

**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](mailto: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):**

<b>1.Hvilken metode gjelder innspillet?</b>	
Metodens ID nummer*:	ID2022_099 og ID2022_130
Metodens tittel:	Alfa 1-antitrypsin (Respreeza og Prolastina). Vedlikeholdsbehandling er for å bremse progresjonen av emfysem hos voksne med dokumentert alvorlig $\alpha$ 1- proteinasehemmer man gel (f.eks. genotypene PiZZ, PiZ(null), PiSZ)

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

<b>2. Opplysninger om den som gir innspill</b>	
Navn	Arbeidsutvalget Interessegruppen LHL Alfa-1 ved Kari D. Aasheim, Knut M. Skaar, Sonia Sæther og Anne Line Engebretsen
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	LHL Alfa-1
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	<a href="mailto:kari.dakota.aasheim@lhl.no">kari.dakota.aasheim@lhl.no</a> <a href="mailto:lhl.alfa-1@lhl.no">lhl.alfa-1@lhl.no</a> 91618185

**3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)**

Henstilling om å benytte de tre internasjonale Alfa-1 ekspertene, Dr. Robert A. Sandhaus, Dr. Marc Miravittles og Dr. Helene Møller Frost som rådgivende lungeleger i metodevurderingen av Respreeza og Prolastina

Interesseforeningen LHL Alfa-1 har i e-post-korrespondanse med Sekretariatet for nye metoder fått indikasjoner på at det kun vil bli benyttet norske lungemedisinere som rådgivere i metodevurderingen av Respreeza og Prolastina.

Vi ser med bekymring på dette, ettersom norske lungeleger mangler erfaring fra Alfa-1-forskning/behandling og bruk av Respreeza og Prolastina i klinikk.

I den forbindelse merket vi oss at det kun kom ett faglig innspill angående Respreeza og Prolastina fra Helseforetakene i Norge til Bestillerforum.

Det er svært skuffende at ikke mer enn en lungelege i hele Norge tok seg bryet med å svare. Dette er dessverre talende for våre erfaringer i møte med de norske lungeleger: Vi er en glemt pasientgruppe, og det mangler bevissthet og kunnskap omkring Alfa-1 mangel i Norge.

Innspillet (som kom fra Haukeland sykehus) var dessverre misvisende. Vi viser til Bestillerforum 26.09.2022. Offentlige sakspapirer «Saksnummer 151-22 Oppsummering fra sekretariatet» side 26: «Pasientpopulasjonen avgrensning, størrelse: Ca. 2000 personer i Norge».

LHL Alfa-1 gjør igjen oppmerksom på at det aldri vil være aktuelt å behandle 2000 pasienter i Norge med Respreeza og Prolastina.

Norske Alfa-1 pasienter fortjener bedre. Vi forlanger ikke spesialbehandling, men det må være rettferdighet i metodevurderingen. Vi forventer at Nye Metoder/Legemiddelverket/de som skal gjøre effektvurdering konsulterer eksperter på Alfa-1 mangel, slik at man kan unngå at det trekkes feilslutninger angående effekt av medisinene og utgifter til behandling, basert på manglende ekspertise og grove overestimer.

På grunn av manglende kompetanse på Alfa-1 mangel blant lungeleger i Norge henter vi selv råd og støtte fra det internasjonale Alfa-1 forskningsmiljøet i vårt arbeid. Også i denne saken.

Vi har nå kontaktet tre kunnskapsrike Alfa-1 forskere/medisinere som alle bekrefter at de gjerne vil bistå som medisinske eksperter inn i metodevurderingen av Prolastina/Respreeza i Nye Metoder

Vi vil henstille til at Nye Metoder/SLV benytter seg av disse ekspertene i metodevurderingen.

**1: Professor Robert A. Sandhaus**

Sandhaus er lungelege, direktør ved Alpha1-Antitrypsin Deficiency Program National Jewish Health, Denver, USA, en svært anerkjent internasjonal Alfa-1 forsker og kliniker med mye erfaring på Alfa-1 mangel. Vi trekker frem:

- Medical Director ved Alpha-1 Foundation
- Executive Vice President and Senior Medical Director ved AlphaNet, Inc.

- Medical Director ved AlphaNet Canada
- Medical and Scientific Advisory Committee ved COPD Foundation
- En omfattende publikasjonsliste på Alfa-1 antitrypsinmangel
- Americas top doctor 2020

Detaljert informasjon her: <https://www.nationaljewish.org/doctors-departments/providers/physicians/robert-a-sandhaus>

## 2: Dr. Marc Miravittles

Lungelege og forsker. Han har behandlet pasienter i over 30 år og har en lang merittliste:

- Leder ved Reference center for diagnosis and treatment of AATD (Alfa-1 mangel) ved Hospital Vall d'Hebron, Barcelona
- Co-chair I EARCO, det Europeiske forskingsregisteret for Alfa-1 mangel, som drives i regi av European Respiratory Society
- Rådgiver for den spanske regjering i forbindelse med kols-behandling
- Leder i Respiratory Infections Group of the European Respiratory Society (ERS) og Guidelines Director of ERS, med mer.
- Forfatter av 498 publikasjoner

Detaljert informasjon her: <https://www.vallhebron.com/en/professionals/marc-miravittles>

## 3: Dr. Helene Møller Frost

Avdelingslege, Lungemedisinsk avdeling, Medicinerhuset, Aalborg Universitetshospital i Danmark, regionalt senter for Alfa-1 substitusjonsbehandling i Jylland

- Møller Frost var en sentral figur i rask innføring og organisering av Prolastina og Respreeza behandling ved Aalborg Universitetshospital da de ble innlemmet i den danske blåresept-ordningen.
- Møller Frost strømlinjeformet organiseringen av medisinutdelingen blant annet ved at pasienter selv henter ferdigblandet medisin, bruk av veneport, opplæring av pasienter og pårørende i selvadministrering hjemme og av hjemmesykepleier.
- Møller Frosts fokus har vært å sikre at pasienter får medisiner på en kostnadseffektiv måte, der man belaster helseforetakenes ressurser i minst mulig grad. Hun har dermed viktig kunnskap om ressursbesparende tiltak som bør inn i regnestykket når man metodevurderer Prolastina/Respreeza i Norge
- Møller Frost er i tillegg en svært kunnskapsrik kliniker på Alfa-1 mangel

Mer informasjon her: <https://vbn.aau.dk/en/persons/helene-m%C3%B8ller-frost/fingerprints/>

Ettersom dette dokumentet skal publiseres offentlig, legger vi ikke ved e-postadresse til Dr. Sandhaus, Miravittles og Møller Frost. De sendes i e-post med dette innspill, og kan også fås ved henvendelse til Kari Dakota Aasheim i LHL Alfa-1 på:

[kari.dakota.aasheim@lhl.no](mailto:kari.dakota.aasheim@lhl.no)

Mvh. Arbeidsutvalget LHL Alfa-1

--

**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.

<b>4. Kjenner du til om metoden er i bruk i Norge i dag?</b>
Er metoden i bruk utenom kliniske studier i dag: Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk: Hvor er eventuelt metoden i bruk:

<b>5. Hvilken pasientgruppe i den norske spesialisthelsetjenesten er metoden aktuell for? (PICO)</b>
Beskriv kortfattet:

<b>6. Er du kjent med behandlingsalternativer til denne metoden og hvordan disse fungerer for pasientgruppen i dag? (PICO)</b>
Beskriv kortfattet:

<b>7. Har du innspill til hva som vil være viktig for pasienter som er aktuelle for behandling med metoden? (PICO)</b>
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:

<b>8. Spesielt for medisinsk utstyr (besvares av leverandør): CE-merking</b>
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:

Alle fire i arbeidsutvalget Interessegruppen LHL Alfa-1 er selv Alfa-1 pasienter og vil ha nytte av Respreeza. Kari D. Aasheim har på invitasjon fra Alfa-1 Danmark fortalt sin pasienthistorie på CSL Behring sin Nordiske samling i Stockholm 2022. Dette som privatperson for å sikre at pasientstemmen skal bli hørt hos legemiddelprodusenter. Oppdraget ble honorert med 5000 NOK. Arbeidsutvalget og Kari D. Aasheim understreker at vi ikke på noen måte er i et lojalitetsforhold overfor produsenter av vedlikeholdsterapi. Vi er, og vil til enhver tid være i dialog med andre legemiddelprodusenter som forsker frem bremsende og kurativ behandling for Alfa-1, for å sikre at norske Alfa-1 pasienter får tilgang til legemidler som kan gi normal livslengde og redusert sykdomsbyrde.