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):**

|  |  |
| --- | --- |
| 1.Hvilken metode gjelder innspillet? | |
| Metodens ID nummer\*: | ID2021\_012 |
| Metodens tittel: | Single technology assessment Imcivree® (setmelanotide) for the treatment of obesity associated with genetically confirmed Bardet-Biedl syndrome ID2021\_012 |

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

|  |  |
| --- | --- |
| 2. Opplysninger om den som gir innspill | |
| Navn | Eva Calvo Santiago |
| Eventuell organisasjon/arbeidsplass | Rhythm Pharmaceuticals Netherlands B.V. |
| Kontaktinformasjon (e-post / telefon) | ecalvo@rhythmtx.com |

|  |
| --- |
| 3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle) |
| In reference to the indication of Setmelanotide (Imcivree), we kindly request a modification to the order to only include its use and reimbursement request for the treatment of obesity and the control of hunger associated with genetically confirmed Bardet-Biedl syndrome (BBS) in adults and children 6 years of age and above. Below we specify the indication we would like to change written in Norwegian:  IMCIVREE er indisert for behandling av fedme og kontroll av sult assosiert med genetisk bekreftet Bardet-Biedl syndrom (BBS), til voksne og barn fra 6 år og oppover.  In addition, it is important to note that for the indication of Alström syndrome (AS), we did not seek market authorization from the European Medicines Agency (EMA).  The expected prevalence for the first indication for the treatment of obesity and the control of hunger associated with genetically confirmed loss of function of biallelic proopiomelanocortin (POMC), including PCSK1 deficiency or biallelic leptin receptor (LEPR) deficiency, is very low. Specifically, the prevalence related to the LEPR is 1.34 per million people1, and for POMC/PCSK1 deficiencies, fewer than 50 cases have been described worldwide2.  These figures highlight the extremely limited patient population for this indication, thus reinforcing our focused reimbursement request for BBS. Furthermore, it is important to mention that we have not identified any patients for the first indication in Norway. Our initially submitted application reflects this approach and is designed to meet the specific needs associated with BBS.  References: 1. Kleinendorst L, et al., Eur J Endocrinol. 2020;182(1):47–56. 2. Malhotra S, et al. J Pediatr Genet. 2021;10(3):194–204. |

**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 tiltakdet 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: *Not applicable*  Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk: *Not applicable*  Hvor er eventuelt metoden i bruk: *Not applicable* |

|  |
| --- |
| 5. Hvilken pasientgruppe i den norske spesialisthelsetjenesten er metoden aktuell for? (PICO) |
| Beskriv kortfattet: The relevant population for Imcivree® is focused on the treatment of obesity and the control of hunger associated with genetically confirmed Bardet-Biedl Syndrome (BBS) in adults and children 6 years of age and above. This is narrower than the order and marketing authorization because this population reflects where Imcivree® provides the most clinical benefit and where the product is likely to be used in Norway. |

|  |
| --- |
| 6. Er du kjent med behandlingsalternativer til denne metoden og hvordan disse fungerer for pasientgruppen i dag? (PICO) |
| Beskriv kortfattet: No drug therapy is currently approved for the management of hyperphagia, and obesity associated with BBS. In Norway, the current SoC lifestyle modification by changing diet habits and increasing physical activity3. Bariatric surgery is not recommended for rare genetic disease of obesity and does not address the genetic impairment and resulting insatiable hunger. Setmelanotide is not expected to replace diet and exercise advice for the treatment of obese patients with BBS, rather it is expected to improve the impact of these interventions.  References: 3. OUS, Anbefalinger for utredning og oppfølging av personer med Bardet-Biedl syndrom (BBS). Oslo universitetssykehus. Senter for sjeldne diagnoser. 2012. |

|  |
| --- |
| 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:  No therapy normalizing satiety signals is currently available in Norway. Whilst diet and exercise advice can be effective in the short-term weight management, it does not address the underlying mechanism of impaired MC4R pathway signaling and the resulting severe hyperphagia that drives the patient to overeat.  Patients with untreated BBS start to gain weight early in life, and the severity of obesity increases with age. Setmelanotide is not only effective in reducing body weight, but also have the potential to reverse the tendency of weight gain. |

|  |
| --- |
| 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: *Not applicable* |

|  |
| --- |
| 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:  Imcivree® was issued a marketing authorization for a group of variations, to add the new therapeutic indication for the treatment of obesity and the control of hunger associated with genetically confirmed Bardet-Biedl syndrome throughout the European Union on September 2nd, 2022. |

|  |
| --- |
| 10. Andre kommentarer |
| *Not applicable* |

|  |
| --- |
| **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: In my role as the International Market Access Director for Rhythm Pharmaceuticals Netherlands B.V., I represent my company's interests in the commercialization of Imcivree® (setmelanotide). This statement is made in the interest of transparency and does not affect my commitment to a fair and objective evaluation process. |