

## 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):**

<b>1.Hvilken metode gjelder innspillet?</b>	
Metodens ID nummer*:	ID2019_111
Metodens tittel:	Behandling av epileptiske anfall assosiert med Dravets syndrom (DS) hos pasienter fra og med 2 år

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

<b>2. Opplysninger om den som gir innspill</b>	
Navn	Susanne Løyland, leder
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Epilepsiforbundet Dravet syndrom
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	dravet@epilepsi.no / 91750753

<b>3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)</b>
<p>Epilepsiforbundet Dravet syndrom ser nødvendigheten av å få tilgang på Fenfluramin/Fintepla raskest mulig. Vi kjenner til at legemiddelet har vist svært gode resultater hos pasienter med Dravet syndrom også over lengre tid.</p> <p>Dravet syndrom er et alvorlig epilepsisyndrom med mange følgevansker. Mange med Dravet syndrom har forsøkt det som er av tilgjengelige legemidler, samt diett og VNS-operasjon, uten å oppnå god nok anfallskontroll. Dette resulterer i dårligere livskvalitet og en vanskelig hverdag både for den med Dravet syndrom og familien rundt. De aller færreste, om noen i det hele tatt, med Dravet syndrom oppnår fullstendig anfallsfrihet. For de fleste er målet å få så god anfallskontroll som mulig, uten for mange alvorlige bivirkninger. Det er derfor viktig å ha gode alternativer. Det har gitt mange familier håp å vite at det er flere alternativer på vei.</p>

Noe av det som kjennetegner Dravet syndrom er medikamentresistens. Dette innebærer at mange familier er fortvilet da de allerede har forsøkt det som er av tilgjengelige medikamenter, ofte flere runder, uten å oppnå ønsket resultat som er en god hverdag.

Personen med Dravet syndrom sin anfallssituasjon påvirker både den selv og familiens hverdagen i svært høy grad. Man må tilrettelegge og alltid legge planer for i tilfelle anfall, og planer kan endres eller avlyses på kort tid.

Mange anfall påvirker utviklingen til personer med Dravet syndrom. Nattlige anfall, i kombinasjon med dårlig søvn, påvirker utviklingen til personer med Dravet syndrom. Mange anfall stopper opp/forsinker utviklingen, og hjernen/kroppen får ikke den ro den trenger på natten. Utviklingen hos personer med Dravet syndrom går saktere enn normalt, men alle anfall og skader reduserer tempoet ytterligere, og i noen tilfeller kan anfallssituasjonen medføre at man mister ervervete ferdigheter. Anfallssituasjonen gjør at de ikke har mulighet til å oppnå sitt potensial de kunne gjort ved å ha mindre anfall og være mindre sliten.

Dravet syndrom gir også økt risiko for tidlig død, de har en høyere risiko for SUDEP enn annen epilepsipopulasjon. Dette er med på at mange ikke har tid til å vente lenge på at ny behandling skal bli tilgjengelig.

Dravet syndrom medfører ofte dårligere livskvalitet både for personen selv, men også for hele familien. Foreldre blir utslitte av å ha hverdag som er stabil ustabil. Mange får ikke noen oppfølging av alle de akutte krisene man faktisk står i ved bla status epilepticus og skader ved anfall. Foreldre er i en konstant kriseberedskap pga en epilepsi som ikke er under kontroll.

Dette medfører stor slitasje på foreldre, og kan i mange tilfeller føre til sykemeldinger og i noen tilfeller uføre. Det utløser behov for å være flere voksne rundt personen med Dravet syndrom, for etter hvert kan man ikke håndtere dette alene. Det er mange med Dravet syndrom som må skjermes fra de andre i familien pga anfall og atferd, og familier må i hverdagen – og ikke minst ferier – dele seg for å tilrettelegge for alle parter. Dette er ingen god løsning for familiedynamikken og påfører familier en ekstra belastning.

Søsken til personer med Dravet syndrom blir utsatt for det samme og der igjen er det ingen system for oppfølging. De må finne seg i å bli tilsidesatt og at planer må endres på kort varsel pga anfall, og dette gjør noe med søsken når det pågår over tid.

Fenfluramin/Fintepla har gode forskningsresultater å vise til og over en lengre periode. Dersom personer med Dravet syndrom kan bli tilbudt Fenfluramin/Fintepla er det nok et behandlingstilbud som kan tilbys de som har prøvd alt som er tilgjengelig pr i dag uten effekt på anfall. De gode resultatene Fenfluramin/Fintepla kan vise til vil medføre en stor forskjell for denne pasientgruppen og deres familier. Dersom personen med Dravet syndrom kan prøve en medisin som kan redusere antall anfall vil dette ha stor betydning for denne personens utvikling og dermed mulighet til å klare seg mer selv og uten så mye hjelp i fremtiden. Med mindre anfall vil personen bli mer opplagte og få større mulighet til å delta i samfunnet. Pr i dag er det mange som ikke er i form til å delta på noe på ettermiddag pga formen er så redusert og de har behov for hvile og ro.

Blir det færre anfall vil dette ha stor betydning for familier, foreldre og søsken. Man kan kanskje klare å gjennomføre planer uten så mange avlysninger/endringer, foreldre kan slappe litt mer av og dermed stå mer i ordinært arbeidsforhold. Søsken vil også få det bedre, de slipper å bekymre seg for både søsken og foreldre.

Langtidsstudier av Fenfluramin viser gode resultater også etter langtidsbruk i motsetning til de fleste av de medisinene som er tilgjengelige pr idag. Studier viser også til gode resultater i forhold til vurdering av økt livskvalitet. Bivirkningene er også færre og mindre alvorlige sammenlignet med veldig mange av de allerede godkjente medisinene. Vi er klar over at heller ikke denne medisinen vil fungere godt for absolutt alle, men resultater fra flere studier viser at den vil gi god effekt for mange. Basert på at den har vært brukt til noen pasienter med Dravet syndrom i ca 30 år allerede i Belgia, med gode resultater, ønsker vi nå å skynde på prosessen

her i Norge. Mange av oss har ikke tid til å vente lenger, da alt annet er forsøkt. Hver dag som går er en dag av våre barns liv. Dager vi aldri får tilbake.  
 Vi mener at Fenfluramin/Fintepla bør bli et tilgjengelig legemiddel for alle med Dravet syndrom i Norge. Vi ønsker videre at dette blir tilgjengelig så raskt som mulig, da personer med Dravet syndrom og deres familier får en betydelig redusering av deres livskvalitet i påvente av at legemiddelet skal bli tilgjengelig.

**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 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:

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

Beskriv kortfattet:

**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:

**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:

**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:

**Ingenting av betydning**