlignet med dagens standardbehandling. Dette er en usedvanlig forbedring for pasienter med urotelialt karsinom (og solide svulster med spredning generelt). I følge ESMO-guidelines anses metoden som ny standard. GC/GK forskyves og vil kun gis som 2. linjes behandling. |
| <p>Pasientpopulasjonen i Norge</p> <p>Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?</p> | Dette vil være aktuell behandling for de fleste pasienter i bra allmenntilstand (ECOG≤2) med urotelialt karsinom med metastaser og for noen med lokalavansert sykdom. |
| <p>Andre forhold</p> <p>-Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?</p> | |

| | |
|--|--|
| <p>For metoder som ikke er legemidler (utstyr/prosedyrer)</p> <p>-Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?</p> | |
|--|--|

Avsender av faglig innspill:

| | | |
|----------------|---------------------------|-------------------------------------|
| Sykehus | Avdeling | Fagperson (navn og stilling) |
| OUS | AKB-uroonkologisk seksjon | Gunnar Tafjord (Overlege) |

Innspill til Nye metoder

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og de fagmedisinske foreningene for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger som for eksempel LIS-priser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

| Metode: ID2024_027 Enfortumab vedotin (Padcev) og pembrolizumab (Keytruda) i kombinasjon til behandling av lokalavansert eller metastatisk urotelialt karsinom hos voksne som er kvalifisert for platinabasert kjemoterapi. | |
|---|--|
| Spørsmål | Faglige innspill |
| Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder. | Cisplatin basert kjemoterapi som også er komparator i denne studien. Deretter immunterapi som vedlikehold eller som 2. linjes behandling. |
| Plass i norsk klinisk praksis -Er det klinisk behov for metoden? -Vil metoden bli brukt <i>i stedet for</i> annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme <i>i tillegg til</i> dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer. | Ja. Overlevelsesgevinst på 15 mnd sammenlignet med dagens standardbehandling. Dette er en vesentlig forbedring. Vil kunne komme i tillegg til cisplatin basert kjemoterapi (som vil bli 2. linje), men vil erstatte den immunterapi vi bruker i dag. |
| Pasientpopulasjonen i Norge Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)? | Vil i hovedsak være aktuell for dem gruppen som får kjemoterapi i dag |
| Andre forhold -Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med? | |

| | |
|--|--|
| For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (utstyr/prosedyrer) -Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr? | |
|--|--|

Avsender av faglig innspill:

| Sykehus | Avdeling | Fagperson (navn og stilling) |
|-----------|-----------------|------------------------------|
| Haukeland | Kreftavdelingen | Svein I. Helle |

Saksnummer 079-24 Oppsummering fra sekretariatet

ID2024_026 Ribosiklib (Kisqali) til adjuvant behandling av pasienter med hormonreseptor (HR)-positiv, human epidermal vekstfaktorreseptor 2 (HER2)-negativ stadium II og III tidlig brystkreft, i kombinasjon med endokrin behandling (anmodning)

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er firmaet som søker om markedsføringstillatelse (MT) for indikasjonsutvidelsen: Novartis.
- Legemidlet gjelder en indikasjonsutvidelse og virkestoffet er tidligere metodevurdert og innført ([ID2017_024](#), [ID2019_005](#) og [ID2019_007](#)).
- Abemaciclib er et annet virkestoff med samme virkningsmekanisme og er EMA godkjent med indikasjon for en begrenset del av pasientpopulasjonen ([ID2021_038](#)). Er metodevurdert tidligere, men ikke innført. Er under revurdering nå.
- Dagens behandling: i henhold til nasjonal faglig retningslinje vil pasientene først ha gjennomgått operasjon, strålebehandling og i de fleste tilfeller også cellegift før adjuvant endokrin behandling i 5 år.
- Legemidlets innplassering i behandlingsalgoritmen: Som tillegg til adjuvant endokrin behandling hos pasienter med HR+/HER2- tidlig brystkreft, 3 års varighet.
- Pasientgrunnlag: På bakgrunn av Kreftregisterets årsrapport 2022, er insidensen for pasientpopulasjonen som tilsvarer NATALEE-studiepopulasjonen ca. 1000 pasienter/år i Norge. I praksis og basert på behandlende onkologs kliniske skjønn, vil sannsynligvis insident populasjon begrenses basert på en totalvurdering av pasientens risiko for tilbakefall av sykdom og eventuelt andre faktorer som påvirker behandlingsvalg.
- Tidspunkt for CHMP positive opinion i EMA: Forventet juni 2024.
- Tidspunkt for MT i Norge: Forventet september 2024.
- Leverandør foreslår en kostnad-per-QALY analyse (CUA) i henhold til NATALEE-studien. Etersom ribosiklib er en tilleggsbehandling til endokrin terapi vil det være fordelaktig å bruke data fra H2H studien direkte i en CUA.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Metoden er ikke egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (vedlagt):

- Adjuvant endokrinterapi gis i 5 (til 10) år til alle pasienter som er HR-positiv og kan redusere sannsynligheten for tilbakefall av sykdommen med omtrent halvparten.
- Indikasjonsutvidelsen er basert på en randomisert, åpen fase 3 studie. Studien er pågående og forventes avsluttet Q2 2026.
- Resultater etter 3 år viser en liten nytte av å legge ribosiklib til endokrinbehandling med en IDFS på 90,4% i intervensjonsarmen (ribosiklib + endokrinterapi) og 87,1% i komparatorarmen (endokrinterapi alene).
- Studien som ligger til grunn for indikasjonsutvidelsen er en RCT med relevant komparator. PICO er relevant ift. norsk klinisk praksis. Dataene fra studien er svært umodne, og det vil gå lang tid før man får modne data for denne pasientgruppen i adjuvant setting.
- Metoden er delvis overlappende med ID2021_038 Abemaciclib. Ikke innført av Beslutningsforum, men det er bestilt en oppdatert metodevurdering basert på nye

oppfølgingsdata (5-års data) fra relevant klinisk studie. Oppdatert metodevurdering er ikke ferdigstilt enda. Abemaciclib og ribosiklib er vurdert å kunne inngå i sammenligningsgruppe med hverandre i forbindelse med onkologianskaffelsen 2407 (for etablerte indikasjoner).

- Anbefaling fra DMP: DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Den foreliggende studien har et design som gjør at data på sikt kan være egnet for en metodevurdering med en kostnad-nytte-analyse. Dataene fra studien er imidlertid svært umodne, og DMP er usikre på om dataene er egnet for en kostnad-nyttevurdering på nåværende tidspunkt.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- Ingen innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Retningslinjesekretariatet: Handlingsprogrammet for brystkreft kan bli påvirket.

Finansieringsdivisjonen: Finansieringsansvaret er plassert hos RHF-ene siden 15.07.2017.

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

En leverandør som ønsker et legemiddel vurdert i Nye metoder skal rette en henvendelse til sekretariatet for Nye metoder ved å bruke dette skjemaet. Ved å sende en anmodning signaliserer leverandøren at de vil sende inn dokumentasjon for vurdering av et nytt legemiddel eller en indikasjonsutvidelse for et eksisterende legemiddel.

Utfylt anmodningsskjema sendes via e-post til Nye metoder nyemetoder@helse-sorost.no.

Informasjon om Nye metoder finnes på <https://nyemetoder.no>. Kontakt sekretariatet ved spørsmål.

Anmodningen sendes tidligst ved dag 120 i vurderingsprosessen hos European Medicines Agency (EMA) for nye legemidler i normal godkjenningsprosedyre og tidligst ved dag 1 for indikasjonsutvidelser og for nye legemidler i akselerert godkjenningsprosedyre.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Nye metoder bruker anmodningen om vurdering til å planlegge vurderingsprosessen.

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet ha en plan for når de skal levere dokumentasjon.

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (**Må krysses av**):

| 1 Kontaktopplysninger | |
|---|--|
| Dato: | |
| Leverandør: | |
| Navn: | |
| Stilling: | |
| Telefon: | |
| E-post: | |
| Ekstern representasjon <i>OBS: Ved ekstern representasjon, vedlegg fullmakt</i> | |
| Navn/virksomhet | |
| Telefon/e-post | |

| 2 Legemiddelinformasjon | |
|---|--|
| Gjelder anmodningen et nytt virkestoff? | |
| Handelsnavn | |
| Generisk navn (virkestoff(er)) | |

| | |
|---|--|
| Innehaver av markedsføringstillatelse i Norge | |
| ATC-kode | |
| Administrasjonsform | |
| Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i> | |
| Hvilken indikasjon gjelder anmodningen? | |

3 Historikk

| | |
|---|--|
| Er legemidlet vurdert til andre indikasjoner tidligere i Nye metoder? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer i Nye metoder</i> | |
| Er du kjent med om andre legemidler er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer i Nye metoder</i> | |

4 Forventet tidslinje

| | |
|---|--|
| Prosedyrenummer for MT-saken i EMA | |
| Forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP positive opinion i EMA | |
| Forventet tidspunkt (måned/år) for markedsføringstillatelse (MT) i Norge | |
| Forventet tidspunkt (kvartal/år) for levering av dokumentasjon til Statens legemiddelverk <i>Tidspunkt må oppgis</i> | |

5 Diagnostikk og ressursbruk

Fyll inn der det er relevant

| | |
|---|--|
| Vil anvendelse av legemidlet kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør? | |
| Hvilken biomarkør(er) er aktuell og hvilke publikasjoner beskriver dette? | |
| <i>Henvis til publikasjoner</i> | |

| | |
|---|--|
| Kjenner dere til om diagnostikk kan utføres i offentlig helsetjeneste eller om den må utføres av ekstern leverandør? | |
| Kjenner dere til om innføring vil kreve etablering av annen/ny infrastruktur? <i>For eksempel tilpasset analysemaskin, digital patologi/AI-basert analyse, proteomikk, funksjonelle tester m.m.?</i> | |
| Pre-analytiske forhold <i>F.eks. kreves biopsiering, annen prøvetakning, prøveprosessering m.m.</i> | |
| Testutførelse: er det behov for etablering av én spesifikk test eller er biomarkør allerede etablert i helsetjenesten (f.eks. i genpanel)? | |
| Beskrivelse av avlesning av resultat inkl. dataanalyseprogram dersom det er nødvendig. | |
| Hvilke pasientgrupper må testes og hva er forventet andel funn som gir behandlingsmulighet? | |

6 Sykdommen og eksisterende behandling

| | |
|--|--|
| Sykdomsbeskrivelse <i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i> | |
| Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i> | |
| Kreftområde <i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i> | |
| Dagens behandling <i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i> | |

| | |
|---|--|
| <p>Prognose</p> <p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p> | |
| <p>Det nye legemidlets innplassering i behandlingsalgoritmen</p> | |
| <p>Pasientgrunnlag</p> <p><i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i></p> <p><i>Antall norske pasienter antatt aktuell for ny behandling</i></p> <p><i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i></p> | |

| | |
|---|--|
| <p>7 Kan legemidlet vurderes som sammenlignbart med andre legemidler og inngå i anbud?</p> | |
| <p>Er det eksisterende anbud på terapiområdet?</p> | |
| <p>Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt (for samme indikasjon)?</p> | |
| <p>Vurderer leverandøren at legemidlet er sammenlignbart med andre legemidler?</p> | |

| | | | |
|---|-----------------|-----------------|-----------------|
| <p>8 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier</p> | | | |
| | <p>Studie 1</p> | <p>Studie 2</p> | <p>Studie 3</p> |
| <p>Studie ID</p> <p><i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i></p> | | | |
| <p>Studietype og -design</p> | | | |
| <p>Formål</p> | | | |
| <p>Populasjon</p> <p><i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i></p> | | | |

| | Studie 1 | Studie 2 | Studie 3 |
|--|----------|----------|----------|
| Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i> | | | |
| Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i> | | | |
| Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i> | | | |
| Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i> | | | |
| Oppfølgingstid <i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen i Legemiddelverket samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i> | | | |
| Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i> | | | |
| Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift, årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i> | | | |

9 Igangsatte og planlagte studier

Er det pågående eller planlagte studier for legemidlet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden?

Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt

Er det pågående eller planlagte studier for legemidlet for andre indikasjoner?

10 Forventet helseøkonomisk dokumentasjon

Angi informasjon om den forventede helseøkonomiske analysen

Type helseøkonomisk analyse

F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse (Begrunn forslaget)

Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle subgrupper.

Grunnanalysen (basecase) skal omfatte hele pasientpopulasjonen omfattet av ansøkt indikasjon.

Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn for relativ effekt?

(H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm)

Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn for helserelatert livskvalitet?

Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.

11 Aktuelt for FINOSE?

Kan legemidlet være aktuelt for utredning i FINOSE (ja/nei)

Dersom nei, hvorfor ikke?

| 12 Andre relevante opplysninger Opplys om andre forhold som Nye metoder bør være oppmerksomme på. | |
|--|--|
| <p>Har dere vært i kontakt med klinikere ved norske helseforetak om dette legemidlet/indikasjonen? Ja/nei</p> <p>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)</i></p> | |
| <p>Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemidlet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemidlet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene (ja/nei)?</p> <p>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes nyelegemidler@sykehusinnkjop.no samtidig med at dokumentasjon sendes til Statens legemiddelverk for metodevurdering.</p> <p>Informasjon og skjema: https://www.sykehusinnkjop.no/om-oss/informasjon-og-opplering/</p> | |
| <p>Andre relevante opplysninger?</p> | |

Saksnummer 080-24 Oppsummering fra sekretariatet

ID2024_031 Nivolumab (Opdivo) i kombinasjon med gemcitabin-cisplatin kjemoterapi til førstelinjebehandling for voksne pasienter med inoperabel eller metastatisk urotelialkref (anmodning).

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er firmaet som søker om markedsføringstillatelse (MT): Bristol Myers Squibb (BMS).
- Metoden gjelder en indikasjonsutvidelse. Legemidlet er vurdert til en rekke indikasjoner tidligere.
- Administrasjonsform: Intravenøst.
- Andre legemidler vurdert til samme indikasjon omfatter ID2020_083 Avelumab.
- Pasientgrunnlag: Pasientgruppen som er aktuell for denne indikasjonen er alle førstelinje urotelialt karsinoma pasientene som er aktuelle for gemcitabin-cisplatin kjemoterapi per i dag. Det estimeres at ca. 125 pasienter er aktuelle for metoden.
- Tidspunkt for CHMP positive opinion i EMA: Q2 2024.
- Tidspunkt for MT i Norge: 2024.
- Leverandøren har registrert legemidlet i «PD-(L)1-ordningen».
- Forventet tidspunkt for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter: Leverandør forventer ikke at det skal sendes inn dokumentasjon.

Kommentar fra sekretariatet

- Leverandør har registrert legemiddelet i ordningen «Forenklet vurdering av PD-(L)1 legemidler».
- Det er ikke innhentet innspill til metoden fra fagmiljøer i RHF-ene, fagmedisinske foreninger eller Helsedirektoratet.

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

En leverandør som ønsker et legemiddel vurdert i Nye metoder skal rette en henvendelse til sekretariatet for Nye metoder ved å bruke dette skjemaet. Ved å sende en anmodning signaliserer leverandøren at de vil sende inn dokumentasjon for vurdering av et nytt legemiddel eller en indikasjonsutvidelse for et eksisterende legemiddel.

Utfylt anmodningsskjema sendes via e-post til Nye metoder nyemetoder@helse-sorost.no.

Informasjon om Nye metoder finnes på <https://nyemetoder.no>. Kontakt sekretariatet ved spørsmål.

Anmodningen sendes tidligst ved dag 120 i vurderingsprosessen hos European Medicines Agency (EMA) for nye legemidler i normal godkjenningsprosedyre og tidligst ved dag 1 for indikasjonsutvidelser og for nye legemidler i akselerert godkjenningsprosedyre.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Nye metoder bruker anmodningen om vurdering til å planlegge vurderingsprosessen.

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet ha en plan for når de skal levere dokumentasjon.

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (Må krysses av):

| 1 Kontaktopplysninger | |
|---|--|
| Dato: | |
| Leverandør: | |
| Navn: | |
| Stilling: | |
| Telefon: | |
| E-post: | |
| Ekstern representasjon <i>OBS: Ved ekstern representasjon, vedlegg fullmakt</i> | |
| Navn/virksomhet | |
| Telefon/e-post | |

| 2 Legemiddelinformasjon | |
|---|--|
| Gjelder anmodningen et nytt virkestoff? | |
| Handelsnavn | |
| Generisk navn (virkestoff(er)) | |

| | |
|---|--|
| Innehaver av markedsføringstillatelse i Norge | |
| ATC-kode | |
| Administrasjonsform | |
| Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i> | |
| Hvilken indikasjon gjelder anmodningen? | |

3 Historikk

| | |
|---|--|
| Er legemidlet vurdert til andre indikasjoner tidligere i Nye metoder? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer i Nye metoder</i> | |
| Er du kjent med om andre legemidler er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer i Nye metoder</i> | |

4 Forventet tidslinje

| | |
|---|--|
| Prosedyrenummer for MT-saken i EMA | |
| Forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP positive opinion i EMA | |
| Forventet tidspunkt (måned/år) for markedsføringstillatelse (MT) i Norge | |
| Forventet tidspunkt (kvartal/år) for levering av dokumentasjon til Statens legemiddelverk <i>Tidspunkt må oppgis</i> | |

5 Diagnostikk og ressursbruk

Fyll inn der det er relevant

| | |
|---|--|
| Vil anvendelse av legemidlet kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør? | |
| Hvilken biomarkør(er) er aktuell og hvilke publikasjoner beskriver dette? | |
| <i>Henvis til publikasjoner</i> | |

| | |
|---|--|
| Kjenner dere til om diagnostikk kan utføres i offentlig helsetjeneste eller om den må utføres av ekstern leverandør? | |
| Kjenner dere til om innføring vil kreve etablering av annen/ny infrastruktur? <i>For eksempel tilpasset analysemaskin, digital patologi/AI-basert analyse, proteomikk, funksjonelle tester m.m.?</i> | |
| Pre-analytiske forhold <i>E.eks. kreves biopsering, annen prøvetakning, prøveprosessering m.m.</i> | |
| Testutførelse: er det behov for etablering av én spesifikk test eller er biomarkør allerede etablert i helsetjenesten (f.eks. i genpanel)? | |
| Beskrivelse av avlesning av resultat inkl. dataanalyseprogram dersom det er nødvendig. | |
| Hvilke pasientgrupper må testes og hva er forventet andel funn som gir behandlingsmulighet? | |

6 Sykdommen og eksisterende behandling

| | |
|--|--|
| Sykdomsbeskrivelse <i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i> | |
| Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i> | |
| Kreftområde <i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i> | |
| Dagens behandling <i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i> | |

| | |
|---|--|
| Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i> | |
| Det nye legemidlets innplassering i behandlingsalgoritmen | |
| Pasientgrunnlag <i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i> <i>Antall norske pasienter antatt aktuell for ny behandling</i> <i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i> | |

| | |
|--|--|
| 7 Kan legemidlet vurderes som sammenlignbart med andre legemidler og inngå i anbud? | |
| Er det eksisterende anbud på terapiområdet? | |
| Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt (for samme indikasjon)? | |
| Vurderer leverandøren at legemidlet er sammenlignbart med andre legemidler? | |

| | | | |
|---|-----------------|-----------------|-----------------|
| 8 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier | | | |
| | Studie 1 | Studie 2 | Studie 3 |
| Studie ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i> | | | |
| Studietype og -design | | | |
| Formål | | | |
| Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i> | | | |

| | Studie 1 | Studie 2 | Studie 3 |
|---|----------|----------|----------|
| Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i> | | | |
| Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i> | | | |
| Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i> | | | |
| Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i> | | | |
| Oppfølgingstid <i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen i Legemiddelverket samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i> | | | |
| Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i> | | | |
| Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift, årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i> | | | |

9 Igangsatte og planlagte studier

Er det pågående eller planlagte studier for legemidlet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden?

Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt

Er det pågående eller planlagte studier for legemidlet for andre indikasjoner?

10 Forventet helseøkonomisk dokumentasjon

Angi informasjon om den forventede helseøkonomiske analysen

Type helseøkonomisk analyse

F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse (Begrunn forslaget)

Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle subgrupper:

Grunnanalysen (basecase) skal omfatte hele pasientpopulasjonen omfattet av ansøkt indikasjon.

Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn for relativ effekt?

(H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm)

Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn for helserelatert livskvalitet?

Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år:

11 Aktuelt for FINOSE?

Kan legemidlet være aktuelt for utredning i FINOSE (ja/nei)

Dersom nei, hvorfor ikke?

12 Andre relevante opplysninger**Opplys om andre forhold som Nye metoder bør være oppmerksomme på.**

| | |
|--|--|
| <p>Har dere vært i kontakt med klinikere ved norske helseforetak om dette legemidlet/indikasjonen? Ja/nei</p> <p>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)</i></p> | |
| <p>Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemidlet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemidlet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene (ja/nei)?</p> <p>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes nyelegemidler@sykehusinnkjop.no samtidig med at dokumentasjon sendes til Statens legemiddelverk for metodevurdering.</p> <p>Informasjon og skjema: https://www.sykehusinnkjop.no/om-oss/informasjon-og-opplering/</p> | |
| <p>Andre relevante opplysninger?</p> | |

Saksnummer: 081-24 Oppsummering fra sekretariatet

ID2022_111 Tafasitamab (Minjuvi) i kombinasjon med lenalidomid, etterfulgt av tafasitamab monoterapi, til behandling hos voksne pasienter med residiverende eller refraktært diffust storcellet B-cellelymfom (DLBCL) som ikke er kandidater for autolog stamcelletransplantasjon (ASCT). (Anmodning om revurdering)

Informasjon om tidligere saksbehandling i Nye metoder:

- Statens legemiddelverk (nå Direktoratet for medisinske produkter, DMP) har tidligere utarbeidet en metodevurdering, og Beslutningsforum for nye metoder har, senest den 23.10.2024, besluttet at metoden ikke innføres:
 1. Tafasitamab (Minjuvi) innføres ikke i kombinasjon med lenalidomid, etterfulgt av tafasitamab monoterapi, til behandling hos voksne pasienter med residiverende eller refraktært diffust storcellet B-cellelymfom (R/R DLBCL) som ikke er kandidater for autolog stamcelletransplantasjon (ASCT).
 2. Det er ikke dokumentert en klinisk nytte som står i et rimelig forhold til prisen på legemidlet.

Kort informasjon fra anmodningen om revurdering (vedlagt):

- Den som anmoder om revurdering, er leverandøren Incyte.
- Leverandører viser til at det nå foreligger 5-års oppfølgingsdata fra registeringsstudien L-MIND og publiserte Real World Data (data «fra den virkelige verden») for bruken av tafasitamab + lenalidomid til behandling av R/R DLBCL.
- Leverandøren mener at Real World dataene kompletterer dataene i L-MIND-studien og at de lange oppfølgingsdataene sammen med disse adresserer noen av de største begrensingene som ble beskrevet i den forrige metodevurderingen.
- Forventer å kunne levere dokumentasjon til en metodevurdering hos DMP i Q3 2024.

Egnehetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (vedlagt):

- Legemiddelverket (nå DMP) har tidligere metodevurdert tafasitamab til aktuell indikasjon. Metodevurderingen lå til grunn da Beslutningsforum for nye metoder besluttet å ikke innføre behandlingen 23.10.2023.
- På tidspunkt for metodevurderingen forelå ikke tilstrekkelige kliniske data til å kunne etablere relativ effekt mot dagens behandling. Dette var bl.a. knyttet til at den kliniske studien som ligger til grunn for MT, L-MIND, er en fase II-studie uten kontrollarm. Leverandør viser nå til at det foreligger data med lengre oppfølgingstid fra denne studien.
- Selv om det foreligger nye oppfølgingsdata, er studien fortsatt enarmet. DMP mener det ikke er vesentlig endret grunnlag for å belyse nytten av behandlingen sammenlignet med dagens behandlingsalternativer.
- Legemiddelverket (nå DMP) viser i den gjennomførte metodevurderingen til at det forventes resultater fra en fase 2/3-studie innen juli 2024 (BE-MIND; tafasitamab+bendamustin vs. rituksimab+bendamustin), og at data fra denne studien trolig vil egne seg bedre til å beregne kostnadseffektivitet ved bruk av tafasitamab (i en annen kombinasjon) for pasienter med R/R DLBCL.
- DMP vurderer at opplysningene som leverandøren viser til, ikke vil kunne resultere i en ny metodevurdering som vil endre gjeldende beslutning i Beslutningsforum for nye metoder.

Nye metoder - Request for reassessment of medical product

A health technology developer seeking reassessment of a medicinal product/indication previously assessed by Nye metoder, should contact Nye metoder using this form, provided requirements detailed below are met.

Please send the completed form to Nye metoder by e-mail: nyemetoder@helse-sorost.no.

A request for reassessment must apply to the same population as the original assessment. If the request relates to another population or a subpopulation, then the form titled "Request for assessment of medicinal product" should be used (see nyemetoder.no).

If there is no new clinical data, a request for reassessment is not warranted. If only the cost of the new method has changed since the previous assessment, contact the Norwegian Hospital Procurement Trust (Sykehusinnkjøp HF) directly¹.

This form must be completed in its entirety. Based on the request, Nye metoder will assess whether there are grounds for commissioning a reassessment. The request must be justified.

Information about Nye metoder can be found online (nyemetoder.no). Please contact Sekretariatet for nye metoder if you have any questions.

Please note: The form will be published in its entirety.

The submitter is aware that the form will be published in its entirety (**tick**):

| | |
|---|--|
| 1 Contact information | |
| Date | |
| Health technology developer | |
| Name | |
| Position | |
| Telephone | |
| E-mail | |
| External representation Name/organization Phone/e-mail <i>PLEASE NOTE: For external representation, please attach an authorisation/power of attorney</i> | |

¹Norwegian Hospital Procurement Trust e-mail : nyelegemidler@sykehusinnkjop.no

2 Medical product overview and assessment history

| | |
|---|--|
| Nye Metoder ID Number | |
| Active substance | |
| Trade name | |
| <p>Indication</p> <p><i>A request for reassessment must apply to the same population as the original assessment. If the request relates to another population or a subpopulation, the form titled "Request for assessment of medicinal product" should be used (see nyemetoder.no).</i></p> | |
| <p>Current decision from Beslutningsforum for nye metoder (Nye metoder's Decision Forum)</p> <p><i>Date?</i></p> | |

3 Basic prerequisites for reassessment

| | |
|---|--|
| <p>Clinical practice</p> <p><i>Is the description of Norwegian clinical practice in the original assessment still applicable, including comparator, prior treatment etc.?</i></p> <p><i>Briefly describe.</i></p> | |
| <p>New data for the medicinal product</p> <p><i>Briefly describe why there are grounds for a reassessment of the method. Describe the available new data</i></p> | |
| <p>Expected date (quarter/year) for submission of documentation to Norwegian Medicines Agency</p> <p><i>Dates must be stated</i></p> | |
| <p>New data for the comparator</p> <p><i>Describe any new data for the comparator</i></p> | |

Other conditions

Describe any other conditions that have changed since the previous assessment

4 Relevance of new data**New data**

Give an account of the new data compared to the original results that formed the basis for the current decision by Beslutningsforum for Nye metoder (Nye metoder's Decision Forum)

Describe how the new data can help meet the prioritisation criteria.

Saksnummer 082-24 Oppsummering fra sekretariatet

ID2024_028 Elektrostimulering med lavspent, pulserende strøm til behandling av kroniske sår for å øke sårtilheling (metodevarsel)

Kort om metoden fra metodevarselet:

- Metoden gjelder elektrisk stimuleringsutstyr med lavspent pulserende strøm for sårtilheling.
- Det er identifisert to typer utstyr fra to produsenter. Accel Heal Solo og WoundEL, begge er CE-merket i klasse II.
- Utstyret kan brukes av helsepersonell, pasienter og pårørende, i sykehus, sykehjem og andre pleiefasiliteter.
- Det er uklart for DMP hvor finansieringsansvaret for metoden vil ligge.
- Accel-Heal Solo er indisert for kroniske sår, som venøse leggsår, diabetiske fotsår, trykksår, og sår som følge av arteriell insuffisiens, samt enkelte akutte sår som ikke gror.
- WoundEL er indisert for trykksår (stadium 3-4), diabetiske fotsår og leggsår.
- Metodeprinsippet går ut på å feste elektroder til huden ved såret, og sende lavspent pulserende strøm gjennom elektrodene til såret i en gitt tidsperiode.
- Metoden skal øke kapillærtetthet og vaskularisering, redusere smerte, promotere granulering, redusere ødem, øke transkutan oksygentensjon i vevet, øke kollagen og dannelse av kollagenase.
- Pasientgrunnlag: Estimert prevalens er som følger
 - o Trykksår grad 1-4: ca. 18 % av pasienter på sykehus i Norge.
 - o Diabetiske fotsår: 7-10 % av personer med diabetes.
 - o Venøse leggsår: 0,1-1% i Norge, utgjør 60-70% av alle leggsår.
- Det er identifisert to metodevurderinger, en fra Ontario Health fra 2017 og en fra CADTH fra 2023. Det er identifisert tre systematiske oversikter, hvorav en Cochrane-oversikt. Det er også oppgitt ni systematiske oversikter og metaanalyser.
- Tidligere helseøkonomisk vurdering av elektrostimuleringsbehandling av sår resulterte i noen forbedrede kliniske og pasientrapporterte utfall, for samme eller mindre kostnad som standardbehandling, ved 24 uker etter behandling.
- Helseøkonomisk vurdering inkludert i en metodevurdering vil kunne evaluere kostnadseffektivitet i norsk setting.
- Bestillingsanbefaling: Dersom det ønskes en nasjonal vurdering av metoden, virker det mest hensiktsmessig å gjøre en forenklet metodevurdering ettersom:
 - o Det finnes flere typer CE-merket utstyr.
 - o Det kan tas utgangspunkt i en nylig publisert en metodevurdering fra CADTH (Canada, 2023) som har undersøkt klinisk effekt og kostnadseffektivitet ved elektrostimuleringsbehandling av ulike typer kroniske sår.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.



