

## 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](http://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](http://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):** ☒

<b>1.Hvilken metode gjelder innspillet?</b>	
Metodens ID nummer*:	ID2019_117/ID2021_126
Metodens tittel:	Ravulizumab ved aHUS

\*ID-nummer finner du på metodesiden på [nyemetoder.no](http://nyemetoder.no) og har formen ID2020\_XXX

<b>2. Opplysninger om den som gir innspill</b>	
Navn	Anna Bjerre
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Oslo universitetssykehus, Avdeling for spesialisert Barnemedisin og Transplantasjon, Barneklubben
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	<a href="mailto:abjerre@ous-hf.no">abjerre@ous-hf.no</a> / 23074596

<b>3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)</b>
<p>Komplement hemming er etablert som den foretrukne behandlingen ved atypisk HUS (aHUS), dvs genetisk HUS utløst av ulike former for medfødte komplement defekter. Ved denne tilstanden får pasienten en raskt utviklende hemolyse, fall i plater og nyresvikt som i de mest uttalte tilfeller fører til opphør av urin produksjon og manglende evne til regulering av salter bla. Med ny behandling med antistoffer mot sentrale deler i komplementsystemet (C5) har denne komplementhemmingen dramatisk bedret prognosen fordi risikoen for å miste nyrefunksjonen med risiko for senere behov for nyretransplantasjon ikke lenger er tilstede. Komplement C5-hemmeren ekulizumab fra Amgen (biosimilars) er tilgjengelig til bruk for norske pasienter. De få barn som er i behandling må møte til poliklinisk behandling hver 14.dag, og det medfører at store deler av dagen går med til å få gjennomført behandling pga. reisetid</p>

og behandlingstid. Dette medfører stort skolefravær som kan ha betydning for videre læring og risiko for å falle ut av skolen. For voksne så betyr og arbeidsfravær.

Ravulizumab er minst like effektivt som ekulizumab (begge er C5-hemmere), men ravulizumab kan doseres hver 8. uke. Det innebærer en betydelig praktisk fordel for pasientene, og kostnadene som er forbundet med behandlingen unntatt medikamentkostnaden er betydelig lavere enn ved behandling med ekulizumab. Dette betyr at pasienten møter betydelig mere sjeldent og derfor kan fokusere på skole, arbeide og leve et mere normalt liv.

#### 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:  
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 med atypisk Hemolytisk Uremisk Syndrom (aHUS), dvs genetisk utøst HUS der det foreligger en genetisk feil i komplement systemet.

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

Beskriv kortfattet: Ingen andre en ekulizumab som er tilsvarende men må gis mye oftere- 4 ganger i løpet av 2 måneder kontra en gang/ 2 måneder.  
Beskrevet over.

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

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:  
Beskrevet over.

**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: Ravulizumab har markedsføringstillatelse.

**10. Andre kommentarer**

Innføring av komplement hemmer i denne pasient gruppen er en game-changer og har medført at pt som tidligere mistet sin nyrefunksjon nå er nyrefriske under pågående behandling.

Det er grunn til å tro at leverandøren av ravulizumab er innstill på prisforhandlinger slik at den rene medikamentkostnaden blir den samme som for ekulizumab, alternativt lavere grunnet mere sjelden behandling.

**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:

Ingen, deltatt i møter med legemiddelfirma men aldri mottatt honorarer.