

Saksnummer: 134-24 Vedlegg 1

Notat til Bestillerforum for nye metoder

Til:	<i>Bestillerforum for nye metoder</i>
Fra:	<i>Direktoratet for medisinske produkter</i>
Dato:	<i>16.08.2024</i>

Hva saken omhandler i korte trekk

Oppdrag ID2023_029, en forenklet metodevurdering (løp D) gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for pegzilarginase til behandling av ARG1-mangel (arginasemangel).

Oppdragsdato: 20.03.2023

DMP har ikke mottatt dokumentasjon fra legemiddelfirma.

Metodesiden bør oppdateres og harmonere med godkjent indikasjon:

Loargys til behandlingen av arginase 1-mangel (ARG1-D), også kjent som hyperargininemi, hos voksne, ungdom og barn i alderen 2 år og eldre.

Bakgrunn for saken

Direktoratet for medisinske produkter (DMP) bestilte dokumentasjon til metodevurderinger (16.02.2023). Vi har sendt flere forespørsler til legemiddelfirma, om når de estimerer å sende inn dokumentasjon til metodevurdering for dette oppdraget. Legemiddelfirmaet har informert om at de ikke vil sende inn dokumentasjon til metodevurdering på dette tidspunktet.

Informasjon om aktuelt legemiddel:

Handelsnavn	Loargys
Virkestoff	Pegzilarginase
ATC-kode	A16AB24
Legemiddelfirma	Immedica Pharma AB
Godkjent indikasjon (MT)	Loargys skal brukes til behandlingen av arginase 1-mangel (ARG1-D), også kjent som hyperargininemi, hos voksne, ungdom og barn i alderen 2 år og eldre.
MT-dato	15.12.2023 MT gitt under eksepsjonelle omstendigheter da det er få pasienter
MT-dato aktuell indikasjon	15.12.2023
Aktuell indikasjon	Loargys til behandlingen av arginase 1-mangel (ARG1-D), også kjent som hyperargininemi, hos voksne, ungdom og barn i alderen 2 år og eldre.
Øvrige indikasjoner og status i Nye Metoder	Ingen andre indikasjoner
Administrasjonsform	Subkutan/intravenøst, injeksjons-/infusjonsvæske, oppløsning
Dosering	Se Preparatomtalen for dosering
Markedsføringsstatus	Ikke markedsført på det norske markedet
Lenke til godkjent preparatomtale	Preparatomtale (SPC)
Lenke til EPAR	Loargys: EPAR - Medicine Overview Loargys: Assessment report

Det foreligger ingen aktuelle metodevurderinger fra andre land:

Sverige, (TLV / Janusinfo): N.A.

Danmark, (Medicinrådet): N.A.

Skottland, (SMC): N.A.

[England, \(NICE / NHS\)](#): In progress.

Canada, (CADTH): N.A.