NYE METODER

- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- Ingen innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Retningslinjesekretariatet: Påvirker ingen nasjonale faglige retningslinjer eller handlingsprogram.



Metodevarese

1. Status og oppsummering

Elektrostimulering med lavspent, pulserende ström til behandling av kroniske sår for å øke sårtilheling

1.1 Oppsummering

Elektrisk stimulering av kroniske sår for å øke tilheling. Lavspent pulserende ström sendes gjennom elektroder festet til huden ved såret i gitte tidsintervall. Det finnes flere typer CE-merket utstyr, indisert for ulike typer kroniske sår, som f.eks. trykksår og leggsår. Det finnes flere systematiske oversikter og metodevurderinger, inkludert en fra CADTH (Canada) fra 2023.

Populasjon: personer med kroniske sår, som f.eks. fotsår, diabetiske fotsår, liggesår, etc

Komparator: standard behandling av kroniske sår

Intervensjon: elektrostimulering med lavspent, pulserende ström

Utfall: sårtilheling, uønskede hendelser

Forslag til fagekspert: sårsykepleiere, karkirurger, endokrinologer, etc

1.2 Metodetype

Medisinsk utstyr, diagnostikk og tester

1.3 Fagområde

Hovedområde:
1: Hudsykdommer
2: Velg fagområde
3: Velg fagområde

Underområde:
Velg eventuelt underområde

1.4 Tagger/søkeord

- Tilhørende diagnostikk
- Genterapi
- Medisinsk stråling
- Vaksine

1.5 Status for godkjenning

- Markedsføringstillatelse
- FDA godkjenning
- CE-merking

Kommentar:

1.6 Finansieringsansvar

- Spesialisthelsetjenesten
 - Folketrygd
 - Kommune
 - Annet
- Det er uklart for oss hvor ansvar for finansiering vil ligge.

1.7 Status for bruk

- Under utvikling
- Under innføring
- Revurdering
- Brukes i Norge
- Brukes i EU/EØS
- Ny/endret indikasjon
- Ny/endret metode

Kommentar:

1.8 Bestillingsanbefaling

1: Fullstendig metodevurdering

- Effekt
- Sikkerhet
- Helseøkonomi
- Organisasjon
- Etikk
- Jus

3: Forenklet metodevurdering

- A: Effekt, sikkerhet og helseøkonomi
- B: Effekt og sikkerhet
- C: Helseøkonomi
- D: Kartleggingsoversikt

2: Hurtig metodevurdering baseres på dokumentasjonspakke fra produsent

Kommentar: dersom det ønskes en nasjonal vurdering av metoden, virker det mest hensiktsmessig med forenklet metodevurdering ettersom 1) det finnes flere typer CE-merket utstyr, og 2) det kan tas utgangspunkt i nylig publisert metodevurdering fra Canada (CADTH; 2023) som har undersøkt klinisk effekt og kostnadseffektivitet ved bruk av elektrostimulering av kroniske sår.

2. Punktoppsummering

Elektrostimulering med lavspent, pulserende strøm til behandling av kroniske sår for å øke sårtilheling

2.1 Om metoden

- Metodeprinsipp: lavspent pulserende strøm sendes gjennom elektroder festes til huden ved såret, i et gitt tidsintervall
- Hensikt: skal øke sårtilheling og redusere smerte
- Utstyr: har identifisert to elektrostimuleringsutstyr for sårbehandling, begge er CE-merket
 - Accel-Heal (Storbritannia)
 - WoundEL (Frankrike)
- Indikasjon: ulike typer kroniske sår, f.eks. trykksår, venøse leggsår og diabetiske fotsår
- Kontraindikasjon: aktiv kreft, og maligne sår
- Pasientgrunnlag: vanskelig å beregne nøyaktig, men estimert prevalens er som følger:
 - Trykksår grad 1-4: ca. 18 % av pasienter på sykehus i Norge
 - Diabetiske fotsår: 7-10 % av personer med diabetes
 - Venøse leggsår: 0,1-1% i Norge, utgjør 60-70% av alle leggsår

2.2 Om dokumentasjonsgrunnlaget

- Metodevurderinger
 - Ontario Health (2017) → omhandler trykksår
 - CADTH (2023) → sammenlikner effekt og kostnader med standard behandling og negativt trykk-behandling, omhandler alle typer kroniske sår.
- Systematiske oversikter
 - Identifiserte tre systematiske oversikter, hvorav én Cochrane-oversikt, som har undersøkt effekt av elektrostimulering av henholdsvis trykksår og venøse leggsår.
 - Det oppgis ni systematiske oversikter og metaanalyser på nettsidene til produsent av Accel-Heal-utstyret

2.3 Om helseøkonomi

- Tidligere helseøkonomisk vurdering av elektrostimuleringsbehandling av sår resulterte i noen forbedrede kliniske og pasientrapporterte utfall, for samme eller mindre kostnad som standardbehandling, ved 24 uker etter behandling.
- Helseøkonomisk vurdering inkludert i en metodevurdering vil kunne evaluere kostnadseffektivitet i norsk setting.

2.4 Om bestillingsanbefaling

- Metoden er ikke tidligere vurdert i Nye metoder-systemet
- Dersom det ønskes en nasjonal vurdering av metoden, virker det mest hensiktsmessig å gjøre en forenklet metodevurdering.
- Begrunnelse er som følger:
 - Det finnes ulike typer elektrostimuleringsutstyr beregnet for sårbehandling som er CE-merket
 - Det er nylig publisert en metodevurdering fra CADTH (Canada, 2023) som har undersøkt klinisk effekt og kostnadseffektivitet ved elektrostimuleringsbehandling av ulike typer kroniske sår.

3. Beskrivelse av metoden

Elektrostimulering med lavspent, pulserende strøm til behandling av kroniske sår for å øke sårtilheling

| | |
|---------------|---|
| Generisk navn | Elektrisk stimuleringsutstyr med lavspent, pulserende strøm for sårtilheling |
| Produktnavn | AccelHeal Solo, WoundEL® |
| Produsenter | AccelHeal Technologies Limited (Storbritannia), WoundEL Health Care (Frankrike) |

3.1 Beskrivelse av metoden

| | |
|---|--|
| <p>Status og prinsipp for metode</p> | <p>Metoden omhandler elektrostimulering av kroniske sår for å forbedre tilhelingsprosessen. Metodeprinsippet går ut på å feste elektroder til huden ved såret, og sende lavspent pulserende strøm gjennom elektrodene til såret i en gitt tidsperiode.</p> <p>Vi har identifisert to elektrostimuleringsutstyr for sårbehandling, fra to produsenter: Accel-Heal Solo, fra Accel-Heal Technologies Limited (Storbritannia) [1], og WoundEL® fra WoundEL Health Care (Frankrike) [2]. Begge utstyrene er CE-merket klasse II. Det oppgis at utstyrene kan brukes av helsepersonell, pasienter og pårørende, i sykehus, sykehjem og andre pleiefasiliteter, og hjemme [3, 4].</p> <p>Accel-Heal Solo [5]: indisert for kroniske sår, som venøse leggsår, diabetiske fotsår, trykksår, og sår som følge av arteriell insuffisiens, samt enkelte akutte sår som ikke gror. Gir lavspent, mono- og bifasisk pulsert strøm gjennom et ferdigprogrammert, automatisk 30 minutters program: 40-500 µA, med frekvens 10-900 Hz. To elektroder festes til huden på hver side av såret, koblet med ledninger til Accel-Heal Solo device, som kan festes i ekstern bandasje, eller festes vha stropp eller klips. Behandlingen repeteres annenhver time de første 24 timene, og hver fjerde time i de neste 24 timene. Hele behandlingen varer i 12 dager. Elektroder kan bli værende maksimalt 7 dager, eller kan byttes oftere samtidig med skift av bandasje. Se illustrasjon av utstyret i Figur 1.</p> <p>WoundEL® [3, 6]: indisert for trykksår (stadium 3-4), diabetiske fotsår og leggsår. Gir lavspent monofasisk pulsert strøm. Utstyret inneholder WoundEL device, bandasjeelektrode, og dispersjonselektrode. Såret rengjøres ihht sårtype, bandasjeelektrode legges oppå såret (dersom såret er stort kan det legges på flere bandasjeelektroder overlappende), dispersjonselektroden festes på en frisk del av huden, mer enn 30 cm fra bandasjeelektroden. Ampere økes til pasient begynner å føle prikking i huden, og reduseres deretter med én mA. Gjennomsnittlig brukes 20-25 mA. Automatisk program varer 30 minutter og gjentas én gang i løpet av 24 timer, minst seks timer etter forrige behandling. Dispersjonselektroden fjernes etter hver behandling, men kan brukes opp til 30 dager. Bandasjeelektroden byttes hver 2-4 dager. Se illustrasjon av utstyret i Figur 2.</p> |
| <p>Potensiell nytte</p> | <p>Metoden skal øke kapillærtetthet og vaskularisering, redusere smerte, promotere granulering, redusere ødem, øke transkutan oksygentensjon i vevet, øke kollagen og dannelse av kollagenase [3, 7].</p> |
| <p>Sikkerhetsaspekter og risikoforhold</p> | <p>De to produsentene oppgir noe ulike kontraindikasjoner, men begge oppgir at aktiv kreft, og maligne sår er kontraindisert for bruk av metoden. WoundEL oppgir f.eks. at personer med epilepsi, personer med pacemaker, og gravide er kontraindisert for bruk av metoden [3], mens Accel-Heal Solo oppgir at personer med disse tilstandene bør vurderes av lege før eventuell bruk av metoden [4, 5]. Uansett: elektroder skal ikke plasseres på ødelagte kapillærer, åreknuter (varicer), og hovedarterier. Mulige bivirkninger/uønskede hendelser inkluderer sensitivitet/allergi til bandasjeelektroden, rødhet i hud, maserasjon (oppbløting) i sårets ytterkant, prikking i huden, og økt følelse av smerte (svært sjelden) [3, 4].</p> |

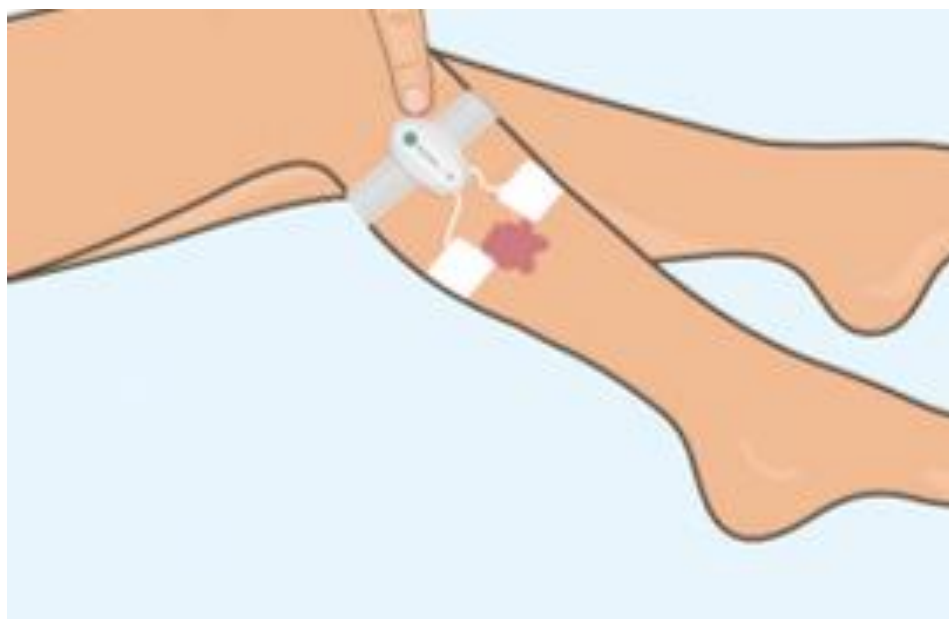
| | |
|--|--|
| Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag | <p>Sår er en skade i hud som kan skyldes ytre påvirkning (skade som f.eks. stikk, slag, forbrenning, etc), eller sykdom (ulcus). Naturlig prosess for sårtilheling deles inn i fire faser: 1) hemostase: koagulasjonsfase (stanse blødning), 2) inflammasjon: rengjøringsfase (fjerne rester etter celledød og forhindre infeksjon), 3) proliferasjon: nydannelsesfase (sårhulen fylles opp med nye celler), 4) remodelering og modning (såret lukkes og det dannes arr) [8, 9]. Åpne sår regnes som kroniske når tilhelingsprosessen ikke fungerer og såret dermed ikke gror på egen hånd uten langvarig behandling eller kirurgisk inngrep [10]. Kroniske sår utgjør en risiko for infeksjon, og i verste fall tidlig død [11]. I tillegg kan denne type sår også være smertefulle, og redusere mobilitet og livskvalitet for pasient [11]. Eksempler på kroniske sår er trykksår og leggsår.</p> <p>Trykksår eller liggensår (decubitus) forårsakes av vedvarende redusert sirkulasjon i vev, vanligvis som følge av langvarig trykk mot hud, f.eks. ved langvarig sengeleie, eller rullestolbruk [12, 13]. Sårene oppstår vanligvis på vekt bærende hudområder hvor knokler presser mot huden, som f.eks. hæl, hofta, og sitteknuter [12, 13]. Trykksår kan klassifiseres i henhold til dybde i hud og underliggende vev, fra grad 0 (intakt hud, men rødhet og smerte) til grad 4 (såret går gjennom alle vevslag til muskel og bein) [13]. Risikofaktor for utvikling og opprettholdelse av trykksår er f.eks. økende alder, nevropati, dårlig ernæringsstatus, fuktig hud og infeksjon [13].</p> <p>Tilsvarende som trykksår, forårsakes også leggsår av vedvarende redusert sirkulasjon i vev, men da som følge av venøs eller arteriell sykdom, som f.eks., venøs insuffisiens eller aterosklerotisk sykdom, og/eller nevropati, f.eks. som følge av dårlig regulert diabetes [14, 15].</p> <p>Det er vanskelig å beregne nøyaktig pasientgrunnlag for behandling med elektrostimulering, da de beskrevne utstyrene er indisert for bruk ved ulike typer kroniske sår. Forekomsten (prevalens) av vanlige typer kroniske sår er beskrevet under:</p> <ul style="list-style-type: none">- Trykksår grad 1-4: ca. 18 % av pasienter på sykehus i Norge [16, 17].- Diabetiske fotsår: 7-10 % av personer med diabetes [18].- Venøse leggsår: 0,1-1% i Norge, utgjør 60-70% av alle leggsår [19].- Arterielle leggsår: mindre vanlig enn venøse leggsår, utgjør 5-10 % av alle leggsår [20]. |
| Dagens behandling | <p>Behandling av kroniske sår kan være svært utfordrende, og man forsøker derfor i størst mulig grad forebyggende tiltak [11, 13].</p> <p>Tiltak for å forhindre trykksår inkluderer bl.a. trykkfordelende utstyr, hyppig stillingsforandring, og tidlig mobilisering [11]. Forebygging av trykksår inngår som innsatsområde i Pasientsikkerhetsprogrammet [11]. Behandling av trykksår involverer lokal sårbehandling med bandasjering for å holde såret rent og fuktig [13]. Alvorlige trykksår (grad 3-4) kan også behandles kirurgisk [13]. I tillegg vil trykkavlastning, og optimalisert behandling av eventuelle tilleggssykdommer, som f.eks. hjertesvikt og diabetes, være viktige i behandlingsforløpet [13]. Det er også beskrevet andre lokale behandlingalternativer, som f.eks. trykkbølger, hyperbar oksygenbehandling, og vakuumenterapi, skjønt det er uklart om grad disse er i utstrakt bruk i behandling av kroniske trykksår [13, 21].</p> <p>Tilsvarende som ved trykksår, omfatter behandling av leggsår lokal sårbehandling, samt kirurgisk behandling. Diabetiske fotsår utgjør ca. 85 % av alle amputasjoner hos personer med diabetes [22]. I tillegg vil optimalisering av behandling av eventuelle tilleggssykdommer være viktige i behandlingsforløpet, særlig ved behandling av diabetiske fotsår.</p> |

| | |
|---------------------|---|
| Helseøkonomi | <p>Metodevurderingen fra CADTH [23] omtaler én helseøkonomisk vurdering fra Storbritannia som omhandler elektrostimuleringsbehandling sammenlignet med liksom behandling for venøse leggsår [24]. Analysene fant en ICER (inkrementell kostnadseffektivitets ratioen) på GBP 4 480 per QALY (kvalitetsjusterte leveår) ved 8 uker; GBP 2 655/QALY ved 16 uker og kostnadsbesparelser ved 24 uker etter behandling.</p> <p>Vi fant at kostandene til selve utstyret ligger på omtrent EUR 320 (ekskludert MVA) for en pakke med 6 stk./48 timers set tilsvarende materiell for 12-dagers behandling (prisen til Accel-Heal [25]. Disse inkluderer ikke kostnadene knyttet til sårstell og konsultasjonskostnader i f.eks. poliklinisk setting.</p> <p>Helseøkonomisk vurdering inkludert i en metodevurdering som omfatter samtlige kostander knyttet til tiltaket sammenlignet med relevant komparator for norsk klinisk praksis i lys av helsegevinstene forbundet med alternativene, vil kunne evaluere kostnadseffektivitet i norsk setting.</p> |
|---------------------|---|

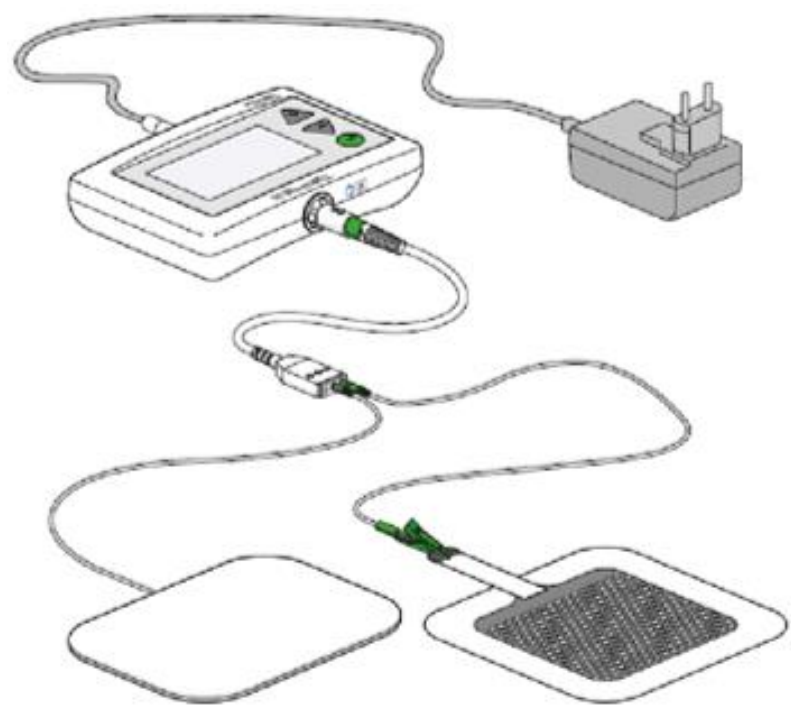
3.2 Referanser

1. Accel-Heal Technologies Limited. *Accel-Heal Solo*. [Nettside] [cited 2023 17.11.2023]; Available from: <https://www.accelheal.com/accel-heal-solo/>.
2. WoundEL Health Care. *Electrostimulation*. [Nettside] [cited 2023 17.11.2023]; Available from: <https://www.woundel.com/en/content/6-electrostimulation>.
3. WoundEL Health Care, *WoundEL - Instructions for use*. 2021, WoundEL Health Care, .
4. Accel-Heal Technologies Limited, *Accel-Heal Solo Instructions for use*. 2021, Accel-Heal Technologies Limited, .
5. Accel-Heal Technologies Limited. *Clinician FAQs*. [Nettside] [cited 2023 30.11.2023]; Available from: <https://www.accelheal.com/clinician-faqs/>.
6. WoundEL Health Care. *WoundEL Device*. [Nettside] [cited 2023 30.11.2023]; Available from: <https://www.woundel.com/en/accueil/19-woundel-device.html>.
7. Accel-Heal Technologies Limited. *Clinicians*. [Nettside] [cited 2023 05.03.2023]; Available from: <https://www.accelheal.com/clinicians/>.
8. Wilkinson, H.N. and M.J. Hardman, *Wound healing: cellular mechanisms and pathological outcomes*. Open Biol, 2020. **10**(9): p. 200223.
9. Langøen, A. and M. Gürgen, *Sårhelingsprosessen – enkelt forklart*. Sykepleien, 2019. **2019**; **107** (2)
10. Harbo, S. *Kronisk sår*. [Nettside] 2019 07.01.2019 [cited 203 05.03.2023]; Available from: https://sml.snl.no/kronisk_s%C3%A5r.
11. I trygge hender 24-7. *Trykksår*. [Nettside] [cited 2024 06.03.2024]; Available from: <https://www.itryggehender24-7.no/reduser-pasientskader/trykksar>.
12. Langeland, T. *Liggesår*. 2018 29.06.2018 [cited 2024 06.03.2024]; Available from: <https://sml.snl.no/ligges%C3%A5r>.
13. Knudsen, C.W. and K.A. Tønseth, *Trykksår - forebygging og behandling*. Tidsskr Nor Lægeforen, 2011. **5**(131).
14. Langøen, A. *Leggsår*. [Nettside] 2023 22.02.2023 [cited 2024 06.03.2024]; Available from: <https://sml.snl.no/leggs%C3%A5r>.
15. London, N.J. and R. Donnelly, *ABC of arterial and venous disease. Ulcerated lower limb*. BMJ, 2000. **320**(7249): p. 1589-91.
16. Bredesen, I.M., et al., *The prevalence, prevention and multilevel variance of pressure ulcers in Norwegian hospitals: a cross-sectional study*. Int J Nurs Stud, 2015. **52**(1): p. 149-56.
17. Holte, H., V. Underland, and E. Hafstad, *Oppsummert forskning om forebygging av trykksår* 2016, Folkehelseinstituttet: Norge.
18. Løge, I. *Diabetisk fotsår*. [Nettside] 2024 28.02.2024 [cited 15.03. 2024]; Available from: <https://legehandboka.no/handboken/kliniske-kapitler/endokrinologi/tilstander-og-sykdommer/diabetes-mellitus/diabetisk-fotsar>.
19. Slagsvold, C.-E. and E. Stranden, *Venøse leggsår*. Tidsskr Nor Lægeforen, 2005. **7**(125).
20. Stranden, E. and C.-E. Slagsvold, *Arterielle sår i underekstremiteten*. Tidsskr Nor Lægeforen, 2005. **7**(125).
21. Hofstad, E., - *Dette såret har vært en mare*. Sykepleien, 2019. **2019**; **107** (2)
22. Gürgen, M., A. Kaal, and E. Witsø, *Diabetiske fotsår*. Tidsskr Nor Lægeforen, 2005. **7**(125).
23. Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health, *Electrostimulation Devices for Wounds* 2023, Canadian Journal of Health Technologies: Canada.
24. Guest, J.F., et al., *Cost-effectiveness of an electroceutical device in treating non-healing venous leg ulcers: results of an RCT*. J Wound Care, 2018. **27**(4): p. 230-243.
25. Hibernia Medical Shop. *Accel-Heal 12 Day Treatment*. 2024 14.03.2024]; Available from: <https://www.hiberniamedical.ie/shop/woundcare-dressings/dressing-packs-woundcare-dressings/accel-heal-12-day-treatment/>.
26. Accel-Heal Technologies Limited. *Evidence Supporting EST*. [Nettside] [cited 2024 08.03.2024]; Available from: <https://www.accelheal.com/clinical-evidence/>.
27. Accel-Heal Technologies Limited. *Evidence supporting Accel-Heal*. [Nettside] [cited 2024 08.03.2024]; Available from: <https://www.accelheal.com/evidence-supporting-accel-heal/>.

28. Health Quality Ontario, *Electrical Stimulation for Pressure Injuries: A Health Technology Assessment*. Ont Health Technol Assess Ser, 2017. **17**(14): p. 1-106.
29. Hao, Q., J. Horton, and A. Hamson, *Electrostimulation Devices for Wounds*. 2023, CADTH: Canadian Journal of Health Technologies.
30. Arora, M., et al., *Electrical stimulation for treating pressure ulcers*. Cochrane Database of Systematic Reviews, 2020(1).
31. Borges, D., et al., *The effect of wound electrical stimulation in venous leg ulcer healing-a systematic review*. J Vasc Surg Venous Lymphat Disord, 2023. **11**(5): p. 1070-1079.e1.
32. Szoltys-Brzezowska, B., et al., *Electrical Stimulation in the Treatment of Pressure Injuries: A Systematic Review of Clinical Trials*. Adv Skin Wound Care, 2023. **36**(6): p. 292-302.
33. Avendaño-Coy, J., et al., *Electrical microcurrent stimulation therapy for wound healing: A meta-analysis of randomized clinical trials*. J Tissue Viability, 2022. **31**(2): p. 268-277.
34. Barnes, R., et al., *Electrical stimulation vs. standard care for chronic ulcer healing: a systematic review and meta-analysis of randomised controlled trials*. Eur J Clin Invest, 2014. **44**(4): p. 429-40.
35. Chen, Z., et al., *Electric Stimulation as an Effective Adjunctive Therapy for Diabetic Foot Ulcer: A Meta-analysis of Randomized Controlled Trials*. Adv Skin Wound Care, 2020. **33**(11): p. 608-612.
36. Gardner, S.E., R.A. Frantz, and F.L. Schmidt, *Effect of electrical stimulation on chronic wound healing: a meta-analysis*. Wound Repair Regen, 1999. **7**(6): p. 495-503.
37. Girgis, B. and J.A. Duarte, *High Voltage Monophasic Pulsed Current (HVMP) for stage II-IV pressure ulcer healing. A systematic review and meta-analysis*. J Tissue Viability, 2018. **27**(4): p. 274-284.
38. Khouri, C., et al., *Hierarchical evaluation of electrical stimulation protocols for chronic wound healing: An effect size meta-analysis*. Wound Repair Regen, 2017. **25**(5): p. 883-891.
39. Lala, D., et al., *Electrical stimulation therapy for the treatment of pressure ulcers in individuals with spinal cord injury: a systematic review and meta-analysis*. Int Wound J, 2016. **13**(6): p. 1214-1226.
40. Liu, L., J. Moody, and A. Gall, *A Quantitative, Pooled Analysis and Systematic Review of Controlled Trials on the Impact of Electrical Stimulation Settings and Placement on Pressure Ulcer Healing Rates in Persons With Spinal Cord Injuries*. Ostomy Wound Manage, 2016. **62**(7): p. 16-34.
41. Rabbani, M., et al., *Making Sense of Electrical Stimulation: A Meta-analysis for Wound Healing*. Ann Biomed Eng, 2024. **52**(2): p. 153-177.



Figur 1: Accel-Heal Solo utstyr [1]



Figur 2: WoundEL utstyr [3]

4. Dokumentasjonsgrunnlag

Elektrostimulering med lavspent, pulserende strøm til behandling av kroniske sår for å øke sårtilheling

4.1 Relevante og sentrale kliniske studier

Vi har ikke søkt spesifikt etter kliniske primærstudier. Ifølge Accel-Heals nettsider skal det foreligge over 35 randomiserte kontrollerte studier (RCTer) som har undersøkt effekt ved bruk av elektrostimulering av kroniske sår [26], og totalt 28 artikler, hvorav to RCTer, som spesifikt har undersøkt bruk av Accel-Heal [27]. I søk etter pågående kliniske studier, fant vi flere registrerte studier som var ferdigstilte, noen med ukjent status, og én pågående RCT med estimert ferdigstilling i 2024 (se tabell under).

4.2 Pågående kliniske studier

| Populasjon (n=antall deltakere) | Intervensjon | Kontrollgruppe | Hovedutfallsmål | Studienummer | Tidsperspektiv resultater |
|---------------------------------|--------------|---------------------|-----------------|-----------------------------|---------------------------|
| Venøse leggsår, ≥18 år, n=80 | WoundEL | Standard behandling | Tilhelingsrate | NCT04980898 | 2024 Recruiting |
| | | | | | |

4.3 Metodevurderinger og –varsel

| | |
|---|--|
| Metodevurdering - nasjonalt/lokalt - | Vi har ikke identifisert noen nasjonale eller lokale (mini) metodevurderinger som omhandler elektrostimulering av kroniske sår. |
| Metodevurdering / systematiske oversikt - internasjonalt - | <p>Metodevurderinger</p> <p>Vi har identifisert to metodevurderinger fra Canada som begge omhandler bruk av elektrostimulering for behandling av kroniske sår [28, 29]. Metodevurderingen fra Ontario Health (2017) omhandler elektrostimulering til behandling av trykksår [28], mens metodevurderingen fra CADTH (Canada's Drug and Technology Agency; 2023) omhandler klinisk effekt og kostnadseffektivitet ved bruk av elektrostimulering uavhengig av type kronisk sår, sammenliknet med standard behandling og med negativt trykk-behandling [29]. Begge metodevurderingene er basert på systematiske oversikter og RCTer.</p> <p>Systematiske oversikter og litteraturoversikter</p> <p>Vi har identifisert tre systematiske oversikter som omhandler elektrostimulering til behandling ulike typer kroniske sår [30-32]. To av oversiktene (hvorav den ene er en Cochrane oversikt) har undersøkt effekt av metoden i behandling av trykksår [30, 32], mens den tredje har fokusert på behandling av venøse leggsår [31]. På nettsidene til Accel-Heal er det referert til ni systematiske oversikter og metaanalyser (1999-2022) som omhandler bruk av elektrostimulering i behandling av kroniske sår [30, 33-40].</p> <p>Vi har i tillegg identifisert en litteraturoversikt fra 2024 som oppsummerer og analyserer ulike fremgangsmåter for bruk av elektrostimulering i behandling av kroniske sår [41].</p> |
| Metodevarsel | <p>Vi har ikke identifisert noen tidligere metodevarsler som omhandler elektrostimulering av kroniske sår.</p> <p>Med hensyn på behandling og oppfølging av kroniske sår, har følgende metodevarsler tidligere blitt behandlet i Nye metoder: ID2022_138 Topikal oksygenterapi til behandling av kroniske diabetiske fotsår eller andre ikke-helende sår (ikke gitt nasjonalt oppdrag), og ID2022_010 E-konsultasjoner til bruk ved behandling av kroniske sår (ikke gitt nasjonalt oppdrag).</p> |

5. Versjonslogg

Elektrostimulering med lavspent, pulserende strøm til behandling av kroniske sår for å øke sårtilheling

| 5.1 Dato | 5.2 Endringer gjort i dokument |
|----------|--------------------------------|
|----------|--------------------------------|

| | |
|------------|--------------------|
| 20.03.2024 | Laget metodevarsel |
|------------|--------------------|

| | |
|---|--------------------------------|
| Klikk eller trykk for å skrive inn en dato. | [Skrive hva som er gjort nytt] |
|---|--------------------------------|

| | |
|---|--------------------------------|
| Klikk eller trykk for å skrive inn en dato. | [Skrive hva som er gjort nytt] |
|---|--------------------------------|

Beskrivelse: Kan skrive inn dato for hver endring i dokumentet.

