

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*:	ID2020_104
Metodens tittel:	Risdiplom til behandling av spinal muskelatrofi (SMA)

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Helle Endresen
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Roche Norge AS
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	Helle.endresen@roche.com 90164324

3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)
<p>For metoden ID2020_104 risdiplom til behandling av SMA mener Roche det er mest hensiktsmessig å dele bestillingen i to basert på at det vil være forskjellige komparatorer for analysene og det kan gjøres forenklinger i den analysen hvor nusinersen er relevant komparator.</p> <p>Roche mener det vil være tilstrekkelig med en sammenligning av effekt og sikkerhet (løp B, forenklet vurdering) for risdiplom versus nusinersen for pasientgruppen som i dag får nusinersen, dvs pasienter med SMA type 1, 2 og 3a under 20 år fremfor en kost-nytte vurdering (løp C). Basert på foreliggende data vil det ikke være nødvendig å levere en kost-nytte analyse for denne populasjonen, en sammenligning av effekt og sikkerhet sammen med en</p>

kostnadsminimeringsanalyse vil gi tilstrekkelig beslutningsgrunnlag. En forenklet vurdering (løp B) vil også være betydelig ressursbesparende både for SLV og Roche.

Den kliniske studien til risdiplom, SUNFISH inkluderte SMA pasienter mellom 2 -25 år, viser at risdiplom har effekt hos pasienter opp til 25 år. Vi mener at det er ingen grunn til å sette en begrensning i oppstart av risdiplom til 18 år. I norsk klinisk praksis får pasienter som i dag er 20 år behandling med nusinersen (dvs pasienter som var 17 år og startet behandling i februar 2018). I 2021 vil disse pasientene være 21 år, og i 2026 vil de være 25 år. En eventuell innføring av risdiplom iht. alder i SUNFISH studien vil dermed ha begrenset budsjettvirkninger.

For pasientpopulasjonen som per i dag ikke har noen sykdomsmodulerende behandling og komparator består av best-supportive care (BSC) vil det være begrenset med evidens basert på predefinert subgrupper i SUNFISH studien (eks pasientpopulasjon 12-25 år). Vi mener her at en forenklet metodevurdering (løp D) kan være hensiktsmessig. Imidlertid ber vi Bestillerforum om å sette bestillingen for denne populasjonen på vent i påvente av at Roche har fått mulighet til å presentere tilgjengelig dokumentasjon i formøtet med SLV og drøfte hva som er praktisk mulig å gjennomføre.

Oppsummert:

- Vi ber dermed Bestillerforum vurdere å bestille en forenklet metodevurdering (løp B) for pasienter ≤ 25 år i henhold til dokumentasjon i SUNFISH studien
- Utsette bestilling av metodevurdering av SMA pasienter >25 år til første kvartal 2021

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: Nei
 Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk:
 Hvor er eventuelt metoden i bruk:

5. Hvilken pasientgruppe i den norske spesialisthelsetjenesten er metoden aktuell for? (PICO)

Beskriv kortfattet: Pasienter over 2 måneder med SMA

6. Er du kjent med behandlingsalternativer til denne metoden og hvordan disse fungerer for pasientgruppen i dag? (PICO)

Beskriv kortfattet: Spinraza (nusinersen) er per i dag innført til behandling av pasienter med SMA type 1, 2 og 3a under 18 år. Nusinersen ble innført i februar 2018. Dvs. at de eldste pasientene på behandling er 20 år i dag.

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

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: Risdiplam tas peroralt en gang daglig i motsetning til nusinersen som administreres intratekal.

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? Angi i så fall tidspunkt eller ventet tidspunkt for MT: Forventet positiv opinion i februar 2021, norsk MT i april/mai 2021.

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: