

Forslag om nasjonal metodevurdering

Viktig informasjon – se på dette først!

- Innsendte forslag til nasjonale metodevurderinger vil bli publisert i sin helhet. Dersom forslagsstiller mener det er nødvendig informasjon for utfylling av skjemaet som ikke kan offentliggjøres ta kontakt med sekretariatet [før innsending](#).

Forslagsstiller er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (kryss av):

- Forslagsstiller har fylt ut punkt 17 nedenfor «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):
- Dette skjema brukes for å sende inn forslag om metodevurdering på nasjonalt nivå i Nye metoder. Skjema gjelder ikke forslag om forskningsprosjekter. En metodevurdering er en type kunnskapsoppsummering, og for at en slik skal kunne utføres behøves dokumentasjon eksempelvis fra gjennomførte kliniske studier. Manglende dokumentasjonsgrunnlag kan være en av årsakene til at Bestillerforum RHF ikke gir oppdrag om en metodevurdering.

Kontaktinformasjon:

Navn på forslagsstiller (organisasjon/institusjon/foretak/produsent):

Stiftelsen ALS norsk støttegruppe

Navn på kontaktperson:

Styremedlem Cathrine Nordstrand, og Roar Harsvik

Telefonnummer:

959 62 508 / 901 87 751

E-postadresse:

nordstrand.cathrine@gmail.com / roarh@gmail.com

Dato og sted:

13.09.2017, Oslo

1. Forslagstillers tittel på forslaget:*

*Denne kan endres under den videre behandlingen i systemet

Edaravone til behandling av ALS

NYE METODER

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Edaravone er et nytt behandlingsalternativ til pasienter med ALS. Metoden ble godkjent i USA i mai og har vært i bruk der siden august 2017. Japan og Sør-Korea har brukt denne lenger.

3. Kort beskrivelse av dagens tilbud (Hvilken metode(r) brukes nå? Status for metoden (gir kurativ behandling, forlenget levetid etc.) Vil metoden som foreslås vurdert erstatte eller komme i tillegg til dagens tilbud?)

Rilutek/Riluzol har vært på markedet siden 1995. Det har ikke kommet medisiner for ALS siden da. Rilutek er antatt livsforlengende med 2-3 mnd. Når man vet at [90 prosent av](#) ALS syke dør innen 2-5 år kan vi ikke si at den er en effektiv medisin. I kliniske studier er Rilutek og Edaravone brukt sammen hos de fleste pasientene.

4. Hva gjelder forslaget?	Ja	Nei
En helt ny metode?	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Et nytt bruksområde, eller en ny indikasjon for en etablert metode?	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
En sammenligning mellom flere metoder?	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Er metoden tatt i bruk?	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Hvis ja – metode tatt i bruk i klinisk praksis?	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Hvis ja – metode tatt i bruk innen forskning/utprøving?	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Metoden er i bruk på en kjent pasient i Norge som mener å ha god effekt av den. Vi vet også om to danske pasienter som tar medisinen. Vi vet også om to pasienter som har vært i Sør-Korea for behandling. Ellers er ikke u.t og støttegruppe informert om at den er i bruk på andre pasienter i Norge. Medisinen er også brukt for hjerneslag i 20 år i Japan.

5. Hva omfatter metoden (flere kryss mulig)?

- Legemiddel
- Medisinsk utstyr/teknologi
- Prosedyre
- Screening
- Høyspesialiserte tjenester/nasjonale tilbud
- Organisatorisk oppsett av helsetjenesten
- Annet (beskriv)

6. Metodens bruksområde:

- Forebygging

NYE METODER

- Utredning og diagnostikk
- Behandling
- Rehabilitering

- Spesialisthelsetjenesten
- Primærhelsetjenesten

Edaravone gis som intravenøs infusjon daglig i 14 dager etterfulgt av et opphold på 14 dager. Etterfølgende sykluser gis behandlingen i 10 av 14 dager etterfulgt av 14 dagers opphold. Se vedlagt instruksjon fra ALS Worldwide.

7. Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)?
- (Kort beskrivelse av type strålekilde, utstyr og stråleeksponering.)

Metoden involverer ikke stråling

8. Hvilke fagområde(r) gjelder metoden, og hvilke pasienter berøres? (Får metoden evt. også konsekvenser for andre grupper (som personell, pårørende?))