Saksnummer: 083-24

Notat til Bestillerforum for nye metoder

| | |
|--------------|---------------------------------------|
| Til: | Bestillerforum for nye metoder |
| Fra: | Direktoratet for medisinske produkter |
| Dato: | 06.05.2024 |

Hva saken omhandler i korte trekk

ID2021_073 burosumab (Crysvita) – Indikasjon III. Behandling av FGF23-relatert hypofosfatemi hos pasienter ≥ 1 år med tumorindusert osteomalasi (TIO) assosiert med fosfataturiske mesenkymale svulster som ikke kan lokaliseres, eller ikke er egnet for kirurgisk fjerning.

Metodevarsel ble sendt til Nye metoder fra Statens legemiddelverk 23-04-2021. Oppdrag er ikke bestilt av Bestillerforum.

Bakgrunn for saken

Kyowa Kirin Norge har informert Direktoratet for medisinske produkter (DMP) om at de ikke kommer til å levere dokumentasjon til metodevurdering i denne saken. Leverandør viser til at tilstanden er svært sjelden.

Informasjon om aktuelt legemiddel:

| | |
|--|---|
| Handelsnavn | Crysvita |
| Virkestoff | Burosumab |
| ATC-kode | M05B X05 |
| Legemiddelfirma | Kyowa Kirin Norge |
| Aktuell indikasjon | Behandling av FGF23-relatert hypofosfatemi ved tumorindusert osteomalasi forbundet med fosfataturiske mesenkymale svulster som ikke kan fjernes kirurgisk eller lokaliseres, hos barn og ungdom i alderen 1 til 17 år og hos voksne. |
| Øvrige indikasjoner og status i Nye Metoder | <p>Behandling av X-bundet hypofosfatemi (XLH) hos barn og ungdom i alderen 1 til 17 år med radiografisk verifisert bensykdom, og hos voksne.</p> <ul style="list-style-type: none"> – Innført med fastsatte start/stoppkriterier til behandling av XLH hos barn og ungdom med skjelett i vekst, som ikke har tilstrekkelig effekt av konvensjonell behandling med fosfat og vitamin D (ID2018 021). Det ble vurdert at kriteriene for legemidler til særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand var oppfylt, og en høyere ressursbruk sammenlignet med andre tiltak ble akseptert. – Ikke innført til voksne med XLH (ID2019 129). |
| MT legemiddel | 19-02-2018 |
| MT aktuell indikasjon | 25-07-2022 |
| Markedsføringsstatus | Markedsført i Norge fra 01-11-2019 |
| Virkningsmekanisme | Burosumab er et humant monoklonalt antistoff som binder til og hemmer aktiviteten til fibroblast vekstfaktor 23 (FGF23). |
| Dosering og administrasjonsform | Legemidlet administreres subkutant hver 2. uke hos barn og ungdom, og hver 4. uke hos voksne. Dosen er basert på kroppsvekt, og justeres individuelt basert på serumfosfat. |
| Sykdom | Tumorindusert osteomalasi (TIO) er et ekstremt sjeldent syndrom som klinisk er preget av skjelettsmerter, brudd og muskelsvakhet. Det er forårsaket av svulster som frigjør FGF23, noe som reduserer fosfatreabsorpsjon. Svulsten kan dermed forårsake hypofosfatemi og osteomalasi. TIO forekommer vanligvis hos voksne, men syndromet kan også forekomme hos barn. Gjennomsnittsalderen er 40-45 år ved diagnosetidspunktet. |
| Dagens behandling | Tilskudd av fosfat og vitamin D er dagens standardbehandling til pasienter med svulster som ikke er egnet for kirurgisk fjerning. |

| | |
|-----------------------|---|
| Klinisk effekt | <p>Effekten av burosumab ved TIO er undersøkt hos 27 voksne pasienter i to enarmede fase 2-studier med åpent studiedesign. Begge studiene viste at behandling med burosumab ga en økning i serumfosfat sammenlignet med baseline, og at serumfosfatnivået ble opprettholdt over tid. Totalt var det 7 av 14 pasienter (50 %) og 9 av 13 pasienter (69 %) i de to studiene som fikk en normalisering av serumfosfat. En reduksjon i frakturer og pseudofrakturer ble observert ved skjelettskanning og røntgen.</p> <p>Fosfat og vitamin D ble seponert 2-10 uker før oppstart av behandling med burosumab. Studiene hadde heller ikke kontrollgrupper. Studiene gir derfor ikke svar på relativ effekt av burosumab sammenlignet med dagens behandling (fosfat og vitamin D).</p> <p>Hos pasienter under 18 år med TIO er det ikke utført kliniske studier med burosumab.</p> |
| Bivirkninger | De vanligste (> 10 %) bivirkningene rapportert i kliniske studier var ryggsmarter, reaksjoner på injeksjonsstedet, hodepine, tanninfeksjon, vitamin D-reduksjon, muskelspasmer, rastløse ben-syndrom, svimmelhet og forstoppelse. |
| Andre land | Metodevurdering for aktuell indikasjon er ikke utført i Sverige (TLV), Danmark (Medicinrådet), England (NICE), Skottland (SMC) eller Canada (CADTH). |
| Preparatomtale | Crysvita, INN-burosumab (europa.eu) |
| EPAR | Crysvita, INN-burosumab (europa.eu) |

Prisinformatjon

Tabellen viser tilgjengelige pakninger og priser. Legemiddelprisene er apotekets maksimale utsalgspris (maksimal AUP) med merverdiavgift (mva.).

| Handelsnavn | Legemiddelform | Styrke | Pakning | Maksimal AUP (NOK) |
|-------------|-----------------|--------|-----------------|--------------------|
| Crysvita | injeksjonsvæske | 10 mg | Hetteglass 1 ml | 41 140,00 |
| Crysvita | injeksjonsvæske | 20 mg | Hetteglass 1 ml | 82 243,80 |
| Crysvita | injeksjonsvæske | 30 mg | Hetteglass 1 ml | 123 348,90 |

I de kliniske studiene fikk pasientene burosumab hver 4. uke og gjennomsnittlig dosering varierte fra 0,67 mg/kg til 0,96 mg/kg ved ulike måletidspunkter i studiene.

Eksempelvis vil den årlige kostnaden være 3,2 millioner NOK (maks AUP med mva.) for en pasient med kroppsvekt 75 kg som får 0,8 mg/kg burosumab hver 4. uke.

Salg av legemiddelet

Tabellen under viser registrert salg i Farmalogg (<https://www.farmalogg.no>).

| År | Preparatnavn | Antall pakninger | Omsetning (NOK) |
|----------------|--------------|------------------|-----------------|
| 2020 | Crysvita | 309 | 19 536 160 |
| 2021 | Crysvita | 538 | 37 920 057 |
| 2022 | Crysvita | 548 | 39 351 473 |
| 2023 | Crysvita | 688 | 51 422 225 |
| 2024 per april | Crysvita | 175 | 13 308 630 |

Anbefaling til Bestillerforum

Basert på opplysningene gitt over, anbefaler DMP at saken tas videre til beslutning.

Legemiddelfirma har fått dette notatet til informasjon.

Direktoratet for medisinske produkter, 06-05-2024

Anette Grøvan
enhetsleder

Saksnummer: 084-24

| | |
|--------------|--------------------------------|
| Til: | Bestillerforum for nye metoder |
| Fra: | Sekretariatet for Nye metoder |
| Dato: | 23.04.2024 |

Oppfølging av metodevarsel: ID2020_113 Belatacept (Nulojix) til konvertering fra et kalsinevrin-hemmerbasert regime til et belatacept-basert regime etter transplantasjon. Oppfølging av sak 219-20, Bestillerforum 14.12.2020.**Hva saken omhandler**

Bestillerforum for nye metoder behandlet 14.12.2020 sak 219-20 om følgende metodevarsel:

ID2020_113 Belatacept (Nulojix) til konvertering fra et kalsinevrin-hemmerbasert regime til et belatacept-basert regime etter transplantasjon. Link til metodeside: [Belatacept \(Nulojix\) - Nye metoder](#)

Følgende står i protokollen fra møtet:

Det gis ikke oppdrag om metodevurdering. Metoden har vært i bruk en tid og kostnadene er begrensede. En beslutning kan først tas når MT foreligger.

Beslutning: Det gis ikke oppdrag om nasjonal metodevurdering. Saken oversendes de regionale helseforetakene som forbereder saken til beslutning.

Saken har i dette tilfellet ikke blitt videresendt til de regionale helseforetakene for beslutning.

Legemiddelindikasjonen fikk markedsføringstillatelse 01.06.2021 og har fått endret indikasjonsordlyd:

Fra

ID2020_113 Belatacept (Nulojix) til bruk i konvertering fra et kalsinevrin-hemmerbasert regime til et belataceptbasert regime etter transplantasjon.

Til

ID2020_113 Belatacept (Nulojix) i kombinasjon med kortikosteroider og en mykofenolsyre (MPA), indisert ved profylakse mot transplantatavstøting hos voksne nyretransplanterte

Saken løftes nå til Bestillerforum igjen som bes om å ta stilling til den videre saksbehandlingen.

Saksnummer: 085-24

| | |
|--------------|--------------------------------|
| Til: | Bestillerforum for nye metoder |
| Fra: | Sekretariatet for Nye metoder |
| Dato: | 15.05.2024 |

Oppdrag: ID2021_114 Axicabtagene ciloleucel (Yescarta) til behandling av residivert eller refraktær follikulært lymfom etter tre eller flere systemiske behandlinger. Innspill om endring av oppdrag fra leverandør.**Hva saken omhandler i korte trekk**

- For ID2021_114 gav Bestillerforum for nye metoder 25.10.2021 (sak 190-21) følgende oppdrag:
En hurtig metodevurdering med en kostnad-nytte vurdering (løp C) gjennomføres ved Statens legemiddelverk for axicabtagene ciloleucel (Yescarta) til behandling av residivert eller refraktær follikulært lymfom etter tre eller flere systemiske behandlinger. Prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF, LIS.
- Leverandøren kommer nå med et innspill (i skjema for anmodning) om å endre nåværende oppdrag til «løp D». Hvis oppdraget endres, kan leverandøren levere dokumentasjonen til metodevurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter i juni 2024.
- I innspillet skriver leverandøren, blant annet, at; «på samme måte som for ID2022_040 mosunetuzumab (Lunsumio) er studiene enarmede fase 1-2 studier, og det må derfor konstrueres en komparator slik vi gjorde for første indikasjon for Yescarta, hvilket mottok omfattende kritikk av DMP. Om det i det hele tatt er mulig å konkludere noe om relativ effekt, vil det bli stor usikkerhet. Vi ønsker likevel å bidra til å gjøre Yescarta tilgjengelig, og på samme måte som for mosunetuzumab, der Bestillerforum omgjorde bestillingen fra løp C til løp D ut fra samme argumentasjon som for Yescarta FL, ber vi om at bestillingen for Yescarta FL omgjøres til løp D slik at vi kan levere dokumentasjonsgrunnlag raskt.»
- Hele innspillet i vedlegg 1.

Vedlegg 1: ID2021_114 Axicabtagene ciloleucel (Yescarta) FL. Innspill om endring av oppdrag fra firma. Mottatt 15.04.2024.

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

En leverandør som ønsker et legemiddel vurdert i Nye metoder skal rette en henvendelse til sekretariatet for Nye metoder ved å bruke dette skjemaet. Ved å sende en anmodning signaliserer leverandøren at de vil sende inn dokumentasjon for vurdering av et nytt legemiddel eller en indikasjonsutvidelse for et eksisterende legemiddel.

Utfylt anmodningsskjema sendes via e-post til Nye metoder nyemetoder@helse-sorost.no.

Informasjon om Nye metoder finnes på <https://nyemetoder.no>. Kontakt sekretariatet ved spørsmål.

Anmodningen sendes tidligst ved dag 120 i vurderingsprosessen hos European Medicines Agency (EMA) for nye legemidler i normal godkjenningsprosedyre og tidligst ved dag 1 for indikasjonsutvidelser og for nye legemidler i akselerert godkjenningsprosedyre.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Nye metoder bruker anmodningen om vurdering til å planlegge vurderingsprosessen.

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet ha en plan for når de skal levere dokumentasjon.

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (**Må krysses av**):

| 1 Kontaktopplysninger | |
|---|--|
| Dato: | |
| Leverandør: | |
| Navn: | |
| Stilling: | |
| Telefon: | |
| E-post: | |
| Ekstern representasjon <i>OBS: Ved ekstern representasjon, vedlegg fullmakt</i> | |
| Navn/virksomhet | |
| Telefon/e-post | |

| 2 Legemiddelinformasjon | |
|---|--|
| Gjelder anmodningen et nytt virkestoff? | |
| Handelsnavn | |
| Generisk navn (virkestoff(er)) | |

| | |
|---|--|
| Innehaver av markedsføringstillatelse i Norge | |
| ATC-kode | |
| Administrasjonsform | |
| Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i> | |
| Hvilken indikasjon gjelder anmodningen? | |

3 Historikk

| | |
|---|--|
| Er legemidlet vurdert til andre indikasjoner tidligere i Nye metoder? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer i Nye metoder</i> | |
| Er du kjent med om andre legemidler er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer i Nye metoder</i> | |

4 Forventet tidslinje

| | |
|---|--|
| Prosedyrenummer for MT-saken i EMA | |
| Forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP positive opinion i EMA | |
| Forventet tidspunkt (måned/år) for markedsføringstillatelse (MT) i Norge | |
| Forventet tidspunkt (kvartal/år) for levering av dokumentasjon til Statens legemiddelverk <i>Tidspunkt må oppgis</i> | |

5 Diagnostikk og ressursbruk

Fyll inn der det er relevant

| | |
|---|--|
| Vil anvendelse av legemidlet kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør? | |
| Hvilken biomarkør(er) er aktuell og hvilke publikasjoner beskriver dette? | |
| <i>Henvis til publikasjoner</i> | |

| | |
|---|--|
| Kjenner dere til om diagnostikk kan utføres i offentlig helsetjeneste eller om den må utføres av ekstern leverandør? | |
| Kjenner dere til om innføring vil kreve etablering av annen/ny infrastruktur? <i>For eksempel tilpasset analysemaskin, digital patologi/AI-basert analyse, proteomikk, funksjonelle tester m.m.?</i> | |
| Pre-analytiske forhold <i>F.eks. kreves biopsiering, annen prøvetakning, prøveprosessering m.m.</i> | |
| Testutførelse: er det behov for etablering av én spesifikk test eller er biomarkør allerede etablert i helsetjenesten (f.eks. i genpanel)? | |
| Beskrivelse av avlesning av resultat inkl. dataanalyseprogram dersom det er nødvendig. | |
| Hvilke pasientgrupper må testes og hva er forventet andel funn som gir behandlingsmulighet? | |

6 Sykdommen og eksisterende behandling

| | |
|--|--|
| Sykdomsbeskrivelse <i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i> | |
| Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i> | |
| Kreftområde <i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i> | |
| Dagens behandling <i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i> | |

| | |
|---|--|
| <p>Prognose</p> <p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p> | |
| <p>Det nye legemidlets innplassering i behandlingsalgoritmen</p> | |
| <p>Pasientgrunnlag</p> <p><i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i></p> <p><i>Antall norske pasienter antatt aktuell for ny behandling</i></p> <p><i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i></p> | |

| | |
|---|--|
| <p>7 Kan legemidlet vurderes som sammenlignbart med andre legemidler og inngå i anbud?</p> | |
| <p>Er det eksisterende anbud på terapiområdet?</p> | |
| <p>Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt (for samme indikasjon)?</p> | |
| <p>Vurderer leverandøren at legemidlet er sammenlignbart med andre legemidler?</p> | |

| | | | |
|---|-----------------|-----------------|-----------------|
| <p>8 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier</p> | | | |
| | <p>Studie 1</p> | <p>Studie 2</p> | <p>Studie 3</p> |
| <p>Studie ID</p> <p><i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i></p> | | | |
| <p>Studietype og -design</p> | | | |
| <p>Formål</p> | | | |
| <p>Populasjon</p> <p><i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i></p> | | | |

| | Studie 1 | Studie 2 | Studie 3 |
|--|----------|----------|----------|
| Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i> | | | |
| Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i> | | | |
| Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i> | | | |
| Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i> | | | |
| Oppfølgingstid <i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen i Legemiddelverket samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i> | | | |
| Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i> | | | |
| Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift, årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i> | | | |

9 Igangsatte og planlagte studier

Er det pågående eller planlagte studier for legemidlet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden?

Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt

Er det pågående eller planlagte studier for legemidlet for andre indikasjoner?

10 Forventet helseøkonomisk dokumentasjon

Angi informasjon om den forventede helseøkonomiske analysen

Type helseøkonomisk analyse

F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse (Begrunn forslaget)

Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle subgrupper.

Grunnanalysen (basecase) skal omfatte hele pasientpopulasjonen omfattet av ansøkt indikasjon.

Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn for relativ effekt?

(H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm)

Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn for helserelatert livskvalitet?

Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.

11 Aktuelt for FINOSE?

Kan legemidlet være aktuelt for utredning i FINOSE (ja/nei)

Dersom nei, hvorfor ikke?

| 12 Andre relevante opplysninger Opplys om andre forhold som Nye metoder bør være oppmerksomme på. | |
|--|--|
| <p>Har dere vært i kontakt med klinikere ved norske helseforetak om dette legemidlet/indikasjonen? Ja/nei</p> <p>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)</i></p> | |
| <p>Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemidlet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemidlet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene (ja/nei)?</p> <p>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes nyelegemidler@sykehusinnkjop.no samtidig med at dokumentasjon sendes til Statens legemiddelverk for metodevurdering.</p> <p>Informasjon og skjema: https://www.sykehusinnkjop.no/om-oss/informasjon-og-opplering/</p> | |
| <p>Andre relevante opplysninger?</p> | |

Saksnummer: 086-24

| | |
|--------------|--|
| Til: | Bestillerforum for nye metoder |
| Fra: | Sekretariatet for Nye metoder og Direktoratet for medisinske produkter |
| Dato: | 14.05.2024 |

Presisering av navn på metoder og oppdrag fra Bestillerforum: ID2023_015, ID2023_026, ID2022_147, ID2022_068. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter og Sekretariatet for Nye metoder.**Hva saken omhandler**

Søknadsprosessen for å få markedsføringstillatelse (MT) for et nytt legemiddel gjennom EMA (det europeiske legemiddelverket) tar tid, og det blir ofte gjort presiseringer i indikasjonsordlyden underveis i prosessen frem til en godkjenning. Når Nye metoder har gitt et oppdrag før den endelige indikasjonsordlyden er fastsatt gjennom MT-prosessen, har Nye metoder behov for å endre metodenavn og oppdragsordlyd til å samsvare med den endelige indikasjonsordlyden. Sekretariatet og Direktoratet for medisinske produkter orienterer i denne saken Bestillerforum for nye metoder om at presisering(er) er foretatt i de oppdrag/metodenavn som listes under.

Fra januar 2024 er det Direktoratet for medisinske produkter som er utreder for alle metodevurderingene av legemidler (tidligere het de Statens legemiddelverk). Samtidig med at sekretariatet foretar presiseringene, endrer sekretariatet også navn på utreder i oppdragsteksten, fra Statens legemiddelverk til Direktoratet for medisinske produkter, for oppdrag som ble gitt før 2024.

Følgende bestilling/-er har fått oppdatert indikasjonsordlyd ved MT-godkjenning:

ID2023_015 Eporitamab som monoterapi for behandling av voksne pasienter med residivert eller refraktært diffust storcellet B-cellelymfom (DLBCL) etter to eller flere linjer med systemisk behandling.Beslutning i Bestillerforum for nye metoder 13.02.2023

En hurtig metodevurdering med en kostnad-nytte-vurdering (løp C) gjennomføres ved Statens legemiddelverk for eporitamab til behandling av voksne med residiverende / refraktært diffust storcellet B-cellelymfom (DLBCL) etter to eller flere tidligere systemiske behandlingslinjer.

Dette ble 15.04.2024 endret til:

En metodevurdering med en kostnad-nytte-vurdering (løp C) gjennomføres ved Direktoratet for medisinske produkter for eporitamab som monoterapi for behandling av voksne pasienter med residivert eller refraktært diffust storcellet B-cellelymfom (DLBCL) etter to eller flere linjer med systemisk behandling.

ID2023_026 Sacituzumabgovitekan (Trodelvy) som monoterapi til behandling av voksne med inoperabel eller metastatisk hormonreseptor (HR)-positiv, HER2-negativ brystkreft som har fått endokrinbasert behandling og minst to ytterligere systemiske behandlinger i avansert setting.Beslutning i Bestillerforum for nye metoder 20.03.2023

En hurtig metodevurdering med en kostnad-nytte vurdering (løp C) gjennomføres ved Statens legemiddelverk for sacituzumabgovitekan (Trodelvy) til behandling av inoperabel eller metastatisk HR+, HER2-negativ brystkreft hos voksne som tidligere har mottatt endokrinbasert behandling og minst to ytterligere systemiske behandlinger for metastatisk sykdom. Prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF, LIS.

Dette ble 23.04.2024 endret til:

En hurtig metodevurdering med en kostnad-nytte vurdering (løp C) gjennomføres ved Direktoratet for medisinske produkter for sacituzumabgovitekan (Trodelvy) som monoterapi til behandling av voksne med inoperabel eller metastatisk hormonreseptor (HR)-positiv, HER2-negativ brystkreft som har fått endokrinbasert behandling og minst to ytterligere systemiske behandlinger i avansert setting. Prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF, LIS.

ID2022_147 glofitamab (Columvi) i monoterapi til behandling av voksne med residiverende eller refraktært diffust storcellet B-celle-lymfom (DLBCL), etter to eller flere linjer med systemisk terapi.

Beslutning i Bestillerforum for nye metoder 13.02.2023

En hurtig metodevurdering med en kostnad-nytte-vurdering (løp C) gjennomføres ved Statens legemiddelverk for eporitamab til behandling av voksne med residiverende / refraktært diffust storcellet B-cellelymfom (DLBCL) etter to eller flere tidligere systemiske behandlingslinjer.

Dette ble 15.04.2024 endret til:

En metodevurdering med en kostnad-nytte-vurdering (løp C) gjennomføres ved Direktoratet for medisinske produkter for eporitamab som monoterapi for behandling av voksne pasienter med residivert eller refraktært diffust storcellet B-cellelymfom (DLBCL) etter to eller flere linjer med systemisk behandling.

ID2022_068 fenfluramin (Fintepla) til behandling av epileptiske anfall forbundet med Lennox-Gastauts syndrom som tilleggsbehandling til andre antiepileptika hos pasienter fra 2 års alder.

Beslutning i Bestillerforum for nye metoder 20.06.2022

En hurtig metodevurdering med en kostnad-nytte vurdering (løp C) gjennomføres ved Statens legemiddelverk for fenfluramin (Fintepla) til behandling av anfall assosiert med Lennox-Gastaut syndrom som tilleggsbehandling til andre antiepileptika hos pasienter 2 år og eldre. Prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF,

Dette ble 30.04.2024 endret til:

En hurtig metodevurdering med en kostnad-nytte vurdering (løp C) gjennomføres ved Direktoratet for medisinske produkter for fenfluramin (Fintepla) til behandling av epileptiske anfall forbundet med Lennox-Gastauts syndrom som tilleggsbehandling til andre antiepileptika hos pasienter fra 2 års alder. Prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF, LIS.

Saksnummer: 087-24

| | |
|--------------|--|
| Til: | Bestillerforum for nye metoder |
| Fra: | Sekretariatet for nye metoder og Direktoratet for medisinske produkter |
| Dato: | 14.05.2024 |

Oppdrag: ID2022_062, ID2022_026, ID2022_112. Søknader om markedsføringstillatelser som er trukket eller avslått. Forslag om avbestilling av oppdrag.**Hva saken omhandler**

Direktoratet for medisinske produkter har informasjon om at søknader om markedsføringstillatelse (MT) enten er trukket av firma eller avslått av EMA (det europeiske legemiddelverket) for følgende indikasjoner/indikasjonsutvidelser:

1. **Oppdrag ID2022_062**, en forenklet metodevurdering med en vurdering av effekt og sikkerhet (løp D) gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for pralsetinib (Gavreto) til behandling av lokalavansert eller metastatisk RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft (MTC) eller RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft hos pasienter over 12 år som har behov for systemisk behandling etter tyrosinkinasehemmer og som ikke tidligere er behandlet med en RET-hemmer. Oppdraget ble gitt av Bestillerforum 23.05.2022. MT-innehaver «Roche Registration GmbH» har trukket sin søknad om markedsføringstillatelse for den aktuelle indikasjonen.
2. **Oppdrag ID2022_026**, en forenklet metodevurdering med en oppsummering av effekt og sikkerhet (løp D) gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for buprenorfin (Buvidal) til behandling av moderate til alvorlige kroniske smerter hos pasienter med opioidavhengighet. Oppdraget ble gitt av Bestillerforum 14.02.2022. MT-innehaver «Camurus AB» har trukket sin søknad om markedsføringstillatelse for den aktuelle indikasjonen.
3. **Oppdrag ID2022_112**. En forenklet metodevurdering med en vurdering av effekt og sikkerhet (løp D) gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for canakinumab (Ilaris) til behandling av voksne med Schnitzler syndrom. canakinumab (Ilaris) til behandling av voksne med Schnitzler syndrom. . Oppdraget ble gitt av Bestillerforum 26.09.2022. MT-innehaver «Novartis Europharm Limited» har trukket sin søknad om markedsføringstillatelse for den aktuelle indikasjonen.

Notater med nærmere beskrivelser av oppdragene til hver metode er vedlagt saken.

Forslag til beslutning for samtlige oppdrag i saken:

Bestillerforum for nye metoder avbestiller oppdraget.

Vedlegg:

- Vedlegg 1. Oppdrag ID2022_062 Pralsetinib (Gavreto)_notat til Bestillerforum_kun off
- Vedlegg 2. Oppdrag ID2022_026 Buprenorfin (Buvidal)_notat til Bestillerforum_kun off
- Vedlegg 3. Oppdrag ID2022_112 Canakinumab (Ilaris)_notat til Bestillerforum_kun off

Saksnummer: 087-24 Vedlegg 1

Notat til Bestillerforum for nye metoder

| | |
|--------------|--|
| Til: | <i>Bestillerforum for nye metoder</i> |
| Fra: | <i>Direktoratet for medisinske produkter</i> |
| Dato: | <i>22.04.2024</i> |

Hva saken omhandler i korte trekk

Oppdrag ID2022_062: en forenklet metodevurdering med en vurdering av effekt og sikkerhet (løp D) gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for pralsetinib (Gavreto) til behandling av lokalavansert eller metastatisk RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft (MTC) eller RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft hos pasienter over 12 år som har behov for systemisk behandling etter tyrosinkinasehemmer og som ikke tidligere er behandlet med en RET-hemmer.

Oppdragsdato: 23.05.2022

MT-innehaver «Roche Registration GmbH» har trukket sin søknad om markedsføringstillatelse for den aktuelle indikasjonen

Bakgrunn for saken

Basert på gjennomgangen av innsendt dokumentasjon hadde EMA noen bekymringer og vurderte at bruken av Gavreto ikke kunne utvides til den aktuelle indikasjonen. EMA vurderte at dataene som ble levert av firma ikke var tilstrekkelige for å støtte denne bruken av Gavreto.

I et brev til EMA den 03.11.2022 informerte Roche om tilbaketrekning av søknaden om markedsføringstillatelse for den aktuelle indikasjonen. Firma opplyste at søknaden ble trukket på grunn av en endring i firmas strategi ([Withdrawal of Type II variation EMEA/H/C/005413/II/0002/G for Gavreto, \(Pralsetinib\), 100 mg hard capsule](#)).

