

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_064
Metodens tittel:	Langsiktig enzymerstatningsterapi, hos voksne og pediatriske pasienter i alle aldre, med en bekreftet diagnose på Pompes sykdom (syrealfaglukosidasemangel)

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Kristin Mesteig
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Sanofi Norge
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	Kristin.Mesteig@sanofi.com

3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)
<p>Sanofi viser til bestillingen (ID2022_064) angående vurdering av avalglucosidase alfa for behandling av Pompes sykdom- og ber med dette om endret bestilling</p> <p>Sanofi har etter beste evne forsøkt å finne valid dokumentasjon for å kunne imøtekomme metodebestillingen. Det viser seg imidlertid at denne bestillingen ikke er mulig å etterkomme, og vi ber derfor om at Bestillerforum erkjenner de faktiske forhold. Vår dokumentasjon baserer</p>

seg på global forskning og utvikling, og det Norge nå ber oss om å sende inn er særnorske krav, og ikke dokumentasjon som sammenlignbare land krever.

Metodebestillingen er rett og slett ikke mulig å etterkomme av følgende grunner:

- Standard behandling med Alglucosidase alfa har vært på markedet i 17 år
- **Det finnes ikke en fullgod helseøkonomisk modell for en pasientgruppe på fire-fem pasienter i Norge som vil kunne tilfredsstille de krav legemiddelverket har.**
- En kostnadseffektivitetsanalyse vurderer ikke det fulle aspektet av nytte som behandlingen kan gi til pasienter, helsesystem og samfunnet (Nestler-Parr et al. 2018)
- Størrelsen på populasjonen er ikke tatt høyde for (Richardson et al. 2019)
- En kostnadseffektivitetsanalyse for sjeldne sykdommer tar ikke høyde for fraværet av en fullgod SOC-behandling (Standard of Care). Dette vil resultere i en behandling som ikke er kostnadseffektiv og som hindrer innovasjon (Hyry et al. 2014; Nestler- Parr et al. 2018)
- Mangelen på validerte instrumenter for måling av livskvalitet innenfor sjeldne sykdommer hindrer gode estimat for behandlingsnytt (QALY) (Hyry et al. 2015; Nestler-Parr et al. 2018).

Sanofi mener ut fra dette at for å kunne evaluere en behandling til sjeldne sykdommer bør man se på budsjettkonsekvensanalyser, multi-criteria decision-analyser (MCDA), og verdien av et statistisk liv (VSL) (Drummond and Towse 2014; Iskov et al. 2017) fremfor å kreve en full helseøkonomisk modell.

Sanofi vil igjen påpeke at en eventuell videreføring av dagens anbudsordning for alglucosidase alfa ikke vil ha noen budsjettmessige konsekvenser for nåværende pasienter. Gjennom media kjenner Sanofi til en pasient som per i dag ikke får nødvendig behandling. Samlet sett vil de budsjettmessige forhold være begrenset.

Vi håper med dette at dere kan se på saken på nytt, og at dere imøtekommer vårt ønske om en endring i bestillingen til å gjennomføre en forenklet evaluering av effekt og kostnader ved alglucosidase alfa.

På generelt grunnlag har Sanofi forståelse for at en sammenligning av medikamentell behandling og «best supportive care» kan være teoretisk sett riktig. Vår bekymring er at når det gjelder medikamenter til behandling av genetisk sjeldne sykdommer vil dagens systemkrav føre til at fremtidige sjeldne pasienter vil havne i samme situasjon som i vårt tilfelle med alglucosidase alfa. Sanofi viser for øvrig til vårt initiativ til dialog med Sykehusinnkjøp.

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: Ja
 Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk: 2007
 Hvor er eventuelt metoden i bruk: Sykehus

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: Det finnes ingen medisinsk behandlingsalternativ på markedet i dag

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

Pompes pasienter med voksen debut vil oppleve en gradvis svekkelse, mest uttalt i sentral skjelettmuskulatur og diafragma. Avhengighet av rullestol og (invasiv) pustehjelp er typisk, men det er stor individuell variasjon i progresjonshastighet. Pasienter som får Myozyme vil vise forbedring i kliniske parametere som måler bevegelighet og pust, vanligvis 6-minute walk test (hvor langt pasienten greier å gå på seks minutter) og Forced Vital Capacity (kraft i utpust). Disse er også vanligste endepunkter i kliniske studier. Effekt av behandling viser også individuell variasjon, noen pasienter stabiliseres mens andre kan gjenoppta sykdomsprogresjon etter 3-5 års behandling. Det er fordelaktig med behandlingsoppstart tidlig i sykdomsforløpet, før irreversible skader oppstår i muskelvevet.

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? Ja
 Angi i så fall tidspunkt eller ventet tidspunkt for MT: 2006

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: Sanofi er MT-innehaver av alglucosidase alfa (Myozyme)

--