

# Forslag om nasjonal metodevurdering

## Viktig informasjon – se på dette først og husk å krysse av!

- Innsendte forslag til nasjonale metodevurderinger vil bli publisert i sin helhet. Har du informasjon du mener ikke kan offentliggjøres, ta kontakt med sekretariatet før innsending. **Forslagsstiller er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (kryss av):**
- Forslagsstiller har fylt ut punkt 18 nedenfor: «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):
- Dette skjemaet brukes for å sende inn forslag om metodevurdering på nasjonalt nivå i Nye metoder. Skjemaet gjelder ikke forslag om forskningsprosjekter. En metodevurdering er en type kunnskapsoppsummering, og for at en slik skal kunne utføres, behøves dokumentasjon eksempelvis fra gjennomførte kliniske studier. Manglende dokumentasjonsgrunnlag kan være en av årsakene til at Bestillerforum RHF ikke gir oppdrag om en metodevurdering.
- Hvis forslaget gjelder et medisinsk utstyr, er forlagsstiller kjent med dokumentet [Veiledende kriterier for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder](#) (link) (kryss av):

## Opplysninger om forlagsstiller

Navn/kontaktperson	Jostein Førsvoll
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Barne- og Ungdomsklinikken Helse Stavanger HF
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	Jostein.andersen.forsvoll@sus.no/95913721
Dato for innsending av forslag	16.12.2022

## Opplysninger om metoden som foreslås

### 1. Forslagstillers tittel på forslaget:\*

\*Denne kan endres under den videre behandlingen i systemet for Nye metoder:

Metraleptin (Myalepta) til behandling av medfødt generalisert lipodystrofi (Berardinelli-Seip syndrom)

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

Vi viser til søknadsprosess for samme legemiddel på en utvidet indikasjon (ID-nummer: ID2020\_039). Vi ønsker å søke om metoden for en subpopulasjon av disse pasientene. Medfødt generalisert lipodystrofi er en ekstremt sjelden tilstand hvor barna utvikler organskader i tidlige barneår, og vi mener derfor det er viktig at denne subpopulasjonen av pasienter vurderes for seg når man ser på nytte.

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

Pasienter med medfødt generalisert lipodystrofi har stor risiko for å utvikle organskader, som igjen medfører betydelig morbiditet og kortere livslengde. Bortsett fra kostbehandling som har begrenset nytte og er vanskelig å gjennomføre (særlig i barne- og ungdomså), finnes det ingen annen god forebyggende behandling. Vi mener at leptinbehandling bør vurderes særskilt for denne subgruppen da de etter vår mening vil ha mest å vinne på behandling.

4. Foreslå hva som bør være hovedproblemstilling(er) for metodevurderingen, samt eventuelle underproblemstillinger. For deg som er kjent med «PICO (Patient, Intervention, Comparator, Outcome) -begrepet», inkluder gjerne tentativt forslag til PICO.\*

Vi mener at metodevurderingen bør være lik som den som er gjennomført tidligere, men at nytten vurderes kun for den aktuelle subpopulasjonen.

\*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.

5. Kort beskrivelse av dagens tilbud (Hvilken metode brukes nå? Status for metoden (gir kurativ behandling, forlenget levetid etc.) Vil metoden som foreslås vurdert erstatte eller komme i tillegg til dagens tilbud?)

Barn med generalisert lipodystrofi blir instruert i fettfattig kost, men p.g.a. stor tilvekst og svært stor appetitt som følger av sykdommen er kostrestriksjoner vanskelig å gjennomføre. Det finnes ingen annen behandling som motvirker organskade. Når pasienten utvikler følgesykdommer, som for eksempel type 2 diabetes, behandles dette med vanlige legemidler om enn ofte med dårlig terapierespons.

6. Forslaget gjelder:	Ja	Nei
En metode som er aktuell for spesialisthelsetjenesten	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
En ny og innovativ 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 type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
Hvis ja – metode er tatt i bruk i klinisk praksis	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Hvis ja – metode er tatt i bruk innen forskning/utprøving	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Revurdering/utfasing av en metode som er tatt i bruk i klinisk praksis	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>

Eventuelle kommentarer til bruken av metoden:

7. Hva omfatter metoden som foreslås (flere kryss mulig)?

Legemiddel

Medisinsk utstyr som er CE-merket\*

\*Angi klassifisering og bruksområde:

Medisinsk utstyr som ikke er CE-merket

Prosedyre

Screening

Høyspesialiserte tjenester/nasjonale tilbud

Organisatorisk oppsett av helsetjenesten

Annet (beskriv)

8. Finansieringsansvar Ja      Nei

Har spesialisthelsetjenesten et finansieringsansvar for metoden i dag?