Informasjon om aktuelt legemiddel:

| | |
|--|--|
| Handelsnavn | Gavreto |
| Virkestoff | Pralsetinib |
| ATC-kode | L01EX23 |
| Legemiddelfirma | Roche Registration GmbH |
| Godkjent indikasjon (MT) | Gavreto er indisert som monoterapi til behandling av voksne pasienter med avansert RET-(REarranged during Transfection) fusjonspositiv ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) som ikke tidligere har blitt behandlet med en RET-hemmer. |
| MT-dato | 18.11.2021 |
| MT- dato aktuell indikasjon | Ikke aktuelt |
| Aktuell Indikasjon | Pralsetinib (Gavreto) til behandling av lokalavansert eller metastatisk RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft (MTC) eller RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft hos pasienter over 12 år som har behov for systemisk behandling etter tyrosinkinasehemmer og som ikke tidligere er behandlet med en RET-hemmer. |
| Øvrige indikasjoner og status i Nye Metoder | Er innført ID2020_108: Behandling av voksne med avansert RET-fusjonspositiv ikke-småcellet lungekreft som ikke tidligere har blitt behandlet med en RET-hemmer. |
| Administrasjonsform | Peroral, kapsel, hard |
| Dosering | Se Preparatomtalen for dosering ved andre godkjente indikasjoner |
| Markedsføringsstatus | Markedsført, og har godkjente MT-er for andre indikasjoner, ikke for den aktuelle indikasjonen. |
| Lenke til godkjent preparatomtale | Preparatomtalen |
| Lenke til EPAR | Gavreto : EPAR - Medicine Overview Withdrawal of application to change the marketing authorisation for Gavreto (pralsetinib) |

Anbefaling til Bestillerforum

I lys av opplysningene gitt over, anbefaler DMP at saken tas videre til beslutning.

Legemiddelfirma har fått dette notatet til informasjon.

Direktoratet for medisinske produkter, 22.04.2024

Elisabeth Bryn

Enhetsleder

Saksnummer: 087-24 Vedlegg 2

Notat til Bestillerforum for nye metoder

| | |
|--------------|--|
| Til: | <i>Bestillerforum for nye metoder</i> |
| Fra: | <i>Direktoratet for medisinske produkter</i> |
| Dato: | <i>22.04.2024</i> |

Hva saken omhandler i korte trekk

Oppdrag ID2022_026: en forenklet metodevurdering med en oppsummering av effekt og sikkerhet (løp D) gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for buprenorfin (Buvidal) til behandling av moderate til alvorlige kroniske smerter hos pasienter med opioidavhengighet.

Oppdragsdato: 14.02.2022

MT-innehaver «Camurus AB» har trukket sin søknad om markedsføringstillatelse for den aktuelle indikasjonen

Bakgrunn for saken

Basert på gjennomgangen av innsendt dokumentasjon og firmas svar på EMAs spørsmål, hadde EMA bekymringer angående å utvide bruken av Buvidal til behandling av kronisk smerte hos pasienter med opioidavhengighet. EMA hadde bekymringer angående måten studien var gjennomført på. Data fra to studiesteder måtte utelates fra den endelige analysen på grunn av bekymringer om dataenes pålitelighet, og flere studiesteder hadde ikke blitt inspisert eller revidert.

I tillegg hadde firma ikke tilstrekkelig vist at studiedesignet og pasientpopulasjonen var hensiktsmessige for å støtte den tiltenkte bruken. EMA hadde også bekymringer angående den kliniske relevansen av forskjellen som ble observert mellom Buvidal og placebo

I et brev til EMA den 13.02.2023 informerte Camurus om tilbaketrekning av søknaden om markedsføringstillatelse for den aktuelle indikasjonen. Firma opplyste at tilbaketrekningen var basert på firmas vurdering av EMAs forespørsel om ytterligere data for å støtte godkjenning i den aktuelle indikasjonen ([Withdrawal of Buvidal \(buprenorphine\) EMEA/H/C/004651/II/0017- Type II variation application](#)).

Informasjon om aktuelt legemiddel:

| | |
|--|---|
| Handelsnavn | Buvidal |
| Virkestoff | Buprenorfin |
| ATC-kode | N07BC01 |
| Legemiddelfirma | Camurus AB |
| Godkjent indikasjon (MT) | Behandling mot avhengighet av opioider innenfor rammen av medisinsk, sosial og psykologisk behandling. Behandlingen er beregnet for bruk hos voksne og ungdom på 16 år og over. |
| MT-dato | 20.11.2018 |
| MT- dato aktuell indikasjon | Ikke aktuelt |
| Aktuell Indikasjon | Buprenorfin (Buvidal) til behandling av moderate til alvorlige kroniske smerter hos pasienter med opioidavhengighet. |
| Øvrige indikasjoner og status i Nye Metoder | Er innført ID2018_108: Behandling av opioidavhengighet. Depotinjeksjon. |
| Administrasjonsform | Intravenøst: Depotinjeksjonsvæske, oppløsning |
| Dosering | Se Preparatomtalen for dosering ved andre godkjente indikasjoner |
| Markedsføringsstatus | Ikke markedsført på det norske markedet |
| Lenke til godkjent preparatomtale | Preparatomtalen |
| Lenke til EPAR | Buvidal : EPAR - Medicine overview Buvidal - withdrawal of application for variation to marketing authorisation |

Anbefaling til Bestillerforum

I lys av opplysningene gitt over, anbefaler DMP at saken tas videre til beslutning.

Legemiddelfirma har fått dette notatet til informasjon.

Direktoratet for medisinske produkter, 22.04.2024

Elisabeth Bryn

Enhetsleder

Saksnummer: 087-24 Vedlegg 3

Notat til Bestillerforum for nye metoder

| | |
|--------------|--|
| Til: | <i>Bestillerforum for nye metoder</i> |
| Fra: | <i>Direktoratet for medisinske produkter</i> |
| Dato: | <i>26.04.2024</i> |

Hva saken omhandler i korte trekk

Oppdrag ID2022_112: En forenklet metodevurdering med en vurdering av effekt og sikkerhet (løp D) gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for canakinumab (Ilaris) til behandling av voksne med Schnitzler syndrom. canakinumab (Ilaris) til behandling av voksne med Schnitzler syndrom.

Oppdragsdato: 26.09.2022

MT-innehaver «Novartis Europharm Limited» har trukket sin søknad om markedsføringstillatelse for den aktuelle indikasjonen.

Bakgrunn for saken

Basert på gjennomgangen av innsendt dokumentasjon og svar fra firma på EMAs spørsmål hadde byrået noen bekymringer og vurderte at bruken av Ilaris ikke kunne utvides til behandling av voksne med Schnitzler syndrom.

Hovedbekymringen til EMA dreide seg om måten hovedstudien ble gjennomført på, noe som reiste spørsmål om nøyaktigheten og gyldigheten av dataene fra studien. Spesielt vurderte EMA kvaliteten på dokumentasjonen som utilstrekkelig for å gjennomføre en adekvat vurdering, og fant feil i randomiseringsprosessen som påvirket nøyaktigheten og påliteligheten av resultatene. Byrået vurderte at fordelene med Ilaris ikke oppveide risikoene ved den aktuelle indikasjonen, ettersom det ikke var mulig å komme til pålitelige konklusjoner om hvor godt medisinen virker i behandlingen av Schnitzler syndrom.

I et [brev](#) til EMA 26.10.2022 informerte Novartis om tilbaketrekningen av endingsøknaden. Firma opplyste at søknaden ble trukket fordi data fra hovedstudien ikke ble ansett som tilstrekkelige for å konkludere med et nytte-risiko-forhold for den aktuelle indikasjonen.

Informasjon om aktuelt legemiddel:

| | |
|---------------------------------|---|
| Handelsnavn | Ilaris |
| Virkestoff | Canakinumab |
| ATC-kode | L04AC08 |
| Legemiddelfirma | Novartis Europharm Limited |
| Godkjent indikasjon (MT) | <p><u>Periodisk febersyndrom</u> Ilaris er indisert til behandling av følgende autoinflammatoriske periodiske febersyndromer hos voksne, ungdom og barn fra 2 år og eldre:</p> <p><u>Cryopyrinassosierte periodiske syndromer</u> Ilaris er indisert til behandling av cryopyrinassosierte periodiske syndromer (CAPS):</p> <ul style="list-style-type: none"> • Muckle-Wells syndrom (MWS), • Systemisk multiinflammatorisk sykdom med neonatal-onset (NOMID) / kronisk infantil nevrologisk hud- og ledd syndrom (CINCA), • Alvorlige tilfeller av familiær autoinflammatorisk kuldesyndrom (FCAS) / familiær kulde urtikaria (FCU) med tegn og symptomer utover kuldeindusert urtikarielt hudutslett. <p><u>Tumornekrosefaktor reseptor-assosiert periodisk syndrom (TRAPS)</u> Ilaris er indisert til behandling av tumornekrosefaktor (TNF) reseptor-assosiert periodisk syndrom (TRAPS).</p> <p><u>Hyperimmunoglobulin D syndrom (HIDS)/mevalonatkinase defekt (MKD)</u> Ilaris er indisert til behandling av hyperimmunoglobulin D syndrom (HIDS)/mevalonatkinase defekt (MKD).</p> <p><u>Familiær middelhavsfeber (FMF)</u> Ilaris er indisert til behandling av familiær middelhavsfeber (FMF). Ilaris kan gis som monoterapi eller i kombinasjon med kolkisin.</p> <p>Ilaris er også indisert til behandlingen av:</p> <p><u>Stills sykdom</u> Ilaris er indisert til behandling av aktiv Stills sykdom, inkludert Stills sykdom i voksen alder (AOSD) og systemisk juvenil idiopatisk artritt (sJIA) hos pasienter fra 2 år og oppover hvor ikke-steroid antiinflammatoriske midler (NSAIDs) og systemiske kortikosteroider ikke har gitt tilfredsstillende respons. Ilaris kan gis som monoterapi eller i kombinasjon med metotreksat.</p> |

| | |
|--|---|
| | Arthritis urica (urinsyregikt) Ilaris er indisert til symptomatisk behandling av voksne pasienter med hyppige anfall av arthritis urica (minst 3 anfall i løpet av de siste 12 månedene) hvor ikke-steroide antiinflammatoriske midler (NSAIDs) og kolkisin er kontraindisert, ikke er tolerert eller ikke gir tilfredsstillende respons samt der hvor gjentatte kurer av kortikosterioder ikke er egnet. |
| MT-dato | 23.10.2009 |
| MT- dato aktuell indikasjon | Ikke aktuelt |
| Aktuell Indikasjon | Canakinumab (Ilaris) til behandling av voksne med Schnitzler syndrom |
| Øvrige indikasjoner og status i Nye Metoder | <ul style="list-style-type: none"> • Er ikke innført ID2020_025: Behandling av familiær middelhavsfeber. • Til metodevurdering ID2019_087: Behandling av Stills sykdom og systemisk juvenil idiopatisk artritt (sJIA) etter behandlingssvikt eller intoleranse for anakinra (Kineret). Firma har ikke levert dokumentasjon |
| Administrasjonsform | Intravenøst, pulver til injeksjonsvæske, oppløsning. |
| Dosering | Se Preparatomtalen for dosering ved andre godkjente indikasjoner |
| Markedsføringsstatus | Markedsført, og har godkjente MT-er for andre indikasjoner, ikke for den aktuelle indikasjonen. |
| Lenke til godkjent preparatomtale | Preparatomtalen |
| Lenke til EPAR og EMAs vurdering | Ilaris : EPAR - Summary for the public Withdrawal of application to change the marketing authorisation for Ilaris (canakinumab) |

Anbefaling til Bestillerforum

I lys av opplysningene gitt over, anbefaler DMP at saken tas videre til beslutning.

Legemiddelfirma har fått dette notatet til informasjon.

Direktoratet for medisinske produkter, 25.04.2024

Elisabeth Bryn

Enhetsleder

Saksnummer: 088-24

| | |
|--------------|--|
| Til: | Bestillerforum for nye metoder |
| Fra: | Sekretariatet for nye metoder og Direktoratet for medisinske produkter |
| Dato: | 14.05.2024 |

Oppdrag: ID2019_103, ID2018_044, ID2021_015, ID2018_062 hvor legemiddelfirmaene ikke har levert dokumentasjon.**Hva saken omhandler**

Tidligere sendte daværende Statens legemiddelverk (SLV) en bestilling av dokumentasjon til legemiddelfirmaene når Bestillerforum for nye metoder ga oppdrag om en metodevurdering av deres legemiddel.

Til noen oppdrag har firmaene ikke levert inn dokumentasjon, og Direktoratet for medisinske produkter/ (tidligere SLV) har dermed ikke kunnet påbegynne arbeidet med metodevurderingene.

Denne saken gjelder følgende oppdrag hvor legemiddelfirmaene ikke har levert dokumentasjon:

1. **Oppdrag ID2019_103.** Hurtig metodevurdering gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for olaparib (Lynparza) som monoterapi til vedlikeholdsbehandling av metastatisk kreft i bukspyttkjertelen hos voksne med BRCA-mutasjon som ikke har progrediert etter førstelinjebehandling med kjemoterapi. Oppdraget ble gitt av Bestillerforum 18.11.2019.
2. **Oppdrag ID2018_044.** Hurtig metodevurdering gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for olaparib (Lynparza) til behandling av HER2-negativ metastatisk brystkreft hos pasienter med mutasjon i BRCA 1/2, som er tidligere behandlet med kjemoterapi. Oppdraget ble gitt av Bestillerforum 24.09.2018.
3. **Oppdrag ID2021_015.** Hurtig metodevurdering med en kostnad-nytte vurdering (C) gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for mepolizumab (Nucala) til behandling av eosinofil granulomatose med polyangitt. Oppdraget ble gitt av Bestillerforum 18.01.2021.
4. **Oppdrag ID2018_062.** Hurtig metodevurdering gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for tafamidis (Vyndaqel) til behandling av transtyretin amyloidose polynevropati. Oppdraget ble gitt 27.08.2018.

Notater med nærmere beskrivelser av hvert oppdrag er vedlagt saken.

Forslag til beslutning for samtlige oppdrag i saken:

Bestillerforum for nye metoder avbestiller oppdraget.

Vedlegg:

1. Vedlegg 1. Oppdrag ID2019_103_Olaparib (Lynparza)_notat til Bestilleforum_kun offentlig versjon



NYE METODER

2. Vedlegg 2. Oppdrag ID2018_044_Olaparib (Lynparza)_notat til Bestillerforum_kun offentlig versjon
3. Vedlegg 3. Oppdrag ID2021_015 Mepolizumab (Nucala)_notat til Bestillerforum_kun offentlig versjon
4. Vedlegg 4. Oppdrag ID2018_062 Tafamidis (Vyndaqel) - Notat til Bestillerforum for nye metoder

Saksnummer: 088-24 Vedlegg 1

Notat til Bestillerforum for nye metoder

| | |
|--------------|--|
| Til: | <i>Bestillerforum for nye metoder</i> |
| Fra: | <i>Direktoratet for medisinske produkter</i> |
| Dato: | <i>23.04.2024</i> |

Hva saken omhandler i korte trekk

Oppdrag ID2019_103, Hurtig metodevurdering gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for olaparib (Lynparza) som monoterapi til vedlikeholdsbehandling av metastatisk kreft i bukspyttkjertelen hos voksne med BRCA- mutasjon som ikke har progrediert etter førstelinjebehandling med kjemoterapi.

Oppdragsdato: 18.11.2019

DMP har ikke mottatt dokumentasjon fra firma.

Bakgrunn for saken

Direktoratet for medisinske produkter (DMP) bestilte dokumentasjon til metodevurderinger (08.11.2019). Vi har sendt flere forespørsler til legemiddelfirma, om når de estimerer å sende inn dokumentasjon til metodevurdering for dette oppdraget. Firma har i korrespondanse med DMP (26.03.2024) bekreftet at de ikke har plan om å sende inn dokumentasjon på denne saken. Firma bekrefter at de sender en ny anmodning med relevante nye data dersom det blir aktuelt.

Informasjon om aktuelt legemiddel:

| | |
|---------------------------------|---|
| Handelsnavn | Lynparza |
| Virkestoff | Olaparib |
| ATC-kode | L01XX46 |
| Legemiddelfirma | AstraZeneca AB |
| Godkjent indikasjon (MT) | <p><u>Ovarialkreft</u> Lynparza er indisert som monoterapi til:</p> <ul style="list-style-type: none"> • vedlikeholdsbehandling av voksne pasienter med avansert (FIGO trinn III og IV) BRCA1/2- mutert (kimbanen og/eller somatisk) høygradig kreft i ovarieepitel, eggleder eller primær peritoneal kreft som responderer (fullstendig eller delvis) etter avsluttet førstelinje platinabasert kjemoterapi. • vedlikeholdsbehandling av voksne pasienter med tilbakefall av platinasensitiv høygradig kreft i ovarieepitel eller eggleder eller primær peritoneal kreft som responderer (fullstendig eller delvis) på platinabasert kjemoterapi. <p>Lynparza i kombinasjon med bevacizumab er indisert til:</p> <ul style="list-style-type: none"> • vedlikeholdsbehandling av voksne pasienter med avansert (FIGO trinn III og IV) høygradig kreft i ovarieepitel, eggleder eller primær peritoneal kreft som responderer (fullstendig eller delvis) etter avsluttet førstelinje platinabasert kjemoterapi i kombinasjon med bevacizumab, og hvor kreften er forbundet med defekt homolog rekombinasjon (HRD)-positiv status definert av enten en BRCA1/2-mutasjon og/eller genomisk ustabilitet. <p><u>Brystkreft</u> Lynparza er indisert som:</p> <ul style="list-style-type: none"> • monoterapi eller i kombinasjon med endokrin behandling til adjuvant behandling av voksne pasienter med kimbane BRCA1/2-mutasjoner som har HER2-negativ tidlig brystkreft med høy risiko for tilbakefall, og som tidligere har blitt behandlet med neoadjuvant eller adjuvant kjemoterapi. • monoterapi til behandling av voksne pasienter med kimbane BRCA1/2-mutasjoner som har HER2-negativ lokalavansert eller metastatisk brystkreft. Pasienter bør ha fått tidligere behandling med et antracyclin og et taksan i (neo)adjuvant eller metastatisk setting, med mindre pasientene ikke var egnet for disse behandlingene. Pasienter med hormonreseptor (HR) positiv brystkreft skal i tillegg ha progrediert under eller etter tidligere endokrin behandling eller blitt vurdert til å være uegnet for endokrin behandling. |

| | |
|--|---|
| | <p><u>Adenokarsinom i bukspyttkjertelen</u> Lynparza er indisert som monoterapi for vedlikeholdsbehandling av voksne pasienter med kimbane BRCA1/2-mutasjoner som har metastatisk adenokarsinom i bukspyttkjertelen og som ikke har progrediert etter minimum 16 ukers førstelinje platinabasert kjemoterapi.</p> <p><u>Prostatakreft</u> Lynparza er indisert:</p> <ul style="list-style-type: none"> • som monoterapi til behandling av voksne pasienter med metastatisk kastrasjonsresistent prostatakreft (mCRPC) og BRCA1/2-mutasjoner (kimbane og/eller somatiske) som har progrediert etter tidligere behandling som inkluderte et nytt hormonlegemiddel. • i kombinasjon med abirateron og prednison eller prednisolon til behandling av voksne pasienter med mCRPC, der kjemoterapi ikke er klinisk indisert. |
| MT-dato | 16.12.2014 |
| MT-dato aktuell indikasjon | 03.07.2020 |
| Aktuell Indikasjon | Lynparza er indisert som monoterapi for vedlikeholdsbehandling av voksne pasienter med kimbane BRCA1/2-mutasjoner som har metastatisk adenokarsinom i bukspyttkjertelen og som ikke har progrediert etter minimum 16 ukers førstelinje platinabasert kjemoterapi. |
| Øvrige indikasjoner og status i Nye Metoder | <ul style="list-style-type: none"> • Er innført ID2021_112: Monoterapi eller i kombinasjon med endokrin behandling til adjuvant behandling av voksne pasienter med kimbane BRCA1/2-mutasjoner som har HER2-negativ tidlig brystkreft med høy risiko for tilbakefall, og som tidligere har blitt behandlet med neoadjuvant eller adjuvant kjemoterapi. • Er innført ID2020_009: I kombinasjon med bevacizumab til vedlikeholdsbehandling av voksne pasienter med avansert (FIGO trinn III og IV) høygradig kreft i ovarieepitel, eggleder eller primær peritoneal kreft som responderer (fullstendig eller delvis) etter avsluttet førstelinje platinabasert kjemoterapi i kombinasjon med bevacizumab, og hvor kreften er forbundet med defekt homolog rekombinasjon (HRD)-positiv status definert av enten en BRCA1/2-mutasjon og/eller genomisk ustabilitet. • Er innført ID2020_008: Monoterapi til behandling av voksne pasienter med metastatisk kastrasjonsresistent prostatakreft og BRCA1/2-mutasjoner (kimbane og/eller somatiske) som har progrediert etter tidligere behandling med nye hormonelle legemidler og hvor behandling med docetaxel, kabazitaxel og radium-223 har gitt utilstrekkelig effekt eller ikke er egnet. |

| | |
|--|--|
| | <ul style="list-style-type: none"> • Er innført ID2018_121: Monoterapi til vedlikeholdsbehandling for pasienter med BRCA-mutert eggstokk-, eggleder- eller bukhinnekreft som har respondert på førstelinjebehandling med platina basert kjemoterapi. • Er innført ID2018_023: Monoterapi til vedlikeholdsbehandling av pasienter med tilbakefall av platinasensitiv høygradig serøs eggstokkreft (BRCA-negativ). • Er innført ID2014_039: Monoterapi til vedlikeholdsbehandling av pasienter med tilbakefall av platinasensitiv BRCA-mutert høygradig serøs eggstokkreft. • Er innført med vilkår ID2022_061: Olaparib (Lynparza) og abirateron i kombinasjon med prednison eller prednisolon til behandling av metastatisk kastrasjonsresistent prostatakreft (mCRPC) hos voksne, der kjemoterapi ikke er klinisk indisert. • Det forutsettes at BRCA1/2-mutasjoner (kimbane og/eller somatiske) er påvist. • Til metodevurdering ID2018_044: Behandling i monoterapi til pasienter med kimcelle BRCA1/2-mutasjoner og HER2-negativ lokalavansert eller metastatisk brystkreft. |
| Administrasjonsform | Peroralt, tablett, filmdrasjert |
| Dosering | Se Preparatomtalen for dosering |
| Markedsføringsstatus | Markedsført, og har godkjente MT-er for andre indikasjoner |
| Lenke til godkjent preparatomtale | Preparatomtale (SPC) |
| Lenke til EPAR | Olaparib (Lynparza) - EPA Medicine Overview |

Det foreligger ingen aktuelle metodevurderinger fra andre land:

Sverige, (TLV): N.A.

Danmark, (Medicinerådet): N.A.

Skottland, (SMC): [The holder of the marketing authorisation has not made a submission to SMC regarding this product in this indication. As a result we cannot recommend its use within NHSScotland.](#)

England, (NICE): [NICE is unable to make a recommendation on olaparib \(Lynparza\) for maintenance treatment of BRCA mutation-positive metastatic pancreatic cancer after platinum-based chemotherapy. This is because AstraZeneca did not provide an evidence submission.](#)

Canada, (CADTH): N.A.

Prisinformasjon:

| Handelsnavn | Legemiddel- form | Styrke | Antall beholdere/ mengde per stk | Maksimal AUP- NOK |
|-----------------------------------|--------------------------|--------|-------------------------------------|----------------------|
| Lynparza (AstraZeneca AB) | Kapsel, hard | 50 mg | Flaske 448 stk | 55 781,00 |
| Lynparza (AstraZeneca AB) | Tablett, filmdrasjert | 100 mg | Blisterpakning 56 stk | 27 754,60 |
| Lynparza (Abacus Medicine A/S) | Tablett, filmdrasjert | 100 mg | Blisterpakning 56 stk | 27 754,60 |
| Lynparza (Orifarm AS) | Tablett, filmdrasjert | 100 mg | Blisterpakning 56 stk | 27 754,60 |
| Lynparza (AstraZeneca AB) | Tablett, filmdrasjert | 150 mg | Blisterpakning 56 stk | 27 754,60 |

Det finnes konfidensielle priser på legemiddelet.

Salg av legemiddelet:

| År | Preparatnavn | Antall pakninger | Omsetning i kroner (NOK) |
|------|--------------|------------------|--------------------------|
| 2019 | Lynparza | 863 | 23 155 502 |
| 2020 | Lynparza | 2 537 | 60 980 533 |
| 2021 | Lynparza | 4 236 | 99 667 599 |
| 2022 | Lynparza | 4 377 | 102 426 408 |
| 2023 | Lynparza | 5 316 | 113 165 712 |

Kilde: Farmalogg

Anbefaling til Bestillerforum

I lys av opplysningene gitt over, anbefaler DMP at saken tas videre til beslutning.

Legemiddelfirma har fått dette notatet til informasjon.

Direktoratet for medisinske produkter, 23.04.2024

Elisabeth Bryn

Enhetsleder

Saksnummer: 088-24 Vedlegg 2

Notat til Bestillerforum for nye metoder

| | |
|--------------|--|
| Til: | <i>Bestillerforum for nye metoder</i> |
| Fra: | <i>Direktoratet for medisinske produkter</i> |
| Dato: | <i>23.04.2024</i> |

Hva saken omhandler i korte trekk

Oppdrag ID2018_044, Hurtig metodevurdering gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for olaparib (Lynparza) til behandling av HER2-negativ metastatisk brystkreft hos pasienter med mutasjon i BRCA 1/2, som er tidligere behandlet med kjemoterapi.

Oppdragsdato: 24.09.2018

DMP har ikke mottatt dokumentasjon fra firma.

Bakgrunn for saken

Direktoratet for medisinske produkter (DMP) bestilte dokumentasjon til metodevurderinger (29.05.2018). Vi har sendt flere forespørsler til legemiddelfirma, om når de estimerer å sende inn dokumentasjon til metodevurdering for dette oppdraget. Firma har i korrespondanse med DMP (26.03.2024) bekreftet at de ikke har plan om å sende inn dokumentasjon på denne saken. Firma bekrefter at de sender en ny anmodning med relevante nye data dersom det blir aktuelt.

