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):** [x] 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):** [x]

|  |
| --- |
| 1.Hvilken metode gjelder innspillet? |
| Metodens ID nummer\*: | Ikke godkjent i EU enda, de har ikke søkt, men skal søke og driver i prosessen. |
| Metodens tittel: | ALBRIOZA |

\*ID-nummer finner du på metodesiden på nyemetoder.no og har formen ID2020\_XXX

|  |
| --- |
| 2. Opplysninger om den som gir innspill |
| Navn  | Mona H Bahus |
| Eventuell organisasjon/arbeidsplass | Stiftelsen ALS Norge www.alsnorge.no |
| Kontaktinformasjon (e-post / telefon) | arn-bahu@nline.no - post@alsnorge.no |

|  |
| --- |
| 3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle) |
| For første gang er en ALS-medisin **ALBRIOZA** (AMX 0035) godkjent i Canada siden 2018, og vi i stiftelsen ALS Norge har overvåket denne medisinen over tid. Vi har vært i god dialog med ALS Forskere i Norge, Ole Bjørn Tysnes i Helse Bergen og Trygve Holmøy på A- hus som kan bekrefte at studien på denne ALS-medisinen virker lovende. Foreløpig er det noen dokumentasjon av effekter som mangler, men vi tenker at den er endelig godkjent i et land og de har søkt i USA hvor svaret forventes i september (2022) Det er Amylyx Pharmaceuticals, Inc at Health Canada som har godkjent medisinen. Studiet på medisinen forventes å være i fase 3 i løpet av 2023. De har også planer om å søke om å få den godkjent i EU en gang i fremtiden. ALBRIOZA (også kjent som AMX0035) er en oral kombinasjonsbehandling med fast dose som kan redusere nevroncelledød som en frittstående behandling eller når den legges til eksisterende behandlinger. ALBRIOZA er en behandling som viste i vår CENTAUR-studie en statistisk signifikant og klinisk meningsfull innvirkning på funksjon, alene eller i tillegg til eksisterende ALS-behandling. Godkjenningen av ALBRIOZA er basert på data fra CENTAUR, et multisenter fase 2 klinisk studie i 137 deltakere med ALS som omfatter en 6-måneders randomisert placebokontrollert fase og en åpen langsiktig oppfølgingsfase, som viste at deltakerne behandlet med ALBRIOZA scoret i gjennomsnitt 2,32 poeng høyere på amyotrofisk lateral sklerose funksjonell vurderingsskala - revidert (ALSFRS-R) over en periode på 24 uker. Detaljert data fra CENTAUR ble publisert i New England Journal of Medicine, Muscle &Nerve og Journal of Neurology, Neurosurgery og Psychiatry. AMX0035 har fått prioritetsgjennomgang av U.S. Food and Drug Administration (FDA) og tildelt en prescription drug user fee act dato for september 29, 2022. I tillegg har The European Medicines Agency (EMA) validert innleveringen av selskapets søknad om markedsføringstillatelse for AMX0035 for behandling av ALS i Europa, og den er under gjennomgang. En 48-ukers, randomisert placebokontrollert PHOENIX (NCT05021536) studie av AMX0035 på mer enn 65 steder over hele USA og Europa er i gang.ALBRIOZA™ (natriumfenylbutyrat og taurursodiol) er en oral fastdose medisiner godkjent med betingelser for å behandle amyotrofisk lateral sklerose (ALS) i Canada. Kombinasjonen av natriumfenylbutyrat og taurursodiol kan redusere nevroncelledød, hypoteset til å oppstå ved samtidig å redusere endoplasmic retikulum (ER) stress og mitokondrie dysfunksjon. ALBRIOZA utforskes for mulig behandling av andre nevrodegenerative sykdommer som eks. Parkinson.Stiftelsen ALS Norge ønsker at denne ALS Medisinen skal godkjennes i Norge slik at nydiagnoserte og ALS syke langkommet i sykdomforløpet har mulighet til å prøve ut denne medisinen, om mulig godkjenne den og bruke den Compassionate use retten. Dette er en ALS-medisin som bygger håp, som finnes der ute og Norge bør kunne gi godkjenning slik at denne medisinen kan prøves på de som ønsker den. Det er lite tilbud til denne svært alvorlige og krevende sykdommen og når vi leser i vår nyhetsovervåking at medisinen er godkjente i et land bør Norge følge opp for å kunne mulig hjelpe flere ALS syke med mulighet til litt lengre livskvalitet i påvente av kuren mot ALS som alle ønsker. ALS medisiner som har positive studier, bør være tilgjengelig for denne alvorlige diagnosen her i Norge. Ved å godkjenne denne medisinen vil det også virke positivt for hele ALS miljøet. Effekten må testes og det kan vi ikke få gjort uten å gi tilbud til denne gruppen syke med denne alvorlige sykdommen med svært lite medisin tilgang. |

