

# Forslag til nasjonal metodevurdering

---

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):

## Kontaktinformasjon:

**Navn på forslagsstiller** (organisasjon/institusjon/foretak/producent):

Gilead Sciences Norway A/S

**Navn på kontaktperson:**

Karoline Wallace

**Telefonnummer:**

+46 (0)8 505 718 39

**E-postadresse:**

Karoline.wallace@gilead.com

**Sted og dato:**

Solna August 18, 2014

**1. Tittel på bestillingen:**

Zydelig (idelalisib) for the treatment of refractory follicular lymphoma (FL)

## 2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Zydelig (idelalisib) is a first-in-class, highly selective, orally administered inhibitor targeted against the enzyme phosphatidylinositol 3-kinase (PI3K $\delta$ ). PI3K $\delta$  is critical for multiple signaling pathways that are hyperactive in B-cell malignancies.

On July 24, 2014 Zydelig received a positive opinion from the Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) for the treatment of adult patients with FL that is refractory to two prior lines of treatment.

Approval from the scientific committee of the European Medicines Agency (EMA) is estimated during the second-half of September.

## 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?)

FL treatment focuses on controlling the disease and its symptoms rather than on an outright cure. Currently there exists no standard of care for patients with refractory FL. The majority of patients in FL will eventually relapse and/or become resistant to treatment, hence there is a high unmet need in this disease area.

### Current treatment options:

Treatment options for patients with relapsed/refractory FL include rituximab +/- chemotherapy, chemotherapy alone, or radioimmunotherapy (RIT). Treatment decisions of relapsed FL become progressively more complex and vary according to the clinical assessment of a patient's time of relapse, age, and previous treatments.

Resistance to rituximab and/or chemotherapy can develop and for patients who relapse or who are refractory to either or both types of therapy, treatment options which are safe and effective are very limited.

## 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 type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
En sammenligning mellom flere metoder?	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
Er metoden tatt i bruk?	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Hvis ja – metode tatt i bruk i klinisk praksis?	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Hvis ja – metode tatt i bruk innen forskning/utprøving?	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>

Zydelig is approved by the FDA (United States).

## 5. Hva omfatter metoden (flere kryss mulig)?

Legemiddel	<input checked="" type="checkbox"/>
Medisinsk utstyr/teknologi	<input type="checkbox"/>
Prosedyre	<input type="checkbox"/>

- Screening
- Høyspesialiserte tjenester/nasjonale tilbud
- Organisatorisk oppsett av helsetjenesten
- Annet (beskriv)

"Klikk her og beskriv. Inkluder eventuelt hvem som er ansvarlig for utvikling av metoden"

**6. Metodens bruksområde:**

- Forebygging
- Utredning og diagnostikk
- Behandling
- Rehabilitering
- 
- Spesialisthelsetjenesten
- Primærhelsetjenesten

FL is treated in specialist care, primarily by oncologists.

**7. Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)?**

(Kort beskrivelse av type strålekilde, utstyr og stråleeksponering.)

"Klikk her og beskriv"

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

Patients with FL that are double-refractory to rituximab and an alkylating treatment. Unlike infused treatment options, Zydelig can be taken outside hospitals and patients and carers do not need to take time off from work. This also results in time freed up for hospital personnel.

**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):**

Evaluate the cost-effectiveness of Zydelig compared to other relevant treatment options and best supportive care in patients with double-refractory FL.

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

Zydelig is a new treatment option for this patient group that is associated with few adverse events. Current treatment options which are safe and effective are limited.

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

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

FL is a life-threatening condition.

Forventet effekt

Progression free survival, overall survival and improved quality of life.

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

The most commonly reported adverse reactions (incidence  $\geq 20$  percent) is diarrhea, pyrexia, fatigue, nausea, cough, abdominal pain and chills. Additionally, grade 3 or 4 elevations in ALT and AST (indicators of liver function) have been observed in clinical trials of Zydelig (FL and one other indication). Grade 3 or 4 pneumonitis and Grade 3 or 4 diarrhea/colitis have also been observed in some patients in the clinical trials.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

The true prevalence of FL in Norway is unknown. However, the prevalence of Non-Hodgkin's lymphoma (NHL) has been estimated to 6000 persons (Kreftregisterer, 2009). Indolent non-Hodgkin's lymphoma (iNHL) represent approximately 40% of all NHLs (2500 patients) and FL accounts for 60% of all iNHLs. This would put the estimate of the number of FL patients in Norway at 1500.

On an annual basis, approximately 20% of all patients will receive an active treatment (300 patients) and 25% of those will receive a 3rd line treatment. The estimated maximum yearly population for this type of treatment would thus be 75 patients.

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Less health care resource consumption could be assumed as Zydelig is orally administrated and have fewer adverse events compared to other relevant treatment options.

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

Yes. Current guidelines are from 2012 (Nasjonale handlingsprogrammet med retningslinjer for for diagnostikk behandling og oppfølging av maligne lymfomer)

**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.)

- Zydelig received positive opinion from CHMP in July 2014.  
[http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Summary\\_of\\_opinion\\_-\\_Initial\\_authorisation/human/003843/WC500170181.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Summary_of_opinion_-_Initial_authorisation/human/003843/WC500170181.pdf)
- The Phase 2 101-09 study assessed the efficacy and safety of Zydelig in patients with iNHL who are refractory to rituximab and alkylating agents. Results of and 101-09 were published in *The New England Journal of Medicine* in March 2014.  
<http://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa1314583#t=articleTop>

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

Gilead Sciences

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

Zydelig received a positive opinion from CHMP in July 2014. European Commission decision and is expected in the second-half of September 2014, and a Norwegian MT is expected to follow in September or October 2014.

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

"Klikk her og skriv"