Metoden omfatter pasienter med ALS (fagområde nevrologi)

9. Hvilke aspekter er relevante for vurderingen? (flere kryss mulig)

- Klinisk effekt
- Sikkerhet/bivirkninger
- Kostnader/ressursbruk
- Kostnadseffektivitet
- Organisatoriske konsekvenser
- Etiske
- Juridiske

10. Foreslå hva som bør være hovedproblemstilling(er) for metodevurderingen, samt eventuelle underproblemstillinger (i samsvar med pkt. 8):

Innføring av edaravone som behandlingsalternativ til norske pasienter med ALS

11. Gi en kort begrunnelse for hvorfor det er viktig at metodevurderingen som foreslås bør gjennomføres:

ALS er en sykdom som det ikke finnes noen kur for og den er dødelig. Pr idag er det eneste tilbudet Rilutek som vi anser har lite til ingen effekt som livsforlengende behandling.

NYE METODER

12. Kommenter metoden som forslås vurdert mht. følgende punkter:

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

ALS er en dødelig tilstand med dårlig prognose. De fleste pasientene dør i løpet av 2-5 år.

Forventet effekt

Edavarone er antatt livsforlengende med 33 prosent, men det kan være et poeng at pasienten får starte tidlig i sykdomsforløpet. Se vedlagt artikkel fra The Lancet for dokumentasjon.

Sikkerhet (beskriv kort opplysninger om kjente risikoforhold, sikkerhetsaspekter og bivirkninger)

Se vedlagt artikkel fra The Lancet.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Over 400 pasienter lever med ALS i Norge til enhver tid, og forskermiljøet ser at det vil være økning i fremtiden, og at ALS rammer også yngre.

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

-

Behov for revisjon av eksisterende nasjonale faglige retningslinjer, evt. utarbeidelse av nye

-

13. Oppgi referanser til dokumentasjon om metodens effekt og sikkerhet (eks. tidligere metodevurderinger). (Inntil 10 sentrale referanser oppgis. Ikke send vedlegg på dette trinnet i prosessen.)

-

14. Oppgi navn på produsenter/leverandører vedrørende metoden (dersom aktuelt/tilgjengelig):

Mitsubishi Tanabe

15. Status for markedsføringstillatelse (MT) eller CE-merking: (Når forventes MT- eller CE-merking? Eventuelt opplysning om planlagt tidspunkt for markedsføring).

Metoden er godkjent og i bruk i USA. Japan og Sør-Korea har benyttet den lenger enn i USA.

NYE METODER

16. Fritekstrubrikk (Supplerende relevant informasjon, inntil 300 ord.)

Det er på høy tid at norske ALS pasienter får et håp. ALS pasientene dør, uten håp. Det er ofte mennesker i sin beste alder. Vi har barn i skolepliktig alder, vi har foreldre og søsken som er glad i oss. Vi ber bare om en sjanse til å leve lengst mulig og få et reelt behandlingstilbud. Akkurat slik som andre pasientgrupper i Norge får.

Det som er god nok behandling for ca 30000 amerikanske ALS pasienter og ALS pasienter i Japan og Korea er bra nok for de av oss som ønsker å prøve. Vi anser det uetisk å ikke tilby ALS syke i Norge medisiner når vi nå vet om nye godkjente medisiner i USA. Hvis norske ALS syke vil ha Edaravone må de flytte fra familiene sine til f.eks USA og bo der for å få medisinen. Med de sosiale og økonomiske utfordringene det medfører. Ettersom det pr idag ikke foreligger behandlingsalternativer ber vi beslutningsforum gjøre det eneste etiske og anstendige: tilby norske ALS syke Edaravone. ALS world wide som hjelper ALS syke i alle land importerer medisinen inn fra India til ca 20 000 norske kroner pr mnd.

17. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv forslagstillers relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som foreslås metodevurdert. (Eksempler: Forslagsstiller har økonomiske interesser i saken. Forslagsstiller har eller har hatt oppdrag i tilslutning til eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.)

Når det gjelder spørsmål om interesse/ interessekonflikt kan vi ikke som støttegruppe se at vi har dette. Vi ønsker bare at en av de sykeste pasientgruppene i Norge hvor det ikke har skjedd noe på behandlingsfronten på 22 år skal få et tilbud. Vi har flere ganger vært i kontakt med Bent Høie og tolker hans uttalelser som at han ønsker at de alvorligst syke (også ALS syke) skal få hjelp. Ny ordning med utprøvende behandling for dødssyke pasienter trer i kraft fra 1/1-2018. Vi ber om en rask behandling av søknaden. ALS syke har ingen tid å miste.