Informasjon om aktuelt legemiddel:

| | |
|---------------------------------|---|
| Handelsnavn | Lynparza |
| Virkestoff | Olaparib |
| ATC-kode | L01XX46 |
| Legemiddelfirma | AstraZeneca |
| Godkjent indikasjon (MT) | <p><u>Ovarialkreft</u> Lynparza er indisert som monoterapi til:</p> <ul style="list-style-type: none"> • vedlikeholdsbehandling av voksne pasienter med avansert (FIGO trinn III og IV) BRCA1/2- mutert (kimbanen og/eller somatisk) høygradig kreft i ovarieepitel, eggleder eller primær peritoneal kreft som responderer (fullstendig eller delvis) etter avsluttet førstelinje platinabasert kjemoterapi. • vedlikeholdsbehandling av voksne pasienter med tilbakefall av platinasensitiv høygradig kreft i ovarieepitel eller eggleder eller primær peritoneal kreft som responderer (fullstendig eller delvis) på platinabasert kjemoterapi. <p>Lynparza i kombinasjon med bevacizumab er indisert til:</p> <ul style="list-style-type: none"> • vedlikeholdsbehandling av voksne pasienter med avansert (FIGO trinn III og IV) høygradig kreft i ovarieepitel, eggleder eller primær peritoneal kreft som responderer (fullstendig eller delvis) etter avsluttet førstelinje platinabasert kjemoterapi i kombinasjon med bevacizumab, og hvor kreften er forbundet med defekt homolog rekombinasjon (HRD)-positiv status definert av enten en BRCA1/2-mutasjon og/eller genomisk ustabilitet. <p><u>Brystkreft</u> Lynparza er indisert som:</p> <ul style="list-style-type: none"> • monoterapi eller i kombinasjon med endokrin behandling til adjuvant behandling av voksne pasienter med kimbane BRCA1/2-mutasjoner som har HER2-negativ tidlig brystkreft med høy risiko for tilbakefall, og som tidligere har blitt behandlet med neoadjuvant eller adjuvant kjemoterapi. • monoterapi til behandling av voksne pasienter med kimbane BRCA1/2-mutasjoner som har HER2-negativ lokalavansert eller metastatisk brystkreft. Pasienter bør ha fått tidligere behandling med et antracyclin og et taksan i (neo)adjuvant eller metastatisk setting, med mindre pasientene ikke var egnet for disse behandlingene. Pasienter med hormonreseptor (HR) positiv brystkreft skal i tillegg ha progrediert under eller etter tidligere endokrin behandling eller blitt vurdert til å være uegnet for endokrin behandling. |

| | |
|--|---|
| | <p><u>Adenokarsinom i bukspyttkjertelen</u> Lynparza er indisert som monoterapi for vedlikeholdsbehandling av voksne pasienter med kimbane BRCA1/2-mutasjoner som har metastatisk adenokarsinom i bukspyttkjertelen og som ikke har progrediert etter minimum 16 ukers førstelinje platinabasert kjemoterapi.</p> <p><u>Prostatakraft</u> Lynparza er indisert:</p> <ul style="list-style-type: none"> • som monoterapi til behandling av voksne pasienter med metastatisk kastrasjonsresistent prostatakraft (mCRPC) og BRCA1/2-mutasjoner (kimbane og/eller somatiske) som har progrediert etter tidligere behandling som inkluderte et nytt hormonlegemiddel. • i kombinasjon med abirateron og prednison eller prednisolon til behandling av voksne pasienter med mCRPC, der kjemoterapi ikke er klinisk indisert. |
| MT-dato | 16.12.2014 |
| MT- dato aktuell indikasjon | 08.04.2019 |
| Aktuell Indikasjon | Lynparza er indisert som monoterapi til behandling av voksne pasienter med kimbane BRCA1/2-mutasjoner som har HER2-negativ lokalavansert eller metastatisk brystkreft. Pasienter bør ha fått tidligere behandling med et antracyklin og et taksan i (neo)adjuvant eller metastatisk setting, med mindre pasientene ikke var egnet for disse behandlingene. Pasienter med hormonreseptor (HR) positiv brystkreft skal i tillegg ha progrediert under eller etter tidligere endokrin behandling eller blitt vurdert til å være uegnet for endokrin behandling. |
| Øvrige indikasjoner og status i Nye Metoder | <ul style="list-style-type: none"> • Er innført ID2021_112: Monoterapi eller i kombinasjon med endokrin behandling til adjuvant behandling av voksne pasienter med kimbane BRCA1/2-mutasjoner som har HER2-negativ tidlig brystkreft med høy risiko for tilbakefall, og som tidligere har blitt behandlet med neoadjuvant eller adjuvant kjemoterapi. • Er innført ID2020_009: I kombinasjon med bevacizumab til vedlikeholdsbehandling av voksne pasienter med avansert (FIGO trinn III og IV) høygradig kreft i ovarieepitel, eggleder eller primær peritoneal kreft som responderer (fullstendig eller delvis) etter avsluttet førstelinje platinabasert kjemoterapi i kombinasjon med bevacizumab, og hvor kreften er forbundet med defekt homolog rekombinasjon (HRD)-positiv status definert av enten en BRCA1/2-mutasjon og/eller genomisk ustabilitet.. • Er innført ID2020_008: Monoterapi til behandling av voksne pasienter med metastatisk kastrasjonsresistent prostatakraft og BRCA1/2-mutasjoner (kimbane og/eller somatiske) som har |

| | |
|--|--|
| | <p>progresdiert etter tidligere behandling med nye hormonelle legemidler og hvor behandling med docetaksel, kabazitaksel og radium-223 har gitt utilstrekkelig effekt eller ikke er egnet.</p> <ul style="list-style-type: none"> • Er innført ID2018_121: Monoterapi til vedlikeholdsbehandling av voksne pasienter med avansert (FIGO stadium III og IV) BRCA1/2-mutert (kimbanen og/eller somatisk) høygradig kreft i eggstokk-, eggleder- eller bukhinnekreft som responderer (fullstendig eller delvis) etter fullført førstelinje platinabasert kjemoterapi. • Er innført ID2018_023: Monoterapi til vedlikeholdsbehandling av pasienter med tilbakefall av platinasensitiv høygradig serøs eggstokkreft (BRCA-negativ). • Er innført ID2014_039: Monoterapi til vedlikeholdsbehandling av pasienter med tilbakefall av platinasensitiv BRCA-mutert høygradig serøs eggstokkreft. • Er innført med vilkår ID2022_061: Olaparib (Lynparza) og abirateron i kombinasjon med prednison eller prednisolon til behandling av metastatisk kastrasjonsresistent prostatakreft (mCRPC) hos voksne, der kjemoterapi ikke er klinisk indisert. Det forutsettes at BRCA1/2-mutasjoner (kimbane og/eller somatiske) er påvist. • Til metodevurdering ID2019_103: Monoterapi til vedlikeholdsbehandling av metastatisk kreft i bukspyttkjertelen hos voksne med BRCA mutasjon som ikke har progresdiert etter førstelinjebehandling med kjemoterapi. |
| Administrasjonsform | Peroralt, tablett, filmdrasjert |
| Dosering | Se Preparatomtalen for dosering |
| Markedsføringsstatus | Markedsført, og har godkjente MT-er for andre indikasjoner |
| Lenke til godkjent preparatomtale | Preparatomtale (SPC) |
| Lenke til EPAR | Olaparib (Lynparza) - EPAR Medicine Overview |

Aktuelle metodevurderinger fra andre land:

Sverige, (TLV): [Lynparza subventioneras nu även som ensam behandling efter operation hos vuxna patienter med nedärvd BRCA1/2-muterad trippelnegativ bröstcancer som fått kemoterapi inför operation och inte uppnått fullständigt behandlingsvar och där behandling med läkemedlet kapecitabin \(cellgift\) inte är lämplig samt som ensam behandling för patienter med BRCA1/2-muterad trippelnegativ bröstcancer som fått kemoterapi efter operation.](#)

Danmark, (Medicinrådet): N.A.

Skottland, (SMC): [The holder of the marketing authorisation has not made a submission to SMC regarding this product in this indication. As a result **we cannot recommend** its use within NHSScotland.](#)

England, (NICE): [NICE is **unable to make a recommendation** on olaparib \(Lynparza\) for treating BRCA mutation-positive HER2-negative metastatic breast cancer after chemotherapy. This is because AstraZeneca did not provide an evidence submission.](#)

Canada, (CADTH): [CADTH is **unable to recommend** reimbursement as a submission was not filed by the manufacturer.](#)

Prisinformasjon:

| Handelsnavn | Legemiddel- form | Styrke | Antall beholdere/ mengde per stk | Maksimal AUP- NOK |
|-----------------------------------|--------------------------|--------|-------------------------------------|----------------------|
| Lynparza (AstraZeneca AB) | Kapsel, hard | 50 mg | Flaske 448 stk | 55 781,00 |
| Lynparza (AstraZeneca AB) | Tablett, filmdrasjert | 100 mg | Blisterpakning 56 stk | 27 754,60 |
| Lynparza (Abacus Medicine A/S) | Tablett, filmdrasjert | 100 mg | Blisterpakning 56 stk | 27 754,60 |
| Lynparza (Orifarm AS) | Tablett, filmdrasjert | 100 mg | Blisterpakning 56 stk | 27 754,60 |
| Lynparza (AstraZeneca AB) | Tablett, filmdrasjert | 150 mg | Blisterpakning 56 stk | 27 754,60 |

Det finnes konfidensielle priser på legemiddelet.

Salg av legemiddelet:

| År | Preparatnavn | Antall pakninger | Omsetning i kroner (NOK) |
|------|--------------|------------------|--------------------------|
| 2019 | Lynparza | 863 | 23 155 502 |
| 2020 | Lynparza | 2 537 | 60 980 533 |
| 2021 | Lynparza | 4 236 | 99 667 599 |
| 2022 | Lynparza | 4 377 | 102 426 408 |
| 2023 | Lynparza | 5 316 | 113 165 712 |

Kilde: Farmalogg

Anbefaling til Bestillerforum

I lys av opplysningene gitt over, anbefaler DMP at saken tas videre til beslutning.

Legemiddelfirma har fått dette notatet til informasjon.

Direktoratet for medisinske produkter, 23.04.2023

Elisabeth Bryn

Enhetsleder

Saksnummer: 088-24 Vedlegg 3

Notat til Bestillerforum for nye metoder

| | |
|--------------|--|
| Til: | <i>Bestillerforum for nye metoder</i> |
| Fra: | <i>Direktoratet for medisinske produkter</i> |
| Dato: | <i>22.04.2024</i> |

Hva saken omhandler i korte trekk

Oppdrag ID2021_015, en hurtig metodevurdering med en kostnad-nytte vurdering (C) gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for mepolizumab (Nucala) til behandling av eosinofil granulomatose med polyangitt.

Oppdragsdato: 18.01.2021

DMP har ikke mottatt dokumentasjon fra firma.

Bakgrunn for saken

Direktoratet for medisinske produkter bestilte dokumentasjon til metodevurderinger den 18.12.2020. Vi har sendt flere forespørsler til legemiddelfirma, om når de estimerer å sende inn dokumentasjon til metodevurdering for dette oppdraget. Firma har i korrespondanse med DMP den 25.03.2024, bekreftet at de ikke kan levere dokumentasjon til en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse.

Informasjon om aktuelt legemiddel:

| | |
|--|--|
| Handelsnavn | Nucala |
| Virkestoff | Mepolizumab |
| ATC-kode | R03DX09 |
| Legemiddelfirma | GlaxoSmithKline Trading Services Limited |
| Godkjent indikasjon (MT) | <p><u>Alvorlig eosinofil astma</u> Nucala er indisert som tilleggsbehandling ved alvorlig refraktær eosinofil astma hos voksne, ungdom og barn fra 6 år og eldre.</p> <p><u>Kronisk rhinosinussitt med nasal polypose (CRSwNP)</u> Nucala er indisert som tilleggsbehandling til intranasale kortikosteroider til behandling av voksne pasienter med alvorlig CRSwNP hvor behandling med systemiske kortikosteroider og/eller kirurgi ikke gir tilstrekkelig sykdomskontroll.</p> <p><u>Eosinofil granulomatose med polyangiitt (EGPA)</u> Nucala er indisert som tilleggsbehandling hos pasienter som er 6 år eller eldre og som har relapserende-remitterende eller refraktær eosinofil granulomatose med polyangiitt (EGPA).</p> <p><u>Hypereosinofilt syndrom (HES)</u> Nucala er indisert som tilleggsbehandling hos voksne pasienter som har utilstrekkelig kontrollert hypereosinofilt syndrom uten en identifiserbar ikke-hematologisk sekundær årsak.</p> |
| MT-dato | 02.12.2015 |
| MT- dato aktuell indikasjon | 12.11.2021 |
| Aktuell Indikasjon | Behandling av eosinofil granulomatose med polyangiitt. |
| Øvrige indikasjoner og status i Nye Metoder | <ul style="list-style-type: none"> • Er innført ID2021_017: Tilleggsbehandling hos voksne pasienter som har utilstrekkelig kontrollert hypereosinofilt syndrom uten en identifiserbar ikke-hematologisk sekundær årsak. • Er innført med vilkår ID2021_016: Tilleggsbehandling med intranasale kortikosteroider til behandling av voksne med alvorlig kronisk bihulebetennelse med nesepolypper (CRSwNP) hvor behandling med systemiske kortikosteroider og/eller kirurgi ikke gir tilstrekkelig sykdomskontroll. • Er innført med vilkår ID2016_089: Tilleggsbehandling ved alvorlig refraktær eosinofil astma. |
| Administrasjonsform | Intravenøst, infusjonsvæske, oppløsning |
| Dosering | Se Preparatomtalen for dosering |
| Markedsføringsstatus | Markedsført, og har godkjente MT-er for andre indikasjoner |
| Lenke til godkjent preparatomtale | Preparatomtale (SPC) |
| Lenke til EPAR | Nucala - EPAR Medicine Overview |

Aktuelle vurderinger fra andre land:

Sverige, (janusinfo): N.A.

Danmark, (Medicinrådet): N.A.

Skottland, (SMC): [The holder of the marketing authorisation has not made a submission to SMC regarding this product in this indication. As a result we cannot recommend its use within NHSScotland.](#)

England, (NICE/NHS): [NICE is unable to make a recommendation on mepolizumab \(Nucala\) for treating eosinophilic granulomatosis with polyangiitis in people 6 years and over because GSK did not provide an evidence submission.](#)

Canada, (CADTH): [Pending](#)

Prisinformasjon:

| Handelsnavn | Legemiddel- form | Styrke | Antall beholdere/ mengde per stk | Maksimal AUP- NOK |
|-----------------------------|---|--------|-------------------------------------|----------------------|
| Nucala (GlaxoSmithKline) | Injeksjonsvæske, oppløsning i ferdigfylt penn | 100 mg | 1 x 1 ml | 11 967,30 |
| Nucala (GlaxoSmithKline) | Injeksjonsvæske, oppløsning i ferdigfylt sprøyte | 100 mg | 1 x 1 ml | 11 967,30 |
| Nucala (GlaxoSmithKline) | Injeksjonsvæske, oppløsning i ferdigfylt sprøyte | 40 mg | 1 x 0.4 ml | 4 808,70 |
| Nucala (Orifarm AS) | Pulver til injeksjonsvæske, oppløsning | 100 mg | 1 hetteglass | 12 133,10 |
| Nucala (GlaxoSmithKline) | Pulver til injeksjonsvæske, oppløsning | 100 mg | 1 hetteglass | 12 133,10 |

Det finnes konfidensielle priser på legemiddelet.

Salg av legemiddelet

| År | Preparatnavn | Antall pakninger | Omsetning i kroner (NOK) |
|------|--------------|------------------|--------------------------|
| 2019 | Nucala | 4 088 | 34 136 995 |
| 2020 | Nucala | 6 892 | 52 477 011 |
| 2021 | Nucala | 8 426 | 63 814 325 |
| 2022 | Nucala | 10 946 | 81 686 149 |
| 2023 | Nucala | 14 015 | 104 739 286 |

Kilde Farmalogg

Anbefaling til Bestillerforum

I lys av opplysningene gitt over, anbefaler DMP at saken tas videre til beslutning. Legemiddelfirma har fått dette notatet til informasjon.

Direktoratet for medisinske produkter, 22.04.2024

Elisabeth Bryn

Enhetsleder

Saksnummer: 088-24 Vedlegg 4

Notat til Bestillerforum for nye metoder

| | |
|--------------|--|
| Til: | <i>Bestillerforum for nye metoder</i> |
| Fra: | <i>Direktoratet for medisinske produkter</i> |
| Dato: | <i>24.04.2024</i> |

Hva saken omhandler i korte trekk

Oppdrag ID2018_062, Hurtig metodevurdering gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for tafamidis (Vyndaqel) til behandling av transtyretin amyloidose polyneuropati.

Oppdragsdato: 27.08.2018

DMP har ikke mottatt dokumentasjon fra firma.

Bakgrunn for saken

Direktoratet for medisinske produkter (DMP) bestilte dokumentasjon til metodevurderinger 18.06.2018. Vi har sendt flere forespørsler til legemiddelfirma, om når de estimerer å sende inn dokumentasjon til metodevurdering for dette oppdraget. Firma har i korrespondanse med DMP bekreftet at de ikke kommer til å levere dokumentasjonspakke for ID2018_062, Tafamidis (Vyndaqel) - til behandling av transtyretin amyloidose polyneuropati.

Informasjon om aktuelt legemiddel:

| | |
|--|--|
| Handelsnavn | Vyndaqel |
| Virkestoff | Tafamidismeglumin |
| ATC-kode | N07XX08 |
| Legemiddelfirma | Pfizer Europe MA EEIG |
| Godkjent indikasjon (MT) | <p>20 mg kapsler: Vyndaqel er indisert for behandling av transtyretin amyloidose hos voksne pasienter med stadium 1 symptomatisk polynevropati for å forsinke perifer neurologisk forverring.</p> <p>61 mg kapsler: Vyndaqel er indisert for behandling av voksne pasienter med villtype eller arvelig transtyretin amyloid kardiomyopati (ATTR-CM).</p> |
| MT-dato | 16.11.2011 |
| MT-dato aktuell indikasjon | 16.11.2011 |
| Aktuell indikasjon | Behandling av transtyretin amyloidose hos voksne pasienter med stadium 1 symptomatisk polynevropati for å forsinke perifer neurologisk forverring. |
| Øvrige indikasjoner og status i Nye Metoder | Er innført med vilkår til ID2019_038: Behandling av transtyretin amyloidose hos voksne med kardiomyopati (indikasjon II) |
| Administrasjonsform | Peroral, kapsel |
| Dosering | Se Preparatomtalen for dosering |
| Markedsføringsstatus | Markedsført, og har godkjente MT-er for andre indikasjoner |
| Lenke til godkjent preparatomtale | Preparatomtale (SPC) |
| Lenke til EPAR | Vyndaqel - EPAR Medicine Overview |

Aktuelle metodevurderinger fra andre land:

Sverige, (TLV/Janusinfo): Finner ingen vurdering for denne indikasjonen

Danmark, (Medicinrådet): [Medicinrådet anbefaler tafamidis til pasienter med arvelig transtyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadiet 1, fordi behandlingen kan forsinke syklusutviklingen for nogle pasienter og samtidig har få bivirkninger.](#)

Skottland, (SMC): [The holder of the marketing authorisation has not made a submission to SMC regarding this product in this indication. As a result we cannot recommend its use within NHSScotland.](#)

England, (NICE/NHS): N.A.

Canada, (CADTH): N.A.

Prisinformatjon:

| Handelsnavn | Legemiddel- form | Styrke | Antall beholdere/ mengde per stk | Maksimal AUP- NOK |
|-------------------------------------|---------------------|--------|-------------------------------------|----------------------|
| Vyndaqel (Pfizer Europe MA EEIG) | Kapsel | 20 mg | Blisterpakning 30 stk | 135 175,90 |
| Vyndaqel (Orifarm AS) | Kapsel | 20 mg | Blisterpakning 30 stk | 135 175,90 |
| Vyndaqel (Abacus Medicine A/S) | Kapsel | 20 mg | Endoseblisterpakning 30 x 1 stk | 135 175,90 |
| Vyndaqel (Pfizer Europe MA EEIG) | Kapsel | 61 mg | Endoseblisterpakning 30 x 1 stk | 195 058,40 |
| Vyndaqel (Orifarm AS) | Kapsel | 61 mg | Endoseblisterpakning 30 x 1 stk | 135 175,90 |

Det er konfidensielle priser på 61 mg kapsler.

Salg av legemiddelet:

Vyndaqel 20 mg kapsler:

| År | Preparatnavn | Antall pakninger |
|-------------|--------------|------------------|
| 2019 | Vyndaqel | 18 |
| 2020 | Vyndaqel | 66 |
| 2021 | Vyndaqel | 116 |
| 2022 | Vyndaqel | 79 |
| 2023 | Vyndaqel | N.A. |

Kilde Farmalogg

Vyndaqel 61 mg kapsler:

| År | Preparatnavn | Antall pakninger |
|------|--------------|------------------|
| 2019 | Vyndaqel | N.A. |
| 2020 | Vyndaqel | N.A. |
| 2021 | Vyndaqel | 34 |
| 2022 | Vyndaqel | 771 |
| 2023 | Vyndaqel | 2 932 |

Kilde Farmalogg

Totalt salg:

| År | Preparatnavn | Antall pakninger |
|------|--------------|------------------|
| 2019 | Vyndaqel | 18 |
| 2020 | Vyndaqel | 66 |
| 2021 | Vyndaqel | 150 |
| 2022 | Vyndaqel | 850 |
| 2023 | Vyndaqel | 2 932 |

Kilde Farmalogg

Anbefaling til Bestillerforum

I lys av opplysningene gitt over, anbefaler DMP at saken tas videre til beslutning. Legemiddelfirma har fått dette notatet til informasjon.

Direktoratet for medisinske produkter, 24.04.2024

Elisabeth Bryn
Enhetsleder

|
Saksnummer: 089-24

Notat til Bestillerforum for nye metoder

| | |
|--------------|--------------------------------|
| Til: | Bestillerforum for nye metoder |
| Fra: | DMP v/Annette Vogt Flatby |
| Dato: | 02.05.2024 |

Oppdrag: ID2024_002 Bærbar hjertestarter til bruk for personer med høy risiko for plutselig hjertestans (f.eks. LifeVest®).

Hva saken omhandler i korte trekk

Produktet som skal metodevurderes i denne saken er for tiden ikke tilgjengelig for det norske markedet og vil ikke være det før slutten av 2025 / begynnelsen av 2026.

Bakgrunn for saken

Zoll skal levere dokumentasjonspakke til DMP for metodevurderingen av bærbar hjertestarter (LifeVest). I samtale med representanter fra Zoll 25.04.2024, kom det frem at produktet ikke er tilgjengelig for det norske markedet nå. Det skyldes til dels at produktet, som skal kunne gi talebeskjeder til pasienten, ikke er tilpasset norsk språk ennå. Produktet skal kun være tilgjengelig for utleie, og logistikken rundt utlevering/innhenting av utstyr samt opplæring i bruk, er ikke på plass. Zoll estimerer at LifeVest vil kunne gjøres tilgjengelig for norske pasienter først i utgangen av 2025 eller i 2026.

Zoll forteller også at de, grunnet presset kapasitet, ikke kan starte arbeidet med dokumentasjonspakken før september 2024. Dersom de bruker lang tid på dette arbeidet, er det mulig at produktet er tilgjengelig når arbeidet med metodevurderingen er ferdigstilt fra vår side og den skal vurderes i beslutningsforum, men det er ikke sikkert.

Informasjon til Bestillerforum for nye metoder o/e forslag

Det ser ut til at dokumentasjonspakke vil bli levert tidligst mot slutten av 2024, mer sannsynlig i 2025. I tillegg vil produktet ikke være tilgjengelig på det norske markedet før sent i 2025 eller tidlig i 2026.

Dette til orientering alternativt at oppdrag avbestilles og firma blir bedt om å melde inn saken til Nye metoder når de er klare å levere dokumentasjonspakke.

Saksnummer: 090-24

| | |
|--------------|--------------------------------------|
| Til: | Bestillerforum for nye metoder |
| Fra: | Sekretariatet for nye metoder og DMP |
| Dato: | 10.05.2024 |

Oppfølging av beslutning: ID2019_119 Entrektinib (Rozlytrek) som monoterapi til behandling av voksne og pediatriske pasienter fra 12 års alder som har solide tumorer som uttrykker nevrotrofisk tyrosinreseptor kinase (NTRK)-genfusjon, og som har en lokalavansert eller metastatisk sykdom, eller der kirurgisk reseksjon forventes å kunne resultere i alvorlig morbiditet, og som ikke har mottatt tidligere behandling med NTRK-hemmer, som ikke har noen tilfredsstillende behandlingsalternativer.

Oppfølging av sak 168-2021, Beslutningsforum 13.12.2021.**Hva saken omhandler i korte trekk**

Beslutningsforum for nye metoder besluttet 13.12.2021 at entrektinib (Rozlytrek) innføres midlertidig til behandling av voksne og pediatriske pasienter fra 12-årsalderen som har solide tumorer som uttrykker NTRK-genfusjon. Beslutningen er knyttet til en alternativ prisavtale, som innebærer at prisen starter på et redusert nivå og deretter kan følge den dokumenterte effekten. Leverandør skal levere ny dokumentasjon før ny vurdering gjennomføres. Det ble besluttet av Beslutningsforum (punkt 3 i beslutningen) at en beskrivelse av dokumentasjonen legges fram for Bestillerforum som vurderer om det er tilstrekkelig grunnlag for en ny vurdering.

Bakgrunn for saken

Beslutningsforum for nye metoder behandlet 13.12.2021 sak 168-2021 og besluttet følgende:

1. Entrektinib (Rozlytrek) innføres midlertidig som monoterapi til behandling av voksne og pediatriske pasienter fra 12 års alder som har solide tumorer som uttrykker nevrotrofisk tyrosinreseptor kinase (NTRK)-genfusjon,
 - og som har en lokalavansert eller metastatisk sykdom, eller der kirurgisk reseksjon forventes å kunne resultere i alvorlig morbiditet, og
 - som ikke har mottatt tidligere behandling med NTRK-hemmer
 - som ikke har noen tilfredsstillende behandlingsalternativer
2. Beslutningen er knyttet til en alternativ prisavtale som innebærer at prisen på legemiddelet starter på et redusert nivå og deretter kan følge den dokumenterte effekten.
3. Leverandør skal levere ny dokumentasjon før ny vurdering gjennomføres. En beskrivelse av dokumentasjonen legges fram for Bestillerforum for nye metoder som vurderer om det er tilstrekkelig grunnlag for en ny vurdering.
4. Det forutsettes at prisen er lik eller lavere enn den prisen som er grunnlaget for denne midlertidige innføringen.
5. Behandlingen kan tas i bruk fra 15.01.2022, da ny pris kan gjelde fra denne datoen.

Det ble besluttet av Beslutningsforum i punkt 3 i beslutningen at leverandør skal levere ny dokumentasjon før ny vurdering gjennomføres. En beskrivelse av dokumentasjonen legges fram for Bestillerforum som vurderer om det er tilstrekkelig grunnlag for en ny vurdering.

Saksfremlegg

Leverandør (Roche) sendte den 22.12.2023 en e-post til sekretariatet for Nye metoder med en oppsummering av hvilke data som er tilgjengelig for oppdatert dokumentasjon per desember 2023 (e-post med vedlegg er vedlagt saken).

Roche skriver følgende som sin vurdering: «*Analysen gjennomført av Cytel viser en forventet overlevelsesgevinst med entrektinib. En eksplorativ kostnadseffektivitetsanalyse er mulig å gjennomføre, men som følge av at resultatene fra analysen er ikke-signifikante, trolig grunnet lavt pasientantall, er vår erfaring fra tidligere metodevurderinger at kvaliteten på dokumentasjon ikke er tilstrekkelig for at Legemiddelverket vurderer at innsendt dokumentasjon er tilstrekkelig for å fastslå effekten av dagens behandling i en populasjon med NTRK-fusjonspositiv kreft og kan dermed ikke estimere kostnadseffektiviteten. Overordnet støtter analysen gjort av Cytel metodevurderingens konklusjon om at entrektinib sannsynligvis vil gi en klinisk meningsfull gevinst for pasienter uten andre behandlingsmuligheter. Gitt god klinisk respons, forventet OS gevinst og dagens avtale mener vi prioriteringskriteriene er oppfylte. I dette tilfellet med svært få pasienter og lav budsjettvirkning, er også konsekvensen av feil beslutning lav og risiko for fortrenging av helse for andre pasientgrupper lav. Vi foreslår dermed at dagens avtale videreføres. Et alternativ er ytterligere innlevering av ny oppdatert dokumentasjonspakke og følge NICE sin definerte prosess og at dokumentasjon leveres på samme måte som i Storbritannia i 2027.*»

Innspill fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP):

Roche har ikke lagt frem dokumentasjon som kan føre til en høyere pris. DMP er enig i at det ikke er grunnlag for å gjennomføre en ny metodevurdering nå.

Forslag til beslutning

1. Bestillerforum for nye metoder mener den innsendte dokumentasjonen ikke er tilstrekkelig grunnlag for en ny vurdering.
2. Bestillerforum for nye metoder ber leverandør levere anmodning om revurdering i 2027 i henhold til forslaget fra leverandøren 22.12.2023. En beskrivelse av dokumentasjonen legges fram for Bestillerforum for nye metoder som vurderer om det er tilstrekkelig grunnlag for en ny vurdering.
3. Bestillerforum for nye metoder ber Sykehusinnkjøp HF om å forlenge og oppdatere avtalen om midlertidig innføring.

Vedlegg

1. E-post med vedlegg fra leverandør av entrektinib (Rozlytrek)

Til Nye Metoder

Oslo, 22.12.2023

Vedrørende avtale om midlertidig innføring av Entrectinib

13.12.2021 ble det besluttet at entrectinib innføres midlertidig til behandling av voksne og pediatriske pasienter fra 12 årsalderen som har solide tumorer som uttrykker NTRK-genfusjon. Denne beslutningen er knyttet til [en alternativ prisavtale](#), som innebærer at prisen startet på et redusert nivå og deretter kan følge den dokumenterte effekten. Leverandøren, Roche, skal levere ny dokumentasjon før en ny vurdering gjennomføres.

Av SLV ble det i 2021 belyst flere usikkerhetspunkter:

1. Ukjent prognostisk verdi av NTRK fusjonsprotein, som gjør at effektiviteten av konvensjonell behandling blant NTRK-fusjonspositive pasienter ikke kan etableres
2. Ukjent effekt av behandling. Ettersom det er en liten pasientgruppe bestående av flere histologier gjør dette effektestimatene mer usikre enn man ønsker
3. Usikkerhet rundt hvorvidt data er generaliserbar til norsk klinisk praksis

Målet med den midlertidige innføringen var å redusere usikkerhet mht. prognostisk verdi av NTRK fusjonsprotein, og forsøke å etablere bedre estimat på relativ effekt basert på pasienter fra Flatiron-databasen matchet til STARTRK-2 studien. Vi har nedenfor oppsummert data som er tilgjengelig for en oppdatert analyse så langt, så vel som hvilke data som vil bli tilgjengelig i fremtiden.

Få pasienter med få alternative behandlinger

Det er i dag ikke innført annen alternativ behandling til entrectinib for NTRK-fusjonspositiv kreft i Norge, hvilket tyder på at nåværende avtalepris er konkurransemessig god. Legemiddelverket la til grunn at mellom 20 og 50 pasienter vil kunne motta entrectinib. Basert på salgstall har vi estimert at det i dag behandles 5 pasienter med entrectinib i Norge, hvorav 2 av disse pasienter har NTRK-fusjonspositiv kreft basert på informasjon fra onkologer.

Datagrunnlag

Vedlagt finner dere en interimanalyse “NTRK Fusion-positive Tumors in Flatiron Health and Foundation Medicine Pan-tumor Clinico-genomic Database - interim analyses (NICE TA644: Entrectinib for treating NTRK fusion-positive solid tumors)”, i tillegg til en rapport Cytel har levert til Roche - “Estimating comparative effectiveness of entrectinib versus standard-of-care amongst NTRK-fusion positive patients using an external control arm”.

Disse ble laget i forbindelse med interimanalysen til Managed Access Agreement i Storbritannia, som ble gjennomført i første halvdel av 2023, og identifiserte svært få NTRK-fusjonspositive pasienter. I Storbritannia, hvor de altså også har en Managed Access Agreement, er avtalen at endelig oppdatert dokumentasjon skal leveres til NICE i 2027, hvor Roche vil presentere en retrospektiv studie av NTRK-fusjonspositive pasienter inkludert deres respektive kliniske utfall, i tillegg til oppdaterte data om pasientdemografi, genomtesting, timing og type behandling. Roche undersøker også for tiden muligheten for å identifisere en matchet NTRK-fusjonsnegativ kohort i CGDB (Flatiron), for å gi en komparatorkohort (for entrectinib-behandlede pasienter) med beskrivende kliniske resultater. Det er foreløpig ikke forventet at det vil være tilstrekkelig med data før dette tidspunktet.

Prognostisk verdi av NTRK fusjonsprotein

Når det gjelder prognostisk verdi av NTRK fusjonsprotein, er det publisert flere studier som adresserer dette. I en observasjonsstudie som evaluerte overlevelse hos pasienter med lokalavanserte eller metastaserende NTRK-fusjonspositive solide svulster, konkluderte Hibar et al. (2022) med at det er en trend mot at NTRK-fusjoner potensielt kan være en negativ prognostisk faktor. Lassen et al. (2023) gjennomførte en metaanalyse med median oppfølgingstid på 2 til 14 år, median OS på mellom 10.1 og 12.7 måneder og hvor pasientene ikke hadde mottatt noen behandling med TRK-hemmere. De konkluderte med at pasientene med NTRK-fusjonspositive solide svulster hadde en 50% økt risiko for død innen 10 år fra diagnose eller start av behandling med standard behandling, sammenlignet med pasienter som hadde NTRK negative solide svulster.

