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):**

|  |  |
| --- | --- |
| 1.Hvilken metode gjelder innspillet? | |
| Metodens ID nummer: | ID2017\_097 |
| Metodens tittel: | |  | | --- | | Ropeginterferon alfa 2b til behandling av polycytemia vera | |

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

|  |  |
| --- | --- |
| 2. Opplysninger om den som gir innspill | |
| Navn | Eivind Jørgensen |
| Eventuell organisasjon/arbeidsplass | Oecona AS |
| Kontaktinformasjon (e-post / telefon) | [Eivind@oecona.no / 969](mailto:Eivind@oecona.no%20/%20969) 06 294 |

|  |
| --- |
| 3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle) |
| Bestillerforum bestemte i sitt møte den 20.11.2017 at Legemiddelverket skulle gjøre en hurtig metodevurdering av legemiddelet Besremi (ropeginterferon alfa-2b), til behandling av polycytemia vera.  Markdsføringstillatelse for indikasjonen *monoterapi hos voksne for behandling av polycytemia vera uten symptomatisk splenomegali*, ble gitt av Legemiddelverket den 15.02.2019.  På grunn av Legemiddelverkets kapasitetsutfordringer for metodevurderinger, ble det i 2019 bestemt å innføre tiltak som kunne avhjelpe disse utfordringene, og sentralt blant disse utfordringene var beslutningen om å innføre ulike løp for metodevurderingene. Dette var altså før Besremi ble gjort til gjenstand for en metodevurdering. Løp A gjelder for metoder der det er tilstrekkelig å oppsummere effekt og sikkerhet, pasientpopulasjon, plassering i behandlingstilbudet og vise til tidligere alvorlighetsberegning for terapiområdet.  I løp B skal det vurderes om det er sammenlignbar effekt mellom nytt og etablert legemiddel. Det er ikke tidligere gjort noen metodevurderinger av polycetemia vera, og det foreligger dokumentert mereffekt sammenlignet med standard behandling som ikke er et etablert legemiddel, så verken løp A (konkurranseutsetting) eller B (relativ effektvurdering) synes å være aktuelle. Av de fire løpene, er det således kun C (kostnad per Qaly-analyse) og D (forenklet metodevurdering) som er aktuelle for Besremi.  Prevalensen av polycytemia vera i Norge er 9,2 per 100 000 (Roaldsnes et al. 2017). Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) i EU (EMA 2017) |
|  |

**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? |
| Metoden er ikke i bruk i Norge i dag. |

|  |
| --- |
| 5. Hvilken pasientgruppe i den norske spesialisthelsetjenesten er metoden aktuell for? (PICO) |
| Metoden er aktuell for pasienter med polycytemia vera uten symptomatisk splenomegali. |

|  |
| --- |
| 6. Er du kjent med behandlingsalternativer til denne metoden og hvordan disse fungerer for pasientgruppen i dag? (PICO) |
| Det finnes ingen medikamentell behandling av polycytemia vera som har blitt gjort til gjenstand for en hurtig metodevurdering.  **Populasjon:** Pasienter med polycytemia vera.  **Intervensjon:** Besremi  **Comparator:** Ruxolitinib (Jakavi) og Pegintererfon alfa-2a (Pegasys) er begge nevnt som behandlingsalternativer i Nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av maligne blodsykdommer (Helsedirektoratet 2018) Etter det vi forstår er Pegasys, som ikke har indikasjonen, benyttet off label. Dette produktet er varslet å skulle trekkes fra markedet. Jakavi er ikke gjort til gjenstand for en metodevurderinger. Hydroxurea er nevnt som førstevalg i behandlingsretingslinjene for pasienter over 75år.  Retningslinjene anbefaler interferon alfa som første valg for pasienter < 60 – 65 år, hydroxurea som andre valg og ruxolitinib som tredje. For pasienter 60-65 til 75 år anbefales hydroxyurea eller interferon-α som førstevalg, ruxolitinib som andrevalg. For pasienter > 75 år er hydroxurea første valg, interferon eller ruxolitinib eventuelt kombinasjonsbehandling (hydroxyurea-anagrelide, hydroxyurea- interferon-α, interferon- α + anagrelide) andre valg. Retningslinjene for helseøkonomiske analyser slår fast at det er det legemiddelet som i størst grad fortrenges som skal være komparator. For pasienter som er intolerante eller er resistent til behandling med hydroxurea, er det vår oppfatnig at dette må være Jakavi til tross for den manglende metodevurderingen.  **Outcome:** Trombotiske komplikasjoner, miltstørrelse og helserelatert livskvalitet kan være aktuelle effektparametere. |
|  |

|  |
| --- |
| 7. Har du innspill til hva som vil være viktig for pasienter som er aktuelle for behandling med metoden? (PICO) |
| I tillegg til at sykdommen medfører økt dødelighet, har den også som konsekvens betydelig reduksjon i livskvalitet. Dette er knyttet til bl.a. tretthet/utmattelse, kløe, nattesvette, skjelettsmerter og splenomegali. |

|  |
| --- |
| 8. Spesielt for medisinsk utstyr (besvares av leverandør): CE-merking |
| n/a |

|  |
| --- |
| 9. Spesielt for legemidler (besvares av leverandør): Markedsføringstillatelse (MT) |
| Ja. |

|  |
| --- |
| 10. Andre kommentarer |
| Hensikten med dette innspillsdokumentet, er å anmode Bestillerforum om å omgjøre bestillingen til Legemiddelverket fra en kostnad per Qaly-analyse (type C) til en forenklet metodevurdering (type D).  Begrunnelsen for dette er først og fremst at dette er en sykdom som det i liten grad foreligger legemidler i Norge med godkjent indikasjon for, og som har blitt bestemt at skal innføres til bruk i spesialisthelsetjenesten med finansiering over regionale helseforetaks budsjetter. Dette kunne være Jakavi eller hydroxyurea. Venesectio er én anbefalt behandling, og metodevarselet nevner også Busulfan som gir økt risiko for sekundær akutt myelogen leukemi etter tidligere behandling med hydroksyurea. |
|  |

|  |
| --- |
| **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). |
| Oecona skriver dette forslaget på vegne av AOP Pharma som er eier av markeds-føringstillatelsen for produktet. Oecona utfører konsulenttjenester for klienter i legemiddelbransjen, blant annet AOP Pharma. |