**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 tiltakdet 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? Den er ikke forsøkt i Norge tidligere som vi vet om. |
| Er metoden i bruk utenom kliniske studier i dag: Både ja og nei, vi vet at den brukes i klinisk studie i utlandet ut fra pressemeldingen de har sendt ut.Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk: Den har blitt godkjent i Canada i juni 2022. Det er lovende resultater i fase II-studie som ser bra ut og som er publisert i ledede medisinske tidsskrifter Albrioza er nå i oppstart av fase III-studie.Hvor er eventuelt metoden i bruk: Pr. i dag Canada. |

|  |
| --- |
| 5. Hvilken pasientgruppe i den norske spesialisthelsetjenesten er metoden aktuell for? (PICO) For ALS pasienter. (Amyotrofisk lateral sklerose) |
| Beskriv kortfattet: Dette er en ALS-medisin som i Kombinasjonen av natriumfenylbutyrat og taurursodiol kan redusere nevroncelledød, hypotese til å oppstå ved samtidig å redusere endoplasmic retikulum (ER) stress og mitokondrie dysfunksjon. ALBRIOZA utforskes for mulig behandling av andre nevrodegenerative sykdommer. |

|  |
| --- |
| 6. Er du kjent med behandlingsalternativer til denne metoden og hvordan disse fungerer for pasientgruppen i dag? (PICO) |
| Beskriv kortfattet:Nei pga. den er ikke forsøkt markedsført i Norge, den er heller ikke godkjent i Norge pr i dag. Derfor bør den godkjennes for utprøving i Norge og gis de til ALS syke som ønsker og prøve den. |

|  |
| --- |
| 7. Har du innspill til hva som vil være viktig for pasienter som er aktuelle for behandling med metoden? (PICO) Håpet er det aller største og viktigste en ALS-syk har, det at det er en så alvorlig sykdom uten noe form for kur er for de aller fleste frykter, og den ALS-syke settes helt ut psykisk, med sjokk og sorg, dødsangst og et evig kaos i følelser. Så denne medisinen vil gi håp. Samtidig som pågår mye ALS forskning i Norge og kombinert med og delta i forskning studie og i tillegg få prøve ALS medisin vil gi store håp, tillit og ikke minst verdighet for denne gruppen. Vi i stiftelsen er opptatt av å ikke gi falske håp. Derfor har vi vært i tett dialog med Norske ALS forskere før innsending av vårt forslag.  |
| 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: Albrioza Kan/har bremse effekt på sykdommen, dessverre ikke helbredene, men øke levetiden, minske skadene på nevroncellene bare det i seg selv gir dette ALS syke et pusterom. I dag er det kun Rilutek som er godkjent i Norge som forlenger livet med noen mnd. i tillegg forskes det på medisin MASITINIB i Norge. Når det gjelder Masitinib er det ikke alle ALS syke som klarer å reise til behandlingstedet for å delta og vi vet at flere ALS syke har mått avslutte Masitinib studiet pga. bivirkninger. ALS medisin ALBRIOZA kan forlenge livet til ALS syk. Vi kjenner dessverre ikke godt nok til evt. bivirkninger på den medisinen pr i dag.  |

|  |
| --- |
| 8. Spesielt for medisinsk utstyr (besvares av leverandør): CE-merking |
| Foreligger det CE-merking for bruksområdet som beskrives i metoden? I så fall angi type og tidspunkt: |

|  |
| --- |
| 9. Spesielt for legemidler (besvares av leverandør): Markedsføringstillatelse (MT) |
| Har legemiddelet MT for indikasjonen som omfattes av metoden? Angi i så fall tidspunkt eller ventet tidspunkt for MT: |

|  |
| --- |
| 10. Andre kommentarer |
| Pungt 8 og 9 kan de i Canada ALS organisasjon eller vi i Stiftelsen ALS Norge ikke svare på pr. i dag da dette er en godkjent ALS medisin studie som kun er godkjent kun i Canada. Hele studien forventes avsluttes :2030-06-10.Legemiddel produsenten: Amylyx Farmasi Inc. <https://www.amylyx.com/>Studien forventes å påløpe frem til november 2023, med topplinjeresultater som forventes i 2024.  |

|  |
| --- |
| **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: Stiftelsen ALS Norge er helt nøytrale, vi respekter beslutningen som gis, vi lytter til fagmiljøet. Det er fagmiljøet som sitter på den største kompetansen. Vi er kun opptatt av å kunne gi ALS syke tilbud som kan forlenge livet og øke livskvaliteten med medisin som er / blir godkjent. Stiftelsen ALS Norge er opptatt av grundig gjennomgang av evt. Bivirkninger og vi er opptatt av forsvarlighet. Vi overvåker nyhetsbildet og ser og leser i andre land at de avventer da det ikke er bevislig god nok effekt og det er for få ALS syke som har deltatt i studiet. Likevel håper vi nye metoder vil si ja til vår søknad. |