I den vedlagte Cytel-rapporten, “Estimating comparative effectiveness of entrectinib versus standard-of-care amongst NTRK-fusion positive patients using an external control arm” (Cytel, 2023), ble den prognostiske verdien av NTRK fusjonsprotein analysert for voksne pasienter med lokalavansert og metastatisk solide svulster. En kohort på 44 NTRK-fusjonspositive pasienter ble identifisert i Flatiron Health klinisk-genomiske database (FH-CGDB), og matchet 1:4 med en kontrollarm bestående av 161 NTRK villtype (NTRK negative) pasienter. Det ble balansert innenfor hver av de elleve inkluderte tumortypene, og justert for potensielle konfundere. Sammenligning av NTRK-fusjonspositive og negative pasienter gav en HR på 1.7 [0.72, 1.88] med ingen signifikant forskjell i langtidsoverlevelse mellom pasientgruppene. Disse resultatene støtter antagelsen om at NTRK status ikke har noen prognostisk verdi.

Videre ble den prognostiske verdien av NTRK genfusjoner undersøkt ved å matche NTRK-fusjonspositive og NTRK villtype pasienter i en 1:4 (NTRK fusion:NTRK wild-type) ratio (Bazhenova et al., 2021) i en retrospektiv observasjonstudie. Selv om hazard ratio for total overlevelse antydte en høyere risiko for død for pasienter med NTRK-genfusjoner, var forskjellen ikke statistisk signifikant. Dette er et studie som overlapper med Cytel-rapporten; Bazhenova et al. (2021) sitt studie inkluderer 29 NTRK+ pasienter fra 2011-2018, mens i Cytel-rapporten er det inkludert 44 NTRK-fusjonspositive pasienter fra Flatiron.

I alle de beskrevne studiene og Cytel-rapporten er det en usikkerhet grunnet det begrensede antallet NTRK-fusjonspositive pasienter som er inkludert. Funnene er derfor ikke tilstrekkelig for å eliminere usikkerhetspunkt 1, men viser at NTRK-fusjonsgen tenderer til å være en negativ prognostisk faktor. Dagens kunnskap tyder på at pasienter med NTRK-fusjonsgen har en dårligere prognose enn de pasientene som ikke har NTRK-fusjonsgen når de mottar standardbehandling.

Effekt av behandlingen

Oppdaterte data fra intervensjonsstudien (STARTRK-2)

Allerede på ESMO 2021 ble data fra et senere data-cut presentert (1). Antall pasienter og oppfølgingstid har økt fra henholdsvis 74 til 121, og har nå en median oppfølging på 25,8 måneder. Dette bidrar til å gi mer robuste data til bruk i intervensjonsarmen, og reduserer blant annet usikkerheten knyttet til estimering av langtidsoverlevelse (OS). Denne oppdateringen viste at ORR var 61,2 %, median behandlingsvarighet var 20 måneder, PFS og OS var henholdsvis 13,8 og 33,8 måneder. Ytterligere data-cut er ventet i årene som kommer, noe som vil kunne bidra til å redusere usikkerheten for punkt 2, ettersom pasientgrunnlag og oppfølgingstid øker.

Oppdaterte data for en kontrollarm

I den vedlagte interimanalysen, "NTRK Fusion-positive Tumors in Flatiron Health and Foundation Medicine Pan-tumor Clinico-genomic Database - interim analyses (NICE TA644: Entrectinib for treating NTRK fusion-positive solid tumors)", ble totalt 52 pasienter med NTRK-fusjonspositiv kreft inkludert i den endelige kohorten, med 14 ulike typer kreft. Majoriteten av disse ble diagnostisert mellom 2019 og 2022. De fleste hadde tilgjengelig informasjon om behandlingslinje, hvor mest hyppige behandling i første linje var kjemoterapi (46.5%, N=43), i andre linje kjemoterapi kombinert med målrettet behandling (33.3%, N=24) og i tredje linje målrettet behandling (23.1%, N=13). 28 pasienter hadde informasjon om behandlingslinjen etter FDA-godkjenning av den første NTRKi (larotrectinib). Blant disse 28 mottok 12 (42,9%) pasienter NTRKi, hvorav 11 fikk kun larotrectinib og én pasient hadde mottatt både larotrectinib og entrectinib. Prevalensen av NTRK-fusjoner i kohorten (0.1%) er lavere enn det som er beskrevet i litteraturen (0.25%-0.31% i den voksne populasjonen). Dette kan forklares av forskjeller internasjonalt hva gjelder test-strategier og populasjons-karakteristika, siden dette er et kohort kun fra USA. Dataene i interimanalysen er begrenset av kort oppfølgingstid og ukomplette virkelighetsdata.

Siden flertallet av pasienter diagnostisert med NTRK-fusjonspositiv kreft mottar NTRKi(nhibitor) behandling, som entrectinib eller larotrectinib, forblir antallet ikke-behandlede pasienter med NTRKi lavt i FLATIRON. Dette gjør at det blir utfordrende å etablere en tilstrekkelig stor kontrollarm til å etablere et robust estimat på relativ effekt.

Roche har samtidig sett etter andre muligheter, blant annet ved bruk av RealTRK-registeret i Tyskland – datainnsamlingen ble igangsatt for et par år siden – her er 13 pasienter så langt identifisert, og rekrutteringen har vært utfordrende på grunn av begrenset testing (CGP), adopsjon på tvers av histologier er lavere enn forventet (hovedsakelig NSCLC og CRC-kreftpasienter, noen gliomer og sarkom). Dessuten ble det observert andre utfordringer med rutinemessig bruk av NTRKi, spesielt blant skrøpelige og eldre pasienter med komorbiditeter, noe som resulterte i endringer i dosering, noe off-label bruk og manglende data.

I Cytel sin rapport "Estimating comparative effectiveness of entrectinib versus standard-of-care amongst NTRK-fusion positive patients using an external control arm", hvor det ble gjennomført en ekstern kontrollarm analyse, ble det identifisert 43 pasienter i armen for standardbehandling (SoC) fra Flatiron FH-CGDB, og samtidig ble det fra de tre entrectinib-studiene (ALKA-372-001, STARTRK-1 og STARTRK-2) identifisert 182 pasienter til intervensjons-armen (behandlings-armen). Etter justering for konfundere var hhv. 36 og 78 pasienter i armen for standardbehandling og intervensjonsarmen. HR (basert på overlap weighting justerte data), på 0.66 [0.38, 1.13], viser en trend mot at entrectinib gir økt overlevelse sammenlignet med standardbehandling, men resultatet er ikke statistisk signifikant - hvilket sannsynligvis er grunnet lave pasienttall.

I en større sekundær analyse ble både NTRK-fusjonspositive and NTRK villtype pasienter inkludert i kontrollarmen, med en antakelse om at NTRK-status ikke er prognostisk for totaloverlevelse. Kohortene bestod av 227 entrectinib-behandlede NTRK-fusjonspositive pasienter og 10628 NTRK-fusjonspositive/NTRK-villtype pasienter, og resultatene viste en statistisk signifikant OS i favør av entrectinib (HR 0.52 [0.42, 0.65]). Heterogeniteten forårsaket av mange forskjellige tumortyper kunne ikke bli fullt ut løst ved bruk av overlap weighting, og grunnet veldig små pasienttall for noen krefttyper, må man tolke disse med forsiktighet hva gjelder generaliserbarhet.

Usikkerhet rundt generaliserbarhet av data

Usikkerhet rundt hvorvidt data er overførbare og generaliserbare til norsk klinisk praksis er et generelt problem, som ikke er spesifikt for STARTRK-2 studien. Dette vil være en naturlig konsekvens av at flere og flere behandlinger er rettet mot mindre subgrupper av pasienter, eller sjeldne sykdommer generelt.

Roche's vurdering

Vår vurdering er at positiv NTRK-fusjon i det minste ikke er en positiv prognostisk markør for overlevelse. Dette muliggjør en kostnadseffektivitetsanalyse av entrectinib sammenlignet med

en pasientkohort med positiv, negativ og ukjent NTRK status. Roche har tidligere sendt inn en slik modell for entrektinib i forbindelse med metodevurderingen, ID2019_119. Denne kan også gjøres tumoragnostisk basert på sekundæranalysen nevnt ovenfor.

Analysen gjennomført av Cytel viser en forventet overlevelsesgevinst med entrektinib. En eksplorativ kostnadseffektivitetsanalyse er mulig å gjennomføre, men som følge av at resultatene fra analysen er ikke-signifikante, trolig grunnet lavt pasientantall, er vår erfaring fra tidligere metodevurderinger at kvaliteten på dokumentasjon ikke er tilstrekkelig for at Legemiddelverket vurderer at innsendt dokumentasjon er tilstrekkelig for å fastslå effekten av dagens behandling i en populasjon med NTRK-fusjonspositiv kreft og kan dermed ikke estimere kostnadseffektiviteten.

Overordnet støtter analysen gjort av Cytel metodevurderingens ID2019_119 konklusjon om at entrektinib sannsynligvis vil gi en klinisk meningsfull gevinst for pasienter uten andre behandlingsmuligheter. Gitt god klinisk respons, forventet OS gevinst og dagens avtale mener vi prioriteringskriteriene er oppfylte. I dette tilfellet med svært få pasienter og lav budsjettvirkning, er også konsekvensen av feil beslutning lav og risiko for fortrenging av helse for andre pasientgrupper lav.

Vi foreslår dermed at dagens avtale videreføres. Et alternativ er ytterligere innlevering av ny oppdatert dokumentasjonspakke og følge [NICE sin definerte prosess](#) og at dokumentasjon leveres på samme måte som i Storbritannia i 2027.

Ved uklarheter eller spørsmål er det selvsagt bare å ta kontakt.

Med vennlig hilsen

Marie Grøvdal Thoresen
Market Access and RWD Manager
Roche Norge As

Kilder:

Bazhenova L, Lokker A, Snider J, Castellanos E, Fisher V, Fellous M, Nanda S, Zong J, Keating K, Jiao X. TRK Fusion Cancer: Patient Characteristics and Survival Analysis in the Real-World Setting. *Target Oncol.* 2021 May;16(3):389-399. doi: 10.1007/s11523-021-00815-4.

Bazhenova, L., Liu, S.V., Lin, J.J., Lu, S., Drilon, A., Chawla, S.P., Fakih, M., Krzakowski, M., Paz-Ares, L., Blakely, C., Buchsacher, Jr G.L., Cassier, P., Fan, Y., Folprecht, G., McCallum, S., Pitcher, B., Chen, D., Freund, R., Springfield, C. *Annals of Oncology* (2021) 32 (suppl_5): S583-S620. 10.1016/annonc/annonc699

Chen, Y. (Cytel), Hsu, G. (Cytel), Lam, B. (Cytel), Mackay, E. (Cytel), Nikolaidis, C. (Roche), Ramagopalan, S (Cytel). (Roche), Springford, A. (Cytel), Wang, J. (Cytel), Wilkinson, S. (Roche). (2023) Estimating comparative effectiveness of entrectinib versus standard-of-care amongst NTRK-fusion positive patients using an external control arm. Version 0.3. Prepared for F. Hoffmann-La Roche Ltd by Cytel.

Hibar, D. P., Demetri, G. D., Peters, S., Davies, J., Humblet, O., Maund, S. L., & Perez, L. (2022). Real-world survival outcomes in patients with locally advanced or metastatic NTRK fusion-positive solid tumors receiving standard-of-care therapies other than targeted TRK inhibitors. *Plos one*, 17(8), e0270571. <https://doi.org/10.1371/journal.pone.0270571>

Huang, Y., Nikolaidis, C., Fajardo, O. (2022) NTRK Fusion-positive Tumors in Flatiron Health and Foundation Medicine Pan-tumor Clinico-genomic Database – interim analyses (NICE TA644: Entrectinib for treating NTRK fusion-positive solid tumours).

Lassen, U., Bokemeyer, C., Garcia-Foncillas, J., Italiano, A., Vassal, G., Paracha, N., ... & Abrams, K. (2023). Prognostic Value of Neurotrophic Tyrosine Receptor Kinase Gene Fusions in Solid Tumors for Overall Survival: A Systematic Review and Meta-Analysis. *JCO Precision Oncology*, 7, e2200651.

Saksnummer: 091-24

| | |
|--------------|--------------------------------|
| Til: | Bestillerforum for nye metoder |
| Fra: | Sekretariatet for Nye metoder |
| Dato: | 14.05.2024 |

Brukerrepresentasjon i Bestillerforum for nye metoder. Forslag om ny brukerrepresentant.

Hva saken omhandler i korte trekk

En av de to brukerrepresentantene i Bestillerforum for nye metoder har sittet ut sin periode på fire år i august 2024. Sekretariatet for Nye metoder har kontaktet de regionale brukerutvalgene som har kommet med forslag om en ny brukerrepresentant som kan overta etter Øystein Kydland (brukerrepresentant fra Helse Sør-Øst RHF).

Bakgrunn for saken

Bestillerforum for nye metoder har hatt brukerrepresentasjon i møtene siden september 2020. Fra januar 2022 har det vært to brukerrepresentanter i møtene. Brukerrepresentanten rekrutteres fra de regionale brukerutvalgene og har observatørstatus med tale- og forslagsrett i møtene. Brukerrepresentantene oppnevnes for fire år.

Saksfremstilling

De regionale brukerutvalgene har kommet med forslag til følgende brukerrepresentant i Bestillerforum for nye metoder:

Faridah S. Nabaggala – fra regionalt brukerutvalg i Helse Sør-Øst RHF.

Forslag til beslutning

Bestillerforum for nye metoder oppnevner Faridah S. Nabaggala som brukerrepresentant fra september 2024.

Saksnummer: 092-24

| | |
|--------------|--|
| Til: | Bestillerforum for nye metoder |
| Fra: | Arbeidsgruppen for styrket innovering av fagpersoner |
| Dato: | 14.05.2024 |

Videreutvikling av Nye metoder: Involvering av fagpersoner i Nye metoder – beskrivelser og forslag til tiltak for problemstilling 1.**Hva saken omhandler i korte trekk**

Bestillerforum har gitt en arbeidsgruppe i oppdrag å foreslå tiltak til tre utvalgte problemstillinger for styrket involvering av fagpersoner i Nye metoder. Arbeidsgruppen foreslår i dette dokumentet tiltak til den første problemstillingen: Hvordan Nye metoder bedre kan beskrive og synliggjøre de ulike mulighetene for involvering som allerede eksisterer på de ulike trinnene i prosessen.

Arbeidsgruppen anbefaler at Nye metoder prioriterer tiltak for synliggjøring som er rettede mot fagpersoner og deres ledere. Tiltak i form av beskrivende tekster for praktisk fremgangsmåte og illustrasjon i informasjonskanaler disse bruker til vanlig.

Bakgrunn for saken

I Nye metoders strategi for videreutvikling 2023-2028 er det seks satsningsområder. I 2023 prioriterte Nye metoder et avgrenset videreutviklingsarbeid innenfor satsingsområdet styrket medvirkning fra (brukerrepresentanter og) fagpersoner i spesialisthelsetjenesten knyttet til prosessen for legemidler. Styrket medvirkning fra brukerrepresentanter og fagpersoner i spesialisthelsetjenesten skal bidra til økt åpenhet, kvalitet og legitimitet.

Bestillerforum besluttet i september 2023 (sak 147-23) å nedsette en arbeidsgruppe, som ut fra dagens saksbehandlingsprosess for legemidler skal foreslå tiltak for styrket involvering av fagpersoner på følgende problemstillinger:

1. Hvordan Nye metoder bedre kan beskrive og synliggjøre de ulike mulighetene for involvering som allerede eksisterer på de ulike trinnene i prosessen.
2. Hvordan Nye metoder kan bygge videre på og tilpasse eksisterende strukturer og samarbeid. Arbeidsgruppen skal undersøke om Nye metoder for eksempel bør starte rekrutteringen av fagekspertene tidligere i prosessen enn det som gjøres i dag.
3. Hvordan fagpersonenes bidrag i metodevurderingsarbeidet kan forsterkes og synliggjøres bedre.

Arbeidsgruppen skulle koordineres av sekretariatet for Nye metoder.

Arbeidsgruppen ble satt sammen av flere aktører som arbeider direkte inn i dagens prosess, i tillegg til fagpersoner og en representant fra Legeforeningen. Første møte ble gjennomført i desember 2023 og da startet også arbeidet med den første problemstillingen. Endelig mandat og en overordnet tidsplan ble besluttet i Bestillerforum januar 2024 (sak 020-24).

Saksfremstilling – med anbefalte tiltak

For å få et godt utgangspunkt, også med arbeidet til kommende problemstillinger, startet arbeidsgruppen med å utarbeide detaljerte beskrivelser av dagens involvering av fagpersoner på samtlige trinn i Nye metoders saksbehandlingsprosess for legemidler. Nye metoder knytter til seg fagpersoner og grupper av fagpersoner (som avdelinger i helseforetakene og fagmedisinske foreninger) på flere steder i prosessen. Det skjer enten ved at fagpersoner aktivt involveres gjennom forespørsler eller ved at de selv tar initiativ til å bidra med forslag og innspill til metoder som opptar dem. De detaljerte beskrivelsene er vedlagt i vedlegg 1.

Med utgangspunkt i sine kunnskaper om dagens involvering og de informasjonskanaler og rapporteringslinjer som foreligger, har arbeidsgruppen utarbeidet flere mulige tiltak. Tiltak med ulike omfang og til ulike målgrupper har blitt drøftet. For en samlet oversikt over tiltak som arbeidsgruppen har drøftet inklusive tilhørende beskrivelser av informasjonskanaler og ressursbruk, se vedlegg 2.

De tiltakene arbeidsgruppen anbefaler lenger ned i dette dokumentet gjøres utfra følgende forutsetninger:

- RHF-ene eier Nye metoder, og Nye metoder skal jobbe med videreutvikling av systemet innenfor de rammene som er gitt.
- RHF-ene har fra etableringen av Nye metoder vært opptatt av at det å bidra inn i Nye metoder med fagkunnskaper skal være del av det ordinære arbeidet til de ansatte i HF-ene og RHF-ene. Bidrag honoreres derfor ikke særskilt. Før etablering av Nye metoder ble tilsvarende arbeid, om enn i varierende grad, gjort av de ansatte lokalt/regionalt. Nå skal dette arbeidet, og bidraget de ansatte gjør, være del av den nasjonale prosessen.
- RHF-ene har ansvaret for å innhente innspill og rekruttere fagekspertter til Nye metoder. RHF-ene har inngått en avtale med Legeforeningen og deres Fagmedisinske foreninger har, for eksempel, anledning til å gi RHF-ene forslag på mulige fagekspertter. Rekrutteringen av fagekspertter skal skje i lederlinja i HF-ene og det er et lederansvar å legge til rette for deltakelse (tilpasset øvrige arbeidsoppgaver og innenfor arbeidstiden) til den enkelte. Hvis en leder eller et HF oppfatter at det er ressursmangel, må det løftes i eksisterende/etablerte linjer.

Noen av de tiltakene arbeidsgruppen anbefaler har vi allerede begynt å arbeide med.

Innenfor noen terapiområder er det flere metoder til vurdering i Nye metoder enn andre. Det gjelder for eksempel kreft og nevrologi. Det finnes også terapiområder hvor det så langt har vært få eller ingen metoder.

Arbeidet med å nå ut til ledere og ansatte med informasjon om hva som forventes av dem og hvordan de kan bidra i Nye metoder må tilpasses det faktum at behovet til Nye metoder varierer. RHF-ene har ulike størrelser og er organisert forskjellig når det kommer til hvordan de ivaretar sine ansvarsområder mot Nye metoder, med f.eks. regionspesifikke og lokale kontaktpersoner. Hver region har også sin historikk på hvilke informasjonstiltak som er gjennomført tidligere. Respektive region må ved hjelp av sine fagdirektører, RHF-koordinatorer og rekrutteringsfunksjoner bruke sin region- og lokalkjennskap i arbeidet med å nå ut til de fagpersoner som Nye metoder trenger. Hver region må sette av tilstrekkelig med ressurser til dette arbeidet.

Anbefalte tiltak

Basert på kunnskap om dagens involvering av fagpersoner og de kanaler som er vurdert som aktuelle for å innhente og gi informasjon samt kjennskapen til annet videreutviklingsarbeid som pågår foreslår arbeidsgruppen at Nye metoder prioriterer å gjennomføre følgende tiltak (nummerering henviser til tiltakene slik de er nærmere beskrevet i vedlegg 2):

- (1) Utarbeide en kortfattet beskrivende tekst om dagens involvering av fagpersoner i Nye metoder til bruk i flere kanaler sammen med illustrasjon foreslått i tiltak (3).
- (2) Utarbeide kortfattet tekst som inneholder informasjon om forventninger til og muligheter for involvering av fagpersoner i Nye metoder som har ledere og fagpersoner som målgruppe: Ta frem mal til bruk i e-post, i presentasjoner etc..
- (3) Utarbeide en illustrasjon (figur) av dagens involvering av fagpersoner i Nye metoder som kan brukes overfor alle målgrupper og i flere kanaler.
- (4) Helsedirektoratet inkluderer en standardtekst om Nye metoder med hovedfokus på involvering av fagpersoner i utvalgte krefthandlingsprogrammer og nasjonale faglige retningslinjer.
- (5) Fast regions-/lokaltilpasset informasjon om Nye metoder på intranett i HF-ene (med fagpersoner og ledere som målgruppe)
- (7) Inkludere likelydende oppdragstekst i oppdragsdokumentene fra RHF-ene til HF-ene om forventet bidrag til Nye metoder i form av fagkompetanse.

Oppsummert mener arbeidsgruppen at det som bør prioriteres nå er tiltak for synliggjøring ovenfor ledere og fagpersoner i HF-ene. Dette i form av tilpasset informasjon som formidles i etablerte informasjonskanaler og i utvalgte nasjonale faglige retningslinjer og krefthandlingsprogrammer.

Ledere og fagpersoner har for liten kjennskap til forventninger til og muligheter for bidrag på de ulike trinn i prosessen. Alle er heller ikke kjent med sine regionale/lokale kontaktpunkter og hvordan det er lagt til rette for et samspill med det nasjonale nivået. I en travel arbeidshverdag trenger leder og fagpersoner kort informasjon som gjør dem i stand til enkelt å forstå hva de skal bidra med når og hvordan. Tiltak 1, 2 og 3 handler om å utarbeide tilpasset informasjon for å øke kunnskapen.

Dersom Nye metoder skal styrke involveringen fra norsk klinisk praksis anbefaler arbeidsgruppen at regionenes RHF-koordinatorer og rekrutteringsfunksjoner når ut til fagpersonene i de linjer og kanaler som de benytter seg av allerede. Det er viktig at regionale og lokale fagdirektører/fagsjefer hjelper til med å understøtte informasjonsarbeidet og legger til rette for bidrag. Tiltak 4, 5 og 7 vil understøtte at informasjonen blir tilgjengelig i kanaler som er relevante for målgruppen.

Eksisterende ressurser i Nye metoder, RHF-ene og arbeidsgruppen vil kunne gjennomføre de fleste av de foreslåtte tiltakene innenfor eksisterende rammer. I tillegg vil det bli behov for noe hjelp fra regionale/lokale kommunikasjonsavdelinger. Leder av Bestillerforum har allerede godkjent bruk av midler til utarbeidelsen av illustrasjonen i punkt (3).

Arbeidsgruppens videre arbeid

Arbeidsgruppen foreslår at opprinnelig plan for arbeidet står fast og at arbeidet med problemstilling 3 nå får hovedfokus. I tillegg trenger aktørene å bruke noe tid og ressurser til gjennomføringen av de tiltak som Bestillerforum beslutter for problemstilling 1.

Nye metoder har et heldagsmøte 14. juni. I det møtet er det planlagt at Nye metoder skal følge opp og prioritere videreutviklingsarbeid innenfor flere satsningsområder. Aktørene må gjennomføre alt

videreutviklingsarbeid med tildelte ressurser innenfor de rammer som er gitt. Arbeidsgruppen foreslår at vi kommer tilbake med eventuelle forslag til endringer i tidsplan etc. etter sommeren.

Vedlegg

1. Detaljerte beskrivelser av dagens involvering
2. Oversikt over mulige tiltak som arbeidsgruppen har drøftet med tilhørende beskrivelser

Vedlegg 1

Beskrivelse av involveringen av fagpersoner i Nye metoder i prosessen for legemidler

v 1.0. 16.04.2024.

Målgruppe: Bestillerforum (rapportering) og underlag for arbeidsgruppens forslag til tiltak for synliggjøring.

Overordnet involvering i Nye metoder

De regionale helseforetakene (RHF-ene) er eiere og beslutningstakere i Nye metoder. RHF-ene skal innrette tjenestetilbudet til befolkningen og må forholde seg til gitte budsjettammer og prioriteringskriteriene som Stortinget har vedtatt.

Her gis en overordnet oversikt over dagens involvering med utgangspunkt i de ulike aktørene, beslutningstakerne, sekretariatene, forumene og samarbeidspartnere som arbeider opp mot prosessen i Nye metoder:

- **De administrerende direktørene (AD-ene) i de fire RHF-ene** er beslutningstakere i Beslutningsforum for nye metoder (Beslutningsforum). AD-ene for de fire RHF-ene er ansvarlige for beslutninger som tas, og beslutningene skal fattes i konsensus. Hvert RHF har en regional fagdirektør som rapporterer til egen administrerende direktør.
- **De regionale fagdirektørene i de fire RHF-ene** er beslutningstakere i Bestillerforum for nye metoder (Bestillerforum) sammen med to representanter fra Helsedirektoratet. RHF-enes fagdirektører følger metodene gjennom hele prosessen fra de kommer inn i Nye metoder og behandles i Bestillerforum, til de samme fagdirektørene har ansvar for at saksnotat utarbeides. Fagdirektørene utarbeider likelydende anbefaling om beslutning i Beslutningsforum og hver fagdirektør oversender anbefalingen til egen administrerende direktør.
- **Fagpersoner** fra spesialisthelsetjenesten har verdifull kunnskap og erfaring fra norsk klinisk praksis som det er behov for i Nye metoder. Innspill til for eksempel saker som skal behandles i møtene i Bestillerforum og involvering av fagekspert i metodevurderinger bidrar til bedre og mer relevant beslutningsgrunnlag i viktige prioriteringsbeslutninger. Bidrag i form av innspill og deltakelse i metodevurderingsarbeid er en del av oppdraget fra RHF-et til HF-ene. Arbeid som fagekspert lønnes eller honoreres ikke særskilt, og leder og ansatt må avtale nærmere hvordan arbeidet blir tilpasset øvrige oppgaver innenfor arbeidstiden.
- **En RHF-koordinator og/eller en rekrutteringsfunksjon** fra hvert av de fire RHF-ene er koblet på arbeidet i Nye metoder. RHF-koordinatorene/ rekrutteringsfunksjonene innhenter innspill fra relevante fagmiljøer til saker som skal behandles i Bestillerforum og rekrutterer fagekspert til metodevurderingsarbeidet. RHF-ene har ansvar for rekrutteringen og rekrutterer fagekspert fra underliggende HF i lederlinjen, herunder fagekspert foreslått av fagmedisinske foreninger (FMF). RHF-ene skal vurdere alle forslag om fagekspert som er kommet inn fra de fagmedisinske foreningene (FMF-ene) (se punkt under) til metodevurderingsarbeidet.
- **Sekretariatet for Nye metoder** er administrativt plassert i Helse Sør-Øst RHF og har sekretariatsfunksjon for møtene i Bestiller- og Beslutningsforum. Sekretariatet koordinerer prosessene med innhenting av innspill til metoder som skal behandles i Bestillerforum og

rekrutteringen av fagekspert til metodevurderingsarbeidet. Innspill som kommer inn på ulike trinn i prosessen ellers, formidles videre dit saken er i prosessen.

- **Fagdirektørsekretariatet** er de regionale fagdirektørenes sekretariatsfunksjon, som bistår fagdirektørene i arbeidet med å forberede saker for beslutning i Beslutningsforum. De fire RHF-ene ruller på å ha ansvaret for denne sekretariatsfunksjonen for en periode av to år om gangen. Fagdirektørsekretariatet utarbeider saksnotater med forslag til anbefaling fra fagdirektør til administrerende direktør i sakene som skal behandles i Beslutningsforum. Saksnotatene er basert på ferdigstilte metodevurderinger fra Direktoratet for medisinske produkter, prisnotater fra Sykehusinnkjøp og eventuelle innspill fra fagpersoner, pasientforeninger og andre. Innholdet i saksnotatene kvalitetssikres og godkjennes av fagdirektørene, og oversendes så til de fire AD-ene og sekretariatet for Beslutningsforum.

I enkelte saker kan det være behov for ytterligere dialog eller innspill fra fagmiljø. Dette kan eksempelvis være dersom det er behov for å utarbeide inklusjons- eller stoppkriterier, avgrensninger til subgrupper eller motta innspill om klinisk praksis, organisering av behandlingstilbudet eller kapasitet. I utgangspunktet tas kontakt med fagpersoner som har deltatt i metodevurderingene eller spesialistgruppene til Sykehusinnkjøp. Eventuelt har fagdirektørene dialog i egen linje. Aktuelle faggrupper kan også være de som deltar i Helsedirektoratet sine krefthandlingsprogram, eller nasjonale faglige retningslinjer.