Vil spesialisthelsetjenesten kunne få finansieringsansvar for metoden?

Eventuelle kommentarer:

9. Er metoden omtalt i nasjonale faglige retningslinjer eller handlingsprogrammer utarbeidet av Helsedirektoratet? Ja      Nei

Angi eventuelt hvilke og kommenter eventuelt behov for endringer:

10. Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)? Ja      Nei

Angi eventuelt type strålekilde, utstyr og stråleeksponering:

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

Som nevnt under punkt 13. er det svært få pasienter som er aktuelle. Barnepasientene vil følges opp og læres opp ved en barneklinnk. Videre behandling kan administreres i hjemmet.

12. Hvilke aspekter er relevante for metodevurderingen? (flere kryss mulig)

- |                              |                                     |
|------------------------------|-------------------------------------|
| Klinisk effekt               | <input checked="" type="checkbox"/> |
| Sikkerhet/bivirkninger       | <input checked="" type="checkbox"/> |
| Kostnader/ressursbruk        | <input checked="" type="checkbox"/> |
| Kostnadseffektivitet         | <input checked="" type="checkbox"/> |
| Organisatoriske konsekvenser | <input type="checkbox"/>            |
| Etiske                       | <input checked="" type="checkbox"/> |
| Juridiske                    | <input type="checkbox"/>            |

13. Kommenter metoden som forslås vurdert mht. følgende punkter:

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

Medfødt generalisert lipodystrofi er en alvorlig sykdom som gir betydelig morbiditet og kortere livslengde. Hyperfagi (sultfølelse) i kombinasjon med en streng diett gir betydelig nedsatt livskvalitet.

Forventet effekt

På tross av et optimalt kostregime utvikler pasientene dyslipidemi, diabetes og organskader. Særlig rammes lever og nyrer. Metreleptin motvirker hyperfagien og gjør det enklere å følge diettanbefalinger. Metreleptin gir lavere fastende glukose (og lavere HbA1c), bedring av dyslipidemi, og reduksjon i leversteatose. Det forventes derfor at organskade i noen grad kan reverseres og at livslang behandling til en viss grad utsetter og forebygge skader. Derfor forventes et lavere sykdomstrykk, med mindre symptomer og forhåpentligvis økt livslengde.

Sikkerhet og bivirkninger

Som gjennomgått i tidligere metodevurdering. Hypoglykemi. Reaksjoner på innstikkstedet.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Vi kjenner til fire pasienter med denne diagnosen i den norske barnepopulasjonen.

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Opplæring i hjemmebehandling virker enkelt å gjennomføre og følge opp. Ressursutfordringene knytter seg til kostnaden.

14. Oppgi referanser til dokumentasjon om metodens effekt og sikkerhet (eks. tidligere metodevurderinger). (Inntil 10 sentrale referanser oppgis. Ikke send vedlegg nå.)

ID2020\_039 Metreleptin (Myalepta) som tillegg til kosthold som erstatningsterapi for å behandle komplikasjoner ved leptinmangel hos pasienter med lipodystrofi.

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

Amryt Pharmaceuticals

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

Medikamentet er godkjent hos EMA

17. Fritekstrubrikk (Supplerende relevant informasjon, inntil 300 ord.)

Barnelege Jostein Førsvoll ved Stavanger Universitetssjukehus (Forslagsstiller/kontaktperson), Dr. Ingvild Menes Sørensen og Dr. Anniken Bjørnstad Østensen ved Oslo Universitetssykehus følger de fire pasientene omtalt under punkt 13. Vi har fulgt metodevurderingen for Myalepta. Den tok lang tid, og metoden ble ikke innført. Vi opplever at de pasientene vi følger blir sykere, og vi ber derfor om at metodevurderingen gjennomføres så raskt som mulig.

18. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv forslagsstillers relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som foreslås metodevurdert. (Eksempler: Forslagsstiller har økonomiske interesser i saken. Forslagsstiller har eller har hatt oppdrag i forbindelse med, eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.)

Dr. Jostein Førsvoll, Dr. Ingvild Menes Sørensen og Dr. Anniken Bjørnstad Østensen har ingen økonomiske interesser eller andre bindinger som har relevans for denne metoden.