

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*:	ID2022_099 og ID2022_130
Metodens tittel:	Alfa 1-antitrypsin (Respreeza og Prolastina). Vedlikeholdsbehandling for å bremse progresjonen av emfysem hos voksne med dokumentert alvorlig α 1- proteinasehemmerman gel (f.eks. genotypene PiZZ, PiZ(null), PiSZ)

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Arbeidsutvalget Interessegruppen LHL Alfa-1 ved Kari D. Aasheim, Knut M. Skaar, Tikki Tank Nilsen
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Interessegruppen LHL Alfa-1
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	lhl.alfa-1@lhl.no

3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)
Arbeidsutvalget i interessegruppen LHL Alfa-1 har noen avsluttende kommentarer til metoderapporten som vi ønsker skal tas med i den endelige vurderingen. Takk til DMP og fagekspertene

Vi vil gjerne takke DMP og fagekspertene for en metodevurdering som anerkjenner at Prolastina og Respreeza bremser emfysemprogresjon og uttalelser fra de medisinske fagekspertene om at det er sannsynlig at vedlikeholdsbehandling vil påvirke sykdomsprogresjon, lungefunksjon og livskvalitet positivt. Dette betyr svært mye for en pasientgruppe som i dag står uten adekvat behandlingstilbud. Vi takker også for at våre innspill har blitt notert og at våre pasienterfaringer er vedlagt i rapporten. Vi setter pris på at DMP vektlegger at populasjonens størrelse er heftet med stor usikkerhet, og at det fremheves at de totale budsjettkonsekvensene av vedlikeholdsbehandling kan være overestimert. I lys av sykdommens alvorlighet, og mangel på annen sykdomsmodifiserende behandling, håper vi at disse usikkerhetene kan veie i Alfa-1 pasientenes favør.

Kommentarer til kriterier for hvem som bør få Prolastina og Respreeza

Vi har forståelse for at det kan være behov for å sette noen rammer for hvem som kan motta vedlikeholdsbehandlingen for å bremse emfysemprogresjon. Fagekspertene viser her til at de danske retningslinjer kan være fornuftige.

Noen svært få pasienter har PI Z-null og andre genotyper som gir lavere serumnivå og samme sykdomsbelastning som ZZ pasienter. Grifols ber om at PI Z-null pasienter også skal kunne motta behandlingen. LHL Alfa-1 stiller seg bak denne anmodningen. I tillegg til PI Z-null pasienter, vil vi fremheve forskningen som viser at et begrenset antall Alfa-1 pasienter utvikler emfysem når FEV1% er stabil, og over den foreslåtte øvre grense på 70%. For å møte denne problematikken har man i Danmark en praksis der pasienter med annen genotype enn ZZ, med tilsvarende alvorlig sykdomsforløp, og raskt progredierende emfysem, etter individuell vurdering kan få vedlikeholdsbehandling.

Vi ønsker at de svært få enkeltindividene dette gjelder i Norge, skal kunne ha samme mulighet til å få denne individuelle vurdering som tilbys i Danmark, slik at de på lik linje med ZZ pasienter også kan bremse hurtig emfysemutvikling og forlenge sine liv. Dette vil være i tråd med fagekspertenes uttalelser om at behandling kan initieres ved tegn på progressiv sykdom, A1AT-serumnivå under 11 µM, og at raskt progredierende lungesykdom taler for tidlig oppstart av vedlikeholdsbehandling. Vi ber derfor om at Beslutningsforumet setter retningslinjer som åpner for at lungeleger kan vise skjønn dersom de skulle møte på disse enkeltpasienter i løpet av sin praksis.

Nærmere informasjon om metoden og innspill til PICO*

*PICO er et verktøy for å formulere presise problemstillinger i metodevurderingsarbeid. PICO er en forkortelse for Population/Problem – Intervention – Comparison – Outcome. PICO brukes til å presisere hvilken populasjon/problem som skal studeres, hvilke(t) tiltak (metode/behandling) som skal vurderes, hvilket tiltak-det er naturlig å sammenligne med, og hvilke utfall/endepunkter det å er relevant å måle/vurdere. PICO er viktig for planlegging og gjennomføring av en metodevurdering.

4. Kjenner du til om metoden er i bruk i Norge i dag?

Er metoden i bruk utenom kliniske studier i dag:
 Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk:
 Hvor er eventuelt metoden i bruk:

5. Hvilken pasientgruppe i den norske spesialisthelsetjenesten er metoden aktuell for? (PICO)

Beskriv kortfattet:

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

Beskriv kortfattet:

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:

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:

I juni 2024 ble arbeidsutvalget i interessegruppen LHL Alfa-1 valgt inn i styret i Alfa-1 Norden, en felles nordisk pasientforening for Alfa-1 pasienter i de nordiske land. Alfa-1 Norden har mottatt midler fra følgende legemiddelselskap: Takeda, CSL Behring, Kamada, Grifols og Mereo BioPharma.

Utover det, viser vi til opplysninger oppgitt i våre tidligere innspill.