- **Legeforeningen** og RHF-ene har inngått en intensjonsavtale som gir mulighet for involvering av fagmedisinske foreninger (FMF)-er både før, under og etter en metodevurdering. En samarbeidsrutine er utarbeidet og fra våren 2023 inviteres FMF-ene til å gi innspill til metoder som skal behandles i Bestillerforum og til å foreslå fagekspert til metodevurderingsarbeid.
- **Sykehusinnkjøp HF** skal bistå alle de fire RHF-ene med anskaffelser av blant annet legemidler. Sykehusinnkjøp HF er representert både i Bestiller- og Beslutningsforum for å gi anbefalinger og innspill ut fra sitt ansvarsområde. Divisjon legemidler i Sykehusinnkjøp HF jobber tett med fagpersoner i helseforetakene ved anskaffelser av legemidler. Sykehusinnkjøp HF har etablert grupper av fagpersoner, såkalte spesialistgrupper, som blant annet gir faglige innspill til utarbeidelse av konkurransegrunnlaget i forbindelse med anbud for hvert sykdomsområde. Fagpersonene som er medlemmer av en spesialistgruppe, oppnevnes av RHF-ene på bakgrunn av sin kompetanse innenfor det aktuelle sykdomsområdet og representerer HF-et eller RHF-et som de er ansatt i. I 2023 fikk spesialistgruppene et utvidet mandat. I tillegg til å understøtte Sykehusinnkjøp HF arbeid med prisforhandlinger og anbud, skal spesialistgruppene gjøre en tidlig faglig vurdering av sammenlignbarhet når det kommer inn anmodninger om vurdering av legemidler hvor det er relevant å gjøre en slik vurdering.
- **Direktoratet for medisinske produkter (DMP)** utarbeider alle typer metodevurderinger av legemidler og medisinsk utstyr. DMP er representert i Bestillerforum for å gi anbefalinger og innspill ut fra sitt ansvarsområde, og i Beslutningsforum for å kunne svare på spørsmål til metodevurderingene. DMP gjennomgår alle anmodninger, forslag og innkomne innspill, og utarbeider egnethetsvurderinger til Bestillerforum. DMP bruker fagekspertene som RHF-ene har rekruttert i metodevurderingsarbeidet.
- **Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet (DSA)** blir involvert i metodevurderingsarbeidet til DMP dersom metoden omhandler medisinsk stråling.
- **Helsedirektoratet** har ansvaret for innhold i, og utarbeidelse av, nasjonale faglige retningslinjer og krefthandlingsprogrammer. Helsedirektoratet er, sammen med RHF-ene, beslutningstakere i Bestillerforum. De er representert i Beslutningsforum for å ivareta sitt

ansvar og gi innspill på sine ansvarsområder. Helsedirektoratet trenger faglige innspill til arbeidet med handlingsprogram og retningslinjer, og nedsetter grupper med fagpersoner fra HF-ene til dette arbeidet.

Involvering i saksgangen i Nye metoder

Her er en oversikt over hvordan fagpersoner er involvert i de ulike trinnene i prosessen i Nye metoder.

1. Forslag

Fagpersoner har, som alle andre, anledning til å sende inn forslag om bruk av legemidler som de mener burde vurderes i Nye metoder.

Bakgrunn og hensikt (med involveringen)

For nye legemidler og nye indikasjoner for patenterte legemidler, er det leverandørens ansvar å anmode om vurdering og levere dokumentasjon til Nye metoder. For legemidler som kan være i bruk og i situasjoner hvor det er lite sannsynlig at en leverandør vil søke om markedsføringstillatelse (og derfor heller ikke anmode om en vurdering), kan fagpersoner vurdere å sende inn et forslag om nasjonal metodevurdering.

Fagpersoner har kjennskap til hvordan metoder brukes i norsk klinisk praksis, og hvilke metoder de ser behov for at det finnes en nasjonal beslutning på. Fagpersoner kan for eksempel ha kjennskap til nasjonale ulikheter i klinisk praksis som kan brukes som utgangspunkt for et forslag om en nasjonal metodevurdering.

Hvordan involveres fagpersonene?

Aktiv involvering – fagpersoner bes om å utarbeide og sende inn forslag

- Hvis aktørene eller deres representanter, som for eksempel RHF-koordinatorene eller sekretariatet, mottar spørsmål som indikerer at en fagperson/et fagmiljø ser behov for en nasjonal vurdering av en metode i Nye metoder, oppfordres den aktuelle fagpersonen/det aktuelle fagmiljøet til å sende inn et forslag.
- Helsedirektoratet vurderer behovet for å utarbeide forslag til metodevurderinger i samarbeid med fagpersoner tilknyttet nasjonale faglige retningslinjer eller krefthandlingsprogram.

Mulighet for involvering - dersom fagpersoner ser behov

- På nyemetoder.no ligger forslagsskjema og informasjon om forslagsprosessen tilgjengelig for alle.
- RHF-ene er ulikt organisert. Alle regioner har en RHF-koordinator. I Helse Sør-Øst RHF og Helse Vest RHF finnes regionale kompetansesentre for kunnskapsbasert praksis og metodevurderinger, som kan veilede fagpersoner i regionen med informasjon om Nye metoder, prioriteringsarbeid og hvordan de kan involvere seg om de har forslag og innspill.

2. Forberedelser til Bestillerforum for Nye metoder

Bestillerforum skal, basert på innkomne anmodninger, forslag og innspill, ta stilling til om det skal gis oppdrag om en nasjonal metodevurdering og hvilken type oppdrag som er hensiktsmessig.

Bestillerforum skal behandle like saker likt. Nye metoder kan spare ressurser ved å gi oppdrag om

forenklete vurderinger der det er beste løsning. Noen ganger vurderes det for eksempel som tilstrekkelig å gi oppdrag om et prisnotat.

Aktørene tar med seg kunnskap og faglige innspill som er opparbeidet i lignende saker til møtene – i tillegg til faglige innspill i den spesifikke saken. DMP og Sykehusinnkjøp HF kan for eksempel ha fått innspill om pasientpopulasjonens størrelse når de har gjort en metodevurdering av et annet legemiddel til den samme pasientgruppen tidligere. DMP bruker ellers innkomne innspill fra fagpersoner i utarbeidelsen av egnethetsvurderingene til Bestillerforum, herunder innspill fra fagmedisinske foreninger (FMF). Utfallet av spesialistgruppens vurderinger, egnethetsvurderingene og alle innhentede innspill blir med i sakspapirene til Bestillerforum.

Bakgrunn og hensikt (med involveringen)

Bestillerforum må ha nok kunnskap om legemidlet og den aktuelle indikasjonen for å ta stilling til om det skal gis et oppdrag og hvilken type oppdrag som bør gis. Bestillerforum bør for eksempel ha kunnskap om størrelsen på pasientpopulasjonen for metoden, og hva som er behandlingsalternativet for pasientene i dag (dagens standardbehandling). Videre er det nyttig for Bestillerforum å vite om det er undergrupper av pasienter som forventes å kunne ha særskilt nytte av behandlingen slik at det bør planlegges for subgruppe-analyser, om det er aktuelt å utvikle start-stopp-kriterier for bruk i klinisk praksis, samt om metoden kan egne seg for alternative prisavtaler, midlertidig innføring og eventuelle øvrige vilkår før innføring.

Hvordan involveres fagpersonene?

Aktiv involvering – fagpersoner bes om å gi innspill

- Sekretariatet videresender alle anmodninger om vurdering til Sykehusinnkjøp HF har ansvar for at spesialistgruppene gjør tidlige faglige vurderinger av sammenlignbarhet når det finnes en spesialistgruppe som kan gjøre dette og det er hensiktsmessig for den videre saksgangen. Dersom et legemiddel i en anmodning vurderes som sammenlignbart med et annet legemiddel som allerede er metodevurdert til indikasjonen i anmodningen, kan Bestillerforum vurdere at det er tilstrekkelig å gi oppdrag om et prisnotat.
- Sekretariatet sender alle anmodninger og forslag om vurdering, unntatt metoder som blir vurdert som sammenlignbare, til RHF-ene for innspill. RHF-ene har ansvaret for prosessen som innhenter faglige innspill fra HF-ene. RHF-ene tar som oftest kontakt gjennom lederlinjen (avdelinger) i HF-ene når de innhenter innspill til saker som skal behandles i Bestillerforum.
- Sekretariatet sender også alle anmodninger og forslag til Legeforeningen. Legeforeningen videresender invitasjon til å gi innspill til de FMF-ene som Legeforeningen vurderer er relevante for den enkelte metode. De FMF som har innspill, oversender disse til sekretariatet for Nye metoder med kopi til Legeforeningen.
- Helsedirektoratet innhenter innspill fra leder av relevant handlingsprogram eller nasjonal faglig retningslinje. Til samme frist som fagpersonene i HF-ene og FMF-ene gir faglige innspill til Bestillerforum, gir Helsedirektoratet informasjon om hvilken/hvilke eventuelle nasjonale faglige retningslinjer eller krefthandlingsprogrammer som har et innhold som tilsier at de kan påvirkes av saksbehandlingen av den aktuelle metoden i Nye metoder.

Mulighet for involvering - dersom fagpersoner ser behov for det

- Anmodninger og forslag, både om vurdering og revurdering, publiseres på nyemetoder.no. Abbonenter mottar nyhetsbrev med lenker til innspillskjema og tidsfrister. Alle kan, som privatperson eller fagpersoner, fylle ut skjema og sende inn innspill. Alle innspill som mottas innen fristen blir med i sakspapirene til Bestillerforum.

3. Møte i Bestillerforum

Alle innkomne anmodninger, forslag og innspill behandles i møtene i Bestillerforum og bidrar til å belyse sakene. Bestillerforum beslutter om det skal gis et oppdrag (eller ikke) og hvilken type oppdrag som skal gis. Det er ressurs- og tidskrevende å gjennomføre metodevurderinger. Bestillerforum må etterstrebe at omfang og innhold av eventuelle oppdrag tilpasses den enkelte sak. Om det for eksempel kommer inn en anmodning om en revurdering og det ikke ventes at en ny metodevurdering vil endre utfallet av en eksisterende beslutning, gis det ikke oppdrag.

Bakgrunn og hensikt

De regionale fagdirektørene er beslutningstakere i Bestillerforum og representerer RHF-ene (eier) i møtene. I beslutningene som tas tar fagdirektørene hensyn til hva som vil være hensiktsmessig for den samlede ressursbruken og den videre håndteringen i Nye metoder.

Lederskapet for Bestillerforum ruller mellom fagdirektørene i RHF-ene. De leder normalt Bestillerforum to år av gangen.

4. Arbeid med metodevurderinger og prisnotater

DMP har ansvaret for å gjennomføre alle typer metodevurderinger av legemidler (og medisinsk utstyr). Leverandørene av legemidler (legemiddelfirmaene) har ansvar for å levere nødvendig dokumentasjon til majoriteten av metodevurderingstypene før metodevurderingsarbeidet kan starte.

Sykehusinnkjøp HF har ansvaret for prisforhandlinger og tilbud for de aktuelle legemidlene. Sykehusinnkjøp HF bruker metodevurderingen fra DMP til å forhandle pris på legemidlet med firma. Fremforhandlet, konfidensiell pris, og beregninger av kostnader og budsjettvirkning på bakgrunn av denne, presenteres i et prisnotat.

Bakgrunn og hensikt (med involveringen)

DMP trenger innspill fra fagpersoner i Norge til å kvalitetssikre innholdet i dokumentasjonen fra leverandørene. Innspillene bidrar til validering av dokumentasjonen som fremlegges fra leverandørene og er viktige for å sikre at metodevurderingene er relevante med tanke på dagens norske forhold og klinisk praksis. Eksempler på informasjon som DMP kan ha behov for, er antall pasienter som er aktuelle for behandlingen med et nytt legemiddel, hva som er alternativet til behandlingen (dagens standardbehandling) og om dokumentasjon og forutsetninger som er gjort er relevant sammenlignet med norsk klinisk praksis.

Sykehusinnkjøp HF bruker faglige innspill fra spesialistgruppene i utarbeidelse av konkurransegrunnlaget innenfor hvert sykdomsområde. I tilfeller med alternative prisavtaler bruker Sykehusinnkjøp HF innspill fra fagpersoner om det trengs verifisering av andre elementer enn innholdet i metodevurderingen. Det kan for eksempel være hvordan eller om parametre i en effektbasert avtale er forenlig med dagens oppfølging i klinisk praksis. Sykehusinnkjøp HF er også i kontakt med fagpersoner i helseforetakene i forbindelse med gen- og celleterapiavtaler, for blant annet å få verifisert hvordan behandlingen utføres og hvilke avdelinger som er involvert.

Hvordan involveres fagpersonene?

Aktiv involvering - fagpersoner rekrutteres av RHF-ene eller kontaktes av Sykehusinnkjøp HF

- RHF-ene rekrutterer fagpersoner (inklusive de som er foreslått av FMF-ene) som har kunnskap om fagfeltet fra HF-ene¹ og de bidrar i metodevurderingsarbeidet som såkalte fageksperter. DMP tar direkte kontakt med fagekspertene som er rekruttert. Kontakten skjer oftest på e-post, men fagekspertene blir også kontaktet på telefon eller via Teams-møter med flere fagpersoner samtidig. Hvem som har deltatt som fageksperter fremgår av metodevurderingen.
- Sykehusinnkjøp HF tar direkte kontakt med relevante fagmiljøer eller fagpersoner i helseforetakene. Kontakten er oftest på e-post, men kan også være telefonisk eller Teams-møter.

Mulighet for involvering - dersom fagpersoner ser behov for det

- Nye metoder publiserer fortløpende ferdigstilte metodevurderinger og notater i offentlige versjoner på metodesidene/nyemetoder.no. Innspill til disse kan sendes til sekretariatet som formidler innspillene videre for oppfølging til DMP, Sykehusinnkjøp HF eller beslutningstakerne – avhengig av hvor i prosessen metoden befinner seg.

5. Forberedelser til beslutning

Når metodevurderinger, prisnotater og annet ferdigstilles av utrederne, utkwitterer beslutningstakerne i Bestillerforum oppdragene fortløpende utenom de månedlige møtene. Dette skjer via en samhandlingsplattform med en signeringsløsning. Kun dersom beslutningstakerne ser behov for det, blir utkwitteringen lagt til et møte.

Fagdirektørsekretariatet utarbeider et saksnotat som oppsummerer saken og har forslag til anbefaling fra fagdirektørene. Saksnotatet er basert på metodevurderingen fra DMP, prisnotat fra Sykehusinnkjøp og innspill som er gitt i prosessen. Under forberedelsene til beslutning, kan det være nødvendig at flere metoder ses i sammenheng, og eventuelt også behov for å hente inn ytterligere innspill fra fagmiljø. Eksempler på dette kan være vurderinger av subgrupper, klinisk praksis, vurdering av kapasitet f.eks. ved avansert behandling (eks. Genterapi, CAR-T), eventuelt ved behov for start-stoppkriterier.

Bakgrunn og hensikt (med involveringen)

Fagdirektørsekretariatet utarbeider saksnotater og kvalitetssjekker med Nye metoder sine aktører før fagdirektørene ferdigstiller sin anbefaling. Fagdirektørene vurderer om det er behov for ekstra forankring i fagmiljø dersom det er aktuelt.

Hvordan involveres fagpersonene?

Aktiv involvering - fagdirektørsekretariatet eller fagdirektørene tar direkte kontakt

- I enkelte saker kan fagdirektørsekretariatet og fagdirektørene se behov for å involvere fagmiljø på ny, for ytterligere innspill eller avklaringer. Fagdirektørsekretariatet tar kontakt med fagpersonene/fagekspertene som allerede har vært involvert i prosessen gjennom

¹ De regionale fagdirektørene har besluttet at en person som har vært involvert i utarbeidelse av dokumentasjonspakken for firma til en metode, som hovedregel ikke skal rekrutteres som fagekspert til metodevurderingsarbeidet for den samme metoden. Fagdirektørene ser at det kan være tilfeller hvor det er behov for å avvike fra hovedregelen, for eksempel når det er små eller få fagmiljøer i landet. I de tilfellene påpekes det at det er ekstra viktig at det etterstrebes å ha med flere fageksperter.

metodevurderingen eller spesialistgruppene, men også nasjonale faggrupper i aktuelt handlingsprogram. Fagdirektørene har også direkte kontakt med fagmiljø i egen linje i sin helseregion, eventuelt også med relevant FMF. Ved behov for ytterligere kontakt med fagpersoner er det dialog mellom fagdirektørene og RHF-koordinatorene. Kontakten skjer oftest via e-post, ved behov innkalles det til møter med aktuelt fagmiljø.

6. Beslutning i Beslutningsforum

De administrerende direktørene er ansvarlige for beslutninger som tas, og beslutningene skal fattes i konsensus. Fagdirektørens anbefaling (saksnotat) legges frem sammen med de øvrige saksdokumentene (metodevurderinger, prisnotater og eventuelt andre dokumenter og innspillene som er kommet) for beslutning. De administrerende direktørene beslutter om en metode innføres eller ikke – og eventuelt hvilke vilkår som gjelder.

Bakgrunn og hensikt

Fagdirektørene, som har fulgt metodene gjennom prosessen i Nye metoder, utarbeider en felles anbefaling om beslutning til Beslutningsforum som hver fagdirektør oversender til egen administrerende direktør. Fagdirektørene deltar i møtene. DMP, Sykehusinnkjøp HF, og Helsedirektoratet deltar som bisittere ved spørsmål.

7. Implementering av beslutninger etter Bestiller- og Beslutningsforum

Sekretariatet for Nye metoder publiserer beslutninger fra Bestiller- og Beslutningsforum på nettsiden nyemetoder.no. RHF-ene følger sine respektive rutiner for hvordan de formidler informasjon til ansatte i HF-ene. Helsedirektoratet oppdaterer relevante krefthandlingsprogram og nasjonale faglige retningslinjer. Sekretariatet har også et samarbeid med Felleskatalogen som får informasjon, og oppdaterer innholdet på Felleskatalogen.no i tråd med beslutningene.

Bakgrunn og hensikt

En metode skal som hovedregel ikke tas i bruk til nye pasienter mens den er til vurdering i Nye metoder. Nye virkestoff og indikasjonutvidelser skal ikke forskrives i spesialisthelsetjenesten før det er fattet en nasjonal beslutning om innføring. Beslutninger i Beslutningsforum om innføring er kan-beslutninger. Det vil si at en metode kan tas i bruk i spesialisthelsetjenesten innenfor rammene av beslutningen.

Hvordan involveres fagpersonene?

Aktiv involvering - fagmiljøet avgjør hvordan behandlingen skal brukes innenfor rammene av det som er besluttet

- Det er opp til fagmiljøet/det enkelte HF hvordan metoden blir en del av behandlingstilbudet, så lenge det skjer innenfor rammene av det som er besluttet.
- Helsedirektoratet tar direkte kontakt med leder av arbeidsgruppene eller hele arbeidsgruppene til krefthandlingsprogram og nasjonale faglige retningslinjer om nødvendig.

Oppsummering

Dersom hele prosessen i Nye metoder ses samlet, er fagpersoner involvert på alle trinn i prosessen. Nye metoder knytter til seg fagpersoner og grupper av fagpersoner (som avdelinger i helseforetakene og fagmedisinske foreninger) på flere steder i prosessen. Det skjer enten ved at fagpersoner aktivt involveres eller ved at de har anledning til å bidra med forslag og innspill til metoder som opptar dem. I tillegg til at fagpersoner kan bli kontaktet direkte gjennom de aktive former for involvering i Nye metoder, bør fagpersoner holde seg oppdatert på nyemetoder.no og via nasjonale faglige retningslinjer og handlingsprogrammer.

Vedlegg 2.

Oversikt over mulige tiltak som er blitt drøftet i arbeidsgruppen til problemstilling 1

Målgruppe: Arbeidsgruppen som underlag for en anbefaling til Bestillerforum på hvilke tiltak som Nye metoder burde prioritere nå.

Innledning og bakgrunn

Bestillerforum nedsatte i september 2023 en arbeidsgruppe som skulle arbeide med tre problemstillinger. Arbeidsgruppe har siden desember 2023 arbeidet med å beskrive dagens involvering av fagpersoner i Nye metoder og utarbeide forslag til tiltak til den første problemstillingen: «Hvordan Nye metoder bedre kan beskrive og synliggjøre de ulike mulighetene for involvering som allerede eksisterer på de ulike trinnene i prosessen.»

Arbeidsgruppen er sammensatt av flere som arbeider direkte inn i dagens prosess, og i tillegg inngår fagpersoner og en representant fra Legeforeningen.

For å få et underlag for det videre arbeidet begynte arbeidsgruppens medlemmer med å utarbeide et dokument/notat (se vedlegg 1) med detaljerte beskrivelser av dagens involvering av fagpersoner på samtlige trinn i Nye metoders saksbehandlingsprosess for legemidler.

I dette dokument redegjør arbeidsgruppen først for de målgrupper og kanaler som vi har definert og vurdert som aktuelle. Deretter lister arbeidsgruppen alle de mulige tiltak for synliggjøring som vi har utarbeidet basert på medlemmenes kunnskaper om dagens involvering av fagpersoner og kanaler som kan være aktuelle for informasjonsformidling.

Målgrupper og kanaler for informasjon

Arbeidsgruppen har definert følgende målgrupper for tiltak for synliggjøring ut ifra beskrivelsene av dagens involvering:

- Fagdirektører/fagsjefer i HF-ene.
- Ledere i HF-ene dvs. ledere i «linja» på avdelinger.
- Fagpersoner i spesialisthelsetjenesten (inklusive de som i tillegg er oppnevnt til å delta i Helsedirektoratets handlingsprogram eller en faggruppe til Sykehusinnkjøp LIS, og/eller er medlemmer av Legeforeningens fagmedisinske foreninger.)
- Allmenheten.

Medlemmene av arbeidsgruppen mener at følgende kanaler kan være aktuelle for å nå ut til målgruppene i Nye metoder- og RHF-/HF-sammenheng:

- Intern e-post/nyhetsbrev som sendes ut til de ansatte i samme region / HF- og interne møter som brukes for å informere ansatte.
- Intranett for HF.
- Internett til HF og RHF.
- Nyemetoder.no
- Oppdragsbrevene fra RHF til HF.
- Helsedirektoratets krefthandlingsprogrammer og Nasjonale faglige retningslinjer.

- Informasjons- og drøftingsmøter som aktørene i Nye metoder arrangerer og deltar på allikevel (f.eks. regionale fagdirektørmøter, møter i regi av LMI og LIS-seminarer).
- Læringsportaler med kurs til ansatte.

Arbeidsgruppen mener at tiltak for synliggjøring overfor fagdirektører/fagsjefer i HF-ene, ledere i HF-ene og fagpersoner i spesialisthelsetjenesten bør ha høyest prioritert. Det er de som skal involveres i prosessene i Nye metoder. Arbeidet som fagekspert i Nye metoder honoreres ikke særskilt, men skal inngå i de vanlige arbeidsoppgavene til de ansatte. Det er viktig at det utarbeides informasjonsmateriell som er tilpasset disse målgruppene uansett hvilken kanal som brukes.

Mulige tiltak

Under hvert tiltak beskrives målgruppe(r) og behovet som tiltaket er ment å dekke, hvilken kommunikasjonskanal som er aktuell samt kommentarer til forventet ressursbruk og fremgangsmåte ved gjennomføring.

Det er ikke noen rangering av tiltakene i dette dokument.

1: Utarbeide en kortfattet beskrivende tekst om dagens involvering av fagpersoner i Nye metoder til bruk i flere kanaler sammen med illustrasjon foreslått i tiltak 3. (En tekst som beskriver.)

Målgruppe og behov dette tiltaket dekker:

- **Alle målgrupper** skal raskt få en overordnet forståelse for involveringen av fagpersoner som er i prosessen per i dag. Beskrive i kort tekst hvor det er aktiv involvering og hvor det er mulighet for fagpersoner å involvere seg hvis de ser behov. Teksten arbeidsgruppen har utarbeidet som underlag for å foreslå tiltak for synliggjøring er for detaljert og den nåværende informasjonen på nyemetoder.no beskriver ikke dette tilstrekkelig.

Kanal(er): - Alle - generisk underlag som blir utgangspunktet for alle andre tiltak som foreslås.

Kommentar til gjennomføring og ressursbruk:

-Eksisterende ressurser i sekretariatet kan ta frem en tekst med utgangspunkt i notatet med beskrivelser av dagens involvering som arbeidsgruppen har utarbeidet.

2. Utarbeide kortfattet tekst («One Pager») som inneholder informasjon om forventninger til og muligheter for involvering av fagpersoner i Nye metoder som har ledere og fagpersoner som målgruppe: Ta frem mal til bruk i e-post, i presentasjoner (pptx-format). («Hjelp til forståelse og praktisk fremgangsmåte.»)

Målgruppe og behov dette tiltaket dekker:

- **Ledere i HF-ene** dvs. ledere i «linja» på avdelinger og fagpersoner ansatt i spesialisthelsetjenesten. Kortfattet og praktisk informasjon om når, hvorfor og hvordan fagpersoner kan bidra med innspill til Nye metoder. Ledernes ansvar å identifisere fagpersoner og frigi tid til bidrag (innspill og fagekspertarbeid).

Kanal(er):

- Intern e-post/nyhetsbrev som sendes ut til de ansatte i samme region / HF og interne møter som brukes for å informere ansatte.

Kommentar til gjennomføring og ressursbruk:

- Eksisterende ressurser i sekretariatet kan utarbeide et utkast til tekst som arbeidsgruppen bistår med å ferdigstille. Eksisterende ressurser i RHF-ene (rekrutteringsfunksjonen og RHF-koordinatorene)

må deretter tilpasse templatet til regionen og distribuere til bruk i respektive region.

-Regionale fagdirektører understøtter distribusjonen til fagdirektører/fagsjefer på HF-ene slik at de igjen kan distribuere til relevante ledere i linjen på HF-ene og til fagpersoner i respektive region. Rekrutteringsfunksjonen og RHF-koordinator må sammen med regional fagdirektør og fagdirektørene/fagsjefene i HF-ene vurdere hvilke ledere og ansatte i regionen som til enhver tid trenger informasjon om forventinger og muligheter for involvering i Nye metoder. Hvert RHF bør i denne sammenheng også vurdere hvem som er avsender (rekrutteringsfunksjon, regionale/lokal fagdirektør, andre?) for å bidra til tilstrekkelig nivå av forankring.

3: Utarbeide en illustrasjon (figur) av dagens involvering av fagpersoner i Nye metoder som kan brukes overfor alle målgrupper og i flere kanaler.

Målgruppe og behov dette tiltaket dekker:

- **Alle målgrupper** kan raskt og på en intuitiv måte se, og få en overordnet forståelse for, involveringen av fagpersoner som er i prosessen per i dag. Prosesskartet over Nye metoder i dag beskriver ikke dette tilstrekkelig.

Kanal(er): Alle - generisk underlag som blir utgangspunktet for alle andre tiltak som foreslås.

Kommentar til gjennomføring/ressursbruk:

-Innebærer samarbeid med byrå og dermed kostnader, samt bruk av eksisterende ressurser i sekretariatet. Sekretariatet har noen midler som etter avklaring med leder av Bestillerforum kan brukes til dette.

- Beskrivelser av hvordan Nye metoder fungerer finnes på nyemetoder.no i artikler under «Om systemet». Nye metoder bør etterstrebe at alle beskrivelser om systemet er oppdatert. De illustrasjoner som brukes for å beskrive systemet bør også være oppdatert og ha lik grafisk profil som er i tråd med nasjonalt profilprogram til helseforetakene¹. Vi tenker da på illustrasjoner som f.eks. prosesskartet, det visuelle uttrykket på nettsidene, maler som brukes når aktørene i Nye metoder presenterer fra Nye metoder i ulike sammenhenger og detaljerte illustrasjoner av enkeltfunksjoner i systemet av typen som foreslås her. Ikke alle illustrasjoner er oppdatert til å ha lik profilering i dag.

-Sekretariatet har etter avklaring med leder av Bestillerforum takket ja til pristilbud fra designbyrå for oppdatering av eksisterende prosesskart og utarbeidelse av illustrasjon av dagens involvering av fagpersoner.

4: Helsedirektoratet inkluderer en standardtekst om Nye metoder med hovedfokus på involvering av fagpersoner i utvalgte krefthandlingsprogrammer og nasjonale faglige retningslinjer.

Målgruppe og behov dette tiltaket dekker:

Fagpersoner. Mer spesifikt de fagpersoner som jobber innenfor felter hvor Helsedirektoratet utarbeider krefthandlingsprogrammer eller nasjonale faglige retningslinjer, og som påvirkes av beslutninger i saksbehandlingsprosessen i Nye metoder.

Kanal(er): Krefthandlingsprogrammer eller nasjonale faglige retningslinjer som påvirkes, eller kan komme til å påvirkes, av beslutninger i saksbehandlingsprosessen i Nye metoder.

Kommentar til gjennomføring/ressursbruk:

-Helsedirektorat kan bruke eksisterende interne ressurser til å ta utgangspunkt i den kortfattede teksten som foreslås i punkt 1 og 2 og tilpasse den til dette bruk. Hvis illustrasjonen som foreslås i tiltak 3 blir besluttet utarbeidet kan Helsedirektoratet også bruke denne. Helsedirektoratet kan avstemme forslag til tekst med arbeidsgruppen.

¹ Se denne nettsiden for: [Nasjonalt profilprogram for helseforetakene - regjeringen.no](https://www.regjeringen.no)

- Helsedirektoratet kan bruke eksisterende interne ressurser og involvere faggruppene de har for krefthandlingsprogrammer / nasjonale faglige retningslinjer i vurderingen av hvilke nasjonale faglige retningslinjer / handlingsprogram som til enhver tid skal ha en slik standardtekst. En eventuell inkludering av tekst i et krefthandlingsprogram eller en nasjonal faglig retningslinje må forankres og godkjennes i lederlinjen hos Helsedirektoratet.

5: Fast regions-/lokaltilpasset informasjon om Nye metoder på intranett i HF-ene (med fagpersoner og ledere som målgruppe)

Målgruppe og behov dette tiltaket dekker:

- **Fagpersoner og ledere i HF-ene** har behov for på en enkel måte finne frem til regions-/lokaltilpasset informasjon om Nye metoder. Herunder for eksempel kontaktinformasjon til regionens rekrutteringsfunksjon og RHF-koordinator og regionens innspillskjema. RHF-ene har ulik størrelse og er ulikt organisert. Gjennom å legge ut regiontilpasset informasjon på intranett blir Nye metoders nasjonale del (inkludere logo og lenke til nyemetoder.no) vist og informert om i en kanal sammen med annen informasjon de ansatte skal bruke regelmessig. Fagpersoner og ledere i HF-ene som ennå ikke er så kjent med Nye metoder kan se at det er en del av RHF-ene/HF-enes arbeid.

Kanal(er): HF-enes intranett

Kommentar til gjennomføring/ressursbruk:

-Eksisterende ressurser ved rekrutteringsfunksjonene og RHF-koordinatorene kan ta utgangspunkt i teksten, informasjonsmaterialet og illustrasjonen som foreslås i punkt 1, 2 og 3 og tilpasse innhold til bruk ovenfor HF-ene.

- Regionenes/lokale nettansvarlige kan bistå med eksisterende ressurser til å legge ut informasjonen og foreta ev. lokale tilpasninger og vedlikehold.

- Rekrutteringsfunksjon og RHF-koordinator kan fortløpende vurdere hvilke HF som trenger informasjon om forventinger og muligheter for involvering i Nye metoder og gjøre informasjonen på nett mer eller mindre synlig basert på det.

6: Fast og synlig kort informasjon om Nye metoder på HF/RHF-enes internett.

Målgruppe og behov dette tiltaket dekker:

- **Allmenheten (pasienter og pårørende)** som besøker internettsidene til HF og RHF. Tiltak for å knytte det nasjonale sterkere til hver region ved at Nye metoder også er synlig i hver region. Med kort informasjon tenker vi maks et par setninger og så logoen med lenke til nyemetoder.no.

Kanal(er): Internett til HF og RHF

Kommentar til gjennomføring/ressursbruk:

- RHF-ene og HF-ene har nå en Felles nettløsning for spesialisthelsetjenesten (FNSP). Dette skal blant annet bidra til enhetlig informasjon fra spesialisthelsetjenesten. Informasjonen i FNSP kan vises i flere kanaler og er tilgjengelig for gjenbruk.

-Behov for at rekrutteringsfunksjonene samarbeider med regioners-/lokale nettansvarlige for å få publisert (og vedlikeholde) informasjonen.

7. Inkludere likelydende oppdragstekst i oppdragsdokumentene fra RHF-ene til HF-ene om forventet bidrag til Nye metoder i form av fagkompetanse.

Målgruppe:

Lederne i HF-ene. Behov for å få synliggjort kravet om bidrag inn til Nye metoder og at dette skal

rapporteres på lik linje med annet arbeid. De fire RHF-ene må utarbeide likelydende tekst i oppdragsdokumentene til sine HF i kommende oppdragsbrev.

Kanal(er): Oppdragsdokumentene fra RHF til HF.

Kommentar til gjennomføring/ressursbruk:

-Eksisterende ressurser ved RHF-koordinatorene og rekrutteringsfunksjonene for alle de fire RHF-enesamarbeider om utarbeidelsen av en tekst, og så tar respektive region med den teksten inn i regional prosess for arbeid med oppdragsbrev. De regionale fagdirektørene støtter opp om inkludering av teksten underveis i prosessen. Helse Midt-Norge RHF har gjort dette for 2024. I styringsdokumentet til Helse Møre og Romsdal helseforetak for 2024² står det for eksempel slik på side 11 " *System for Nye metoder skal kontinuerlig utvikles for å bidra til rask innføring av trygge og kostnadseffektive behandlingsmetoder og til at metoder uten tilstrekkelig effekt kan fases ut. Helseforetaket skal delta i prosessene for dette, og gi innspill til metoder, rekruttere fageksperter til metodevurderinger og sørge for implementering i etterkant av beslutninger.*"

8: Utarbeide en kort video om Nye metoder som beskriver hele prosessen (inkludert involveringen av fagpersoner) og kort informasjon om prioriteringsarbeid i spesialisthelsetjenesten i Norge.

Målgruppe og behov dette tiltaket dekker:

Fagpersoner og ledere som trenger en introduksjon til Nye metoder og prioriteringsarbeid i spesialisthelsetjenesten kan raskt og på en intuitiv måte se, og få en overordnet forståelse for deres rolle i en sammenheng. Video muliggjør at de kan få introduksjonen når det passer dem. Innhold rettet spesifikt til ledere i HF-ene og fagpersoner - tilpasset deres behov og rolle. Inkludere informasjon om behovet for faglige innspill og hvilket ansvar som hviler på HF-ene. Inkludere generell informasjon om at regionene er ulikt organisert når det kommer til rekruttering av fageksperter og innhenting av faglige innspill. Inkludere informasjon om generelt prioriteringsarbeid i spesialisthelsetjenesten i Norge.

Kanal(er): Nyemetoder.no (kan lenkes til fra for eksempel intranett i HF-ene)

Kommentar til gjennomføring/ressursbruk:

-Krever eksterne ressurser og innebærer ekstra kostnad for byrå for å utarbeide det grafiske. Krever nedsettelse av en prosjektgruppe med representanter fra RHF-ene og aktørene som utarbeider innhold og regi for en slik video. Sekretariatet har ikke kapasitet per nå til å delta i eller koordinere et slikt arbeid uten at annet arbeid må nedprioriteres.

- Se også tilsvarende kommentar som for tiltak 3 med tanke på gjennomføring i forhold til samkjøring av profilering/grafikk for andre illustrasjoner.

- Hvis en slik video skal lages bør den være noe overordnet slik at den ikke blir utdatert ved mindre endringer ellers kan det bli ressurskrevende å holde den oppdatert.

9: Nye metoder arrangerer årlig et nasjonalt seminar rettet mot fagpersoner med informasjon om Nye metoder inklusive involvering av fagpersoner og prioriteringsarbeid.

Målgruppe og behov dette tiltaket dekker:

- **Ledere i HF-ene, fagpersoner** som har et opplærings-/informasjonsbehov. Gjennom deltakelse på

² Styringsdokumentet for 2024 for Helse Møre og Romsdal helseforetak: <https://ekstranett.helse-midt.no/1001/Foretaksmtet/Styringskrav%20og%20rammer%202024%20Helse%20M%C3%B8re%20og%20Romsdal%20HF.pdf>

nasjonalt seminar får de oversikt over bidrag fra fagekspertene (statistikk), mulighet for å stille spørsmål, evt. også innlegg/diskusjon/debatt om prioriteringsarbeid i klinikkene generelt.

Kanal(er): Annonseres på nyemeter.no, intranett i HF og i nyhetsbrev fra Nye metoder til de som har meldt seg på.

Kommentar til gjennomføring/ressursbruk:

- Eksisterende ressurser i Nye metoder (RHF-ene) kan benyttes ved gjennomføringen, men behov for å få ekstra ressurser/ omprioritere annet arbeid for kunne koordinere gjennomføringen av et slikt seminar. Aktørene i Nye metoder må sette av ressurser til gjennomføring.
- Usikkerhet rundt om fagpersoner har anledning til å prioritere dette og om vi når ut til de som trenger det- se sammen med punktet under.

10. Digitalt kurs om Nye metoder og involvering av fagpersoner

Målgruppe og behov dette tiltaket dekker:

Fagpersoner og ledere som trenger en introduksjon til Nye metoder og prioriteringsarbeid i spesialisthelsetjenesten samt en overordnet forståelse for deres rolle. Et digitalt kurs muliggjør at de kan få introduksjonen når det passer dem og det kan legges til rette for mer interaktiv læring enn med kun en video. Innholdet rettes spesifikt til ledere i HF-ene og fagpersoner – og er tilpasset deres behov og rolle. Inkludere informasjon om behovet for faglige innspill til Nye metoder og hvilket ansvar som HF-ene har. Inkludere generell informasjon om at regionene er ulikt organisert når det kommer til rekruttering av fagekspertene og innhenting av faglige innspill. Inkludere informasjon om generelt prioriteringsarbeid i spesialisthelsetjenesten i Norge.

Kanal(er): Nyemeter.no (kan lenkes til fra for eksempel intranett i HF-ene), Læringsportaler med kurs til ansatte.

Kommentar til gjennomføring/ressursbruk:

- Nettkurs kan gjøres obligatorisk for utvalgte ledere og fagpersoner og følges opp på f.eks. medarbeidersamtaler. Se ellers tilsvarende punkter som for «Utarbeide en kort video i punkt 8.

11. Aktørene tar ansvar for at Nye metoders involvering av fagpersoner blir tema på utvalgte møter som uansett skal arrangeres

Målgruppe og behov dette tiltaket dekker:

- **Ledere i HF-ene og fagpersoner** som deltar på møter i regi av RHF-ene og aktørene i Nye metoder. Gjennom deltakelse på andre møter som har Nye metoder-relaterte tema får fagpersoner og ledere også informasjon om forventinger til og hvilke muligheter som finnes for å bidra. Her tenker vi på presentasjoner på ca. 15 minutter.

Kanal(er): Informasjons- og drøftingsmøter som aktørene i Nye metoder arrangerer og deltar på allikevel (f.eks. regionale fagdirektørmøter, møter i regi av LMI og LIS-seminarer)

Kommentar til gjennomføring/ressursbruk:

- Aktørene kan ta utgangspunkt i informasjonsmateriale som foreslås utarbeidet i tiltakene 1, 2 og 3. Aktørene (og andre) kan rette forespørsler om materiale til sekretariatet og sekretariatet kan motta materiale som er blitt vist i møter slik at det kan distribueres som hjelp til andre som skal presentere.
- Eksisterende ressurser i Nye metoder (RHF-ene) kan i utgangspunktet benyttes for gjennomføringen av et slikt møte, men må selvsagt se an hvor mange møter det kan bli til enhver tid. De som har deltatt i denne arbeidsgruppen kan f.eks. motta forespørsler om å delta med innlegg på tema.

12: Vise anerkjennelse av bidrag lokale/regionale til Nye metoder

Målgruppe og behov dette tiltaket dekker: Fagdirektører/fagsjefer i HF-ene. Ledere i HF-ene dvs. ledere i «linja» på avdelinger og fagpersoner i spesialisthelsetjenesten. RHF-ene har fra etableringen av Nye metoder vært opptatt av at det å delta som fagpersoner (inklusive som fagekspert i metodevurderingsarbeidet) skal være del av ordinært arbeid som de ansatte i HF-ene og RHF-ene gjør. Ansatte i spesialisthelsetjenesten bidrar på mange områder som ikke er synlige i en travel arbeidsdag. For å øke forståelsen av viktigheten for de bidragene som gis er det behov for anerkjennelse av arbeidet som gjøres og at det blir satt av ressurser og tid til det. Administrativt arbeid som ingen anerkjenner, får lett både lavere status og lavere prioritert.

For eksempel så sendte leder av Beslutningsforum i januar 2024 en e-post direkte til alle fagekspertes som bidro i 2023 for å takke dem.

Fagdirektørsekretariatet har arbeidet bevisst med å synliggjøre det bedre i saksnotatet dersom fagdirektørsekretariatet og fagdirektørene har sett behov for å involvere fagmiljø på ny, for å motta ytterligere innspill eller avklaringer i forbindelse med forberedelsene til beslutning. Leder av Beslutningsforum har også vist til dette bidrag i uttalelser til media i forbindelse med møtene i Beslutningsforum.

Kommentar til gjennomføring/ressursbruk:

- Arbeidsgruppen er enige om at dette er et viktig område. Tiltaket trenger ikke å være ressurskrevende, men anerkjennelsen må nå ut til de som har bidratt på et hensiktsmessig tidspunkt. Under arbeidet med problemstilling 1 har vi ikke fått frem et konkret forslag til tiltak vi foreslår nå. Vi ser for oss at vi kan komme med forslag til tiltak for synliggjøring som samtidig gir anerkjennelse i tilknytting til arbeidet med de resterende problemstillinger.

Referat – Referansegruppene for Nye metoder – fellesmøte

Sted: Grev Wedels plass og Teams
Tidspunkt: 17.04.2024. Kl. 12:00 – 14:30

Deltakere: Ulrich Spreng (fagdirektør i Helse Midt-Norge)-møteleder

Medlemmer legemidler:

Karoline Knutsen (Legemiddelindustriforeningen, LMI)
Katrine Bryne (Legemiddelindustriforeningen, LMI)
Stine Høibak-Nissen (Kreftforeningen)
Heidi Flemmen (Legeforeningen) (tilstede kl. 12:15-13:00)
Lilly Ann Elvestad (Funksjonshemmedes fellesorganisasjon, FFO)
Jon Magnussen (NTNU)

Medlemmer ikke-legemidler:

Stine Høibak-Nissen (Kreftforeningen)
Sverre Ur (Funksjonshemmedes fellesorganisasjon, FFO)
Jan Ivar Nygårdsvold Ingebrigtsen (Melanor)
Cathrine Capdeville (Melanor)
Jon Magnussen (NTNU)

Observatører:

Anette Grøvan (Direktoratet for medisinske produkter)
Martin Lerner (Direktoratet for medisinske produkter)
Christina Sivertsen (Sykehusinnkjøp HF)
Hans Petter Næss (Helsetilsynet)
Morten Græsli (Helsedirektoratet)
Gloria Traina (Helse- og omsorgsdepartementet)
Henrik Aasved (Brukerrepresentant Bestillerforum for nye metoder)
Øystein Kydland (Brukerrepresentant Bestillerforum for nye metoder)
Torbjørn Akersveen (Brukerrepresentant Beslutningsforum for nye metoder)
Arne Vassbotn (Brukerrepresentant Beslutningsforum for nye metoder)

Ellen Nilsen (Sekretariatet for Nye metoder)
Barbra Schjoldager Frisvold (Sekretariatet for Nye metoder)
Helene Öorthagen (Sekretariatet for Nye metoder)
Karianne Mollan Tvedt (Sekretariatet for Nye metoder)
Michael Vester (Sekretariatet for Nye metoder)
Mirjam Klingenberg (Sekretariatet for Nye metoder)

Forfall: Birgitte Lloyd (Farmaceutisk forening), Anne Marthe Ringerud (Sykehusinnkjøp HF), Gry Dahle (Legeforeningen)

Referent: Sekretariatet for Nye metoder

Innledning

Her følger en oppsummering av diskusjonspunkter og innspill. Se også presentasjonen fra møtet.

Fagdirektør i Helse Sør-Øst, Ulrich Spreng, innledet møtet med presentasjon av deltagerne og gjennomgang av agenda.

Referansegruppens mandat, roller og oppgaver

Mandatet er besluttet av Beslutningsforum 22. januar 2024. Gjennomgang av organisering, rolle og oppgaver.

Status for pågående arbeid i Nye metoder

Utvikling av nytt saksbehandlingssystem (Verktøystøtte) v/ prosjektleder Morgan Lunde.

Gjennomgang og status for arbeidet. Første styringsgruppemøte ble gjennomført 17. april.

Prosjektet befinner seg i planleggingsfasen som ble startet opp 8. januar. Ser på hvilke ressurser som må til og de budsjettmessige konsekvensene før prosjektet kan gå over til gjennomføringsfasen. Anbefaling om gjennomføring legges frem for AD-ene i møte september 2024.

Formålet til prosjektet er å levere en løsning for effektiv saksbehandlingsprosess.

Det legges opp til en løsning som har en arbeidsflate hvor aktører kan få all informasjon på et sted. Prosesstyringsverktøyet PEGA brukes som utgangspunkt for løsningen. Prosjektet tar sikte på fortløpende å ta i bruk applikasjoner underveis.

Prosjektet holder per dd tidsplan og budsjett.

Innspill

LMI: Det er ønskelig at det utvikles en løsning hvor hele prosessen kan følges av leverandører. Vil dette bli mulig? Og vil det bli mulig med en kommunikasjonsform via denne løsningen?

Nye metoder: Litt tidlig å si, men det er meldt et behov for at alle skal kunne følge prosessen fra start til slutt og det gjelder ikke bare leverandører. Det er et mål at dette skal gjøre systemet mer transparent.

Når det gjelder mulighet for kommunikasjon gjennom løsningen, så er dette et ønske, men det er ikke avklart om eller hvordan Nye metoder skal kommunisere med eksterne gjennom løsningen.

Kreftforeningen: Ønskelig med jevnlig informasjon om fremgangen slik at gevinstene kan sees underveis.

Nye metoder: Referansegruppene vil bli holdt orientert om prosjektet og det vil bli gitt ny informasjon til høsten. Det vil bli involvering av de ulike brukergruppene underveis.

Informasjon fra arbeidet med styrket involvering av fagpersoner i Nye metoder knyttet til prosessen for legemidler v/ Helene Öρθagen, sekretariatet for Nye metoder.

Nye metoder har en strategi for videreutvikling 2023-2028 med flere satsningsområder, hvor styrking av medvirkning fra fagpersoner er en del av dette.

Bestillerforum prioriterte et arbeidet innenfor dette satsningsområdet i september 2023 og arbeidsgruppen som ble satt ned hadde første møte desember 2023. Mandat og tidsplan ble godkjent i januar 2024.

Gjennomgang av oppgavene og innretning på arbeidet, samt tidslinjer ble gått gjennom. Se presentasjon.

Arbeidet er i rute og beskrivelser av dagens involvering er ferdig utarbeidet. Flere mulige tiltak er foreslått. LMI er blitt orientert om dette arbeidet.

Neste møte i arbeidsgruppen er 19/4 og da skal arbeidsgruppen bli enige om hvilke tiltak de foreslår skal gjennomføres nå til problemstilling 1 og starte opp arbeid med problemstilling 3.

Referansegruppene vil bli oppdatert om arbeidet på kommende møte.

Tilpasninger for bedre håndtering av medisinsk utstyr og prosedyrer i Nye metoder v/ Martin Lerner DMP

En målsetning i strategien er å se på tilpasninger for bedre håndtering av medisinsk utstyr og prosedyrer i Nye metoder. Det må etableres en god håndtering av medisinsk utstyr og prosedyrer i Nye metoder og tilpasse prosessene til den felles europeiske utviklingen.

Det er nedsatt en arbeidsgruppe bestående av RHF-ene, Direktoratet for medisinske produkter, Sykehusinnkjøp HF og Sekretariatet for Nye metoder. Arbeidsgruppen skal i første omgang se på området overordnet. Første møte i arbeidsgruppen var i mars 2024.

Viktig å få felles forståelse for utfordringene som omhandler området for medisinsk utstyr og dele erfaringer.

- Det er et stort antall medisinsk utstyr.
- Hva skal prioriteres til metodevurdering.
- Finnes ingen god database over hva slags medisinsk utstyr som finnes.
- Vanskelig å identifisere hva som bør metodevurderes og når.
- Manglende incentiv overfor leverandører. Ikke tydelige konkurransefortrinn.

Arbeidsgruppen skal diskuterte hvordan sette rammer, identifikasjon, seleksjon og prioritering.

Er noen mer viktige for nasjonal metodevurdering enn andre? Gjøre det mer forutsigbart.

Innspill

Melanor: Ønsker å bidra og kan delta i prosessen og gi innspill. Må ha med kompetanse på utvikling av medisinsk utstyr inn i arbeidet.

DMP: Viktig med dialog med bransjeorganisasjon. Drøfter på kommende arbeidsgruppemøte hvordan involveringen kan ivaretas underveis.

Innmeldte saker fra referansegruppene

Statusoppdatering knyttet til opprettelsen av flere behandlingssentre for celleterapi utover tilbudet som er ved OUS v/ fagdirektør HSØ Ulrich Spreng

En lovende behandling og en terapiform som ønskes å ha i Norge. I dag gis denne behandlingen bare ved Oslo Universitetssykehus (OUS).

Det er behov for mer kapasitet. Fagdirektørene arbeider med å se på kapasitet til CAR-T behandling og mulighet for regionalisering. Behandlingen er ressurskrevende både for sengepost, legetjenesten og celleterapilaboratorium. Saken vil drøftes i interregionalt fagdirektørmøte 22. april.

Det er innført tre metoder av denne typen i Norge og det er flere pågående metodevurderinger.

Innspill

Kreftforeningen: Når vil saken komme videre til AD-møtet?

Fagdirektør: Det er ikke helt klart enda. Det skal besluttes en tidsplan

Magnussen: Er det personell eller utstyr som er flaskehalsen?

Fagdirektør: Det er personell pga. behovet for intensiv behandling av pasientene.

Erfaringer med anmodningsprosessen og tidlig faglig vurdering. Statistikk og evaluering av ordningen v/ Sekretariatet. Innspill fra referansegruppene

Flere tiltak er gjennomført:

- Overgang fra metodevarsler til anmodning om vurdering fra leverandør fra mai 2023.
- Tidlig faglig vurdering av sammenlignbarhet.
- PD-L1 ordningen.

Se presentasjon for foreløpige tall for tiltakene.

Det sees noe effekt av tiltakene, men blir sannsynligvis mer synlig etter at det er gått litt mer tid.

Saksbehandlingstid er et stort fokus hos alle i systemet og inngår i handlingsplanene. Flere saker gjøres om fra metodevurdering til prisnotat, men en del av disse sakene har allerede ligget en stund.

Det planlegges for evaluering av anmodningsprosessen etter sommeren. Referansegruppene vil få mulighet til å gi innspill.

Innspill

LMI: inntrykk fra leverandørene at dette med anmodning fungerer. Vil komme med innspill til evalueringen.

FFO: evalueringen bør gjøres når det finnes godt nok datagrunnlag for å gjøre en grundig evaluering og den må også vurdere om noe er mistet på veien. Må også vurdere hva evalueringen skal måles opp mot.

Fagdirektør: Viktig å evaluere om noe er mistet underveis av legemidler og om vi går glipp av noe som er det er behov for overfor pasientene. Kommer tilbake til dette til høsten.

Status utarbeidelse av handlingsplaner for satsningsområder i strategien

Forslag til mal for handlingsplan er blitt diskutert med referansegruppene tidligere. Nye metoder ønsker innspill til handlingsplanene. Kan sendes inn skriftlig med frist: 13.05.2024

Innspill som kommer inn til fristen vil bli tatt med i diskusjoner om handlingsplanene i heldagsmøte til Nye metoder 14. juni. I det møtet vil det diskuteres hva Nye metoder skal prioritere å arbeide med fremover.

Handlingsplan åpen og tydelig kommunikasjon

Innspill under møte:

LMI: Spørsmål om hvordan Nye metoder planlegger å arbeide med forbedring av kommunikasjon og informasjon knyttet til beslutningsgrunnlag og beslutning. Viser blant annet til manglende beskrivelse av usikkerhet. Er det noe arbeid på gang der per nå?

Nye metoder: Prioritering av arbeidet er et ressurs spørsmål, og må tas inn i diskusjoner når vi skal prioritere arbeidsområder. Se på hvordan vi kan formidle beslutninger på en mer forståelig måte.

Kreftforeningen: Kommunisere utad og tydeliggjøre hvordan man kommer frem til beslutningene. Det er viktig i det kommende arbeidet. Spørsmål om nettsidene og hvordan analyse av trafikken der brukes for å forbedre informasjonen. Og hvordan kan det gis tilbakemelding på det?

Nye metoder: Sekretariatet har ansvar for å redigere nettsidene og det er også et ressurs spørsmål hvor mye det kan arbeides med forbedring av innhold her per nå.

Brukerrepresentant: Det er en utfordring at sakspapirene til Bestillerforum er konfidensielle frem til etter møte i Bestillerforum. Det kan være saker brukerrepresentantene ønsker å diskutere med pasientorganisasjoner og konfidensialiteten utfordrer dette. Det er viktig med åpenhet. Kan det vurderes for å se på om dette kan endres slik at offentlige sakspapirer publiseres før møte i Bestillerforum?

Nye metoder: Flere deler av sakspapirene publiseres før møte. F.eks. anmodningsskjema, innspill fra leverandører og pasientforeningen. Innspillet er notert og vil bli diskutert.

FFO: Støtter at mest mulig offentliggjøres. Brukerrepresentantene har også behov for å kunne søke faglige råd i pasientorganisasjoner.

Handlingsplan kortere saksbehandlingstid

Innspill under møte.

FFO: Spørsmål om FINOSE-samarbeidet blir brukt, inntrykk at det ikke skjer så ofte?

Nye metoder: Det har vært en utfordring å få leverandørene med inn i samarbeidet og at de ikke ønsker å levere dokumentasjon. Opplever at flere leverandører er på vei nå, men ikke så mange som vi ønsker oss.

LMI: Leverandørene sine erfaringer så langt er at det ikke har vist gevinster i form av raskere saksbehandlingstid og tilgang til pasienter og dette er noe av årsaken til at leverandører ikke har benyttet seg av FINOSE-samarbeidet. LMI er i dialog med de nordiske bransjeforeningene om dette tema.

Handlingsplan styrket brukermedvirkning

Innspill i møtet

Brukerrepresentant: Tidligere arbeid om brukermedvirkning og rapporten som tidligere er utarbeidet om bl.a. roller og oppgaver så på tiltak på kort sikt. Må nå se på tiltak på lengre sikt og finne hva som er riktig nivå av brukermedvirkning.

Magnussen: Hvordan organisere brukermedvirkning. I en sektor med fast budsjettamme vil noen skyves ut. Når en metode innføres skyves noe annet ut som også kan ha brukerinteresser.

Nye metoder: Brukerrepresentantene i Nye metoder er representanter for alle pasientgrupper. Brukerrepresentantene er bevisste på dette. Når en metode innføres vil det også bety at noe annet går ut. Men det kommer ikke klart frem hva som tas ut.

Brukerrepresentantene: Må følge prioriteringskriteriene. Det er ingen synliggjøring av hva som faller ut. Brukerrepresentantene skal tenke på alle pasientgrupper. Det må også arbeides for legitimitet av systemet, hver gang noe innføres så må noe annet ut. Viktig med åpenhet – blir lett misnøye i lukket system.

Magnussen: Viktig med brukerstemme. Må ha et aktivt forhold til hvordan man utformer og implementerer brukermedvirkningen.

FFO: Det er behov for å utvikle en arena for å kunne gi kunnskap om medvirkning i metodevurderinger. Det er stor variasjon i kunnskapen om Nye metoder, og det er vanskelige og kompliserte prosesser. Viktig med systemopplæring og hvordan bidra. Nå kommer også HTAR samarbeidet. Pasientorganisasjoner må få kunnskap slik at de kan bidra i metodevurderinger

Kreftforeningen: Viktig med kunnskap om at når noe innføres så må noe annet ut. Hvem går det utover? Må snakke mer om de «tause taperne» og hvem de er. Forslag om et årlig prioriteringsmøte – hva betyr det i praksis å prioritere?

FFO: I metodevurderingene handler brukermedvirkning om den enkelte behandlingen/pasientgruppen. Brukere på systemnivå har et breddemandat og er bevisst prioriteringskriterier og roller. Paraplyorganisasjonene har god erfaring med den rollen og dilemmaer. Det er viktig at brukerrepresentantene kommer fra paraplyorganisasjonene (Kreftforeningen og FFO).

DMP: Har god erfaring med de metodevurderingene hvor det har vært brukermedvirkning. DMP har gitt opplæring som det er kommet gode tilbakemeldinger på. Men det er ressurskrevende og ikke mulig å ha brukermedvirkning i alle saker. Det blir et tids- og ressurs spørsmål.

Handlingsplan styrket involvering av fagpersoner

Ingen innspill per nå.

Generelle innspill til handlingsplanene

LMI: Hva slags innspill er det ønske om generelt?

Nye metoder: Det ønskes innspill om handlingsplanene som er utarbeidet nå er forståelige. Det er også mulig å gi innspill til hva referansegruppene mener det er viktig å prioritere. Det er Bestillerforum som i sitt heldagsmøte i juni vil prioritere hva systemet skal jobbe med av videreutvikling.

HTAR: Europeisk samarbeid om metodevurderinger v/ Mirjam Klingenberg og DMP

Gjennomgang av arbeidet som er startet. Etablert en arbeidsgruppe som skal tilrettelegge for en effektiv samkjøring av HTAR inn i Nye metoder. Arbeidsgruppen koordineres av sekretariatet for Nye metoder, men arbeidsområdene skal alle aktørene jobbe med sammen.

Se på hvordan involvere fagpersoner og brukerrepresentanter, og tidslinjer.

Vurderingene i HTAR samarbeidet starter med onkologifeltet og avanserte terapier i januar 2025.

Alle metoder inn i HTA samarbeidet i 2030. Planlegger for 25 metoder i 2025.

Se presentasjon.

Innspill

Kreftforeningen: Må se på når brukerrepresentanter skal involveres. Det er korte frister og mye er taushetsbelagt.

DMP: Området ikke-legemidler kommer ikke til å dekke alle områder. Det finnes visse kriterier og utvalg av høyrisikoprodukter. Det blir enkeltteknologier. Hvis det gjelder prinsipp-diskusjoner, må det nok gjøres metodevurdering og diskusjoner nasjonalt.

FFO: Hva skjer med kunstig intelligens (KI)-området? Hva med sikkerheten?

DMP: I HTAR kommer et utvalg av høyrisiko utstyr. KI skal ikke behandles annerledes.

Oppfølging

Innspill til handlingsplanene kan sendes inn skriftlig med frist: 13.05.2024

Saksnummer: 094-24

Eventuelt