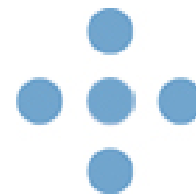


# Protokoll – (godkjent)

Vår ref.:  
23/00030

Saksbehandler/dir.tlf.:  
Ellen Nilsen / 997 49 706

Sted/Dato:  
Oslo, 24.04.2023



<b>Møtetype:</b>	Beslutningsforum for nye metoder
<b>Møtedato:</b>	11. april 2023 klokka 08:00 – 08:30
<b>Møtested:</b>	Teams

## Tilstede

<b>Navn:</b>	
Inger Cathrine Bryne	adm. direktør, Helse Vest RHF
Marit Lind	konstituert adm. direktør, Helse Nord RHF
Terje Rootwelt	adm. direktør, Helse Sør-Øst RHF
Stig A. Slørdahl	adm. direktør, Helse Midt-Norge RHF
<i>Observatører:</i>	
Olav V. Slåttebrekk	assisterende helsedirektør (observatør)
Knut Georg Hartviksen	observatør fra de Regionale brukerutvalgene
Torbjørn Akersveen	observatør fra de Regionale brukerutvalgene
<i>Sekretariatet:</i>	
Ellen Nilsen	enhetsleder, Sekretariatet for nye metoder
Michael Vester	spesialrådgiver, Sekretariatet for nye metoder
Mirjam Helene Pletanek Klingenberg	kommunikasjonsrådgiver, Helse Vest RHF
<i>Bisittere:</i>	
Geir Tollåli	fagdirektør, Helse Nord RHF
Bjørn Egil Vikse	fagdirektør, Helse Vest RHF
Ulrich Spreng	fagdirektør, Helse Sør-Øst RHF
Björn Gustafsson	fagdirektør, Helse Midt-Norge RHF
Elisabeth Bryn	enhetsleder, Statens legemiddelverk
Asbjørn Mack	fagsjef, Sykehusinnkjøp HF
Karianne Johansen	spesialrådgiver, Helse Sør-Øst RHF

## Forfall

<b>Navn:</b>	Bjørn Guldvog, helsedirektør (observatør)
	Jan Frich, områdedirektør, Folkehelseinstituttet (bisitter)

## **Sak 032-2023 Godkjenning av innkalling og saksliste**

### Beslutning

Innkalling og saksliste godkjennes.

## **Sak 033-2023 ID2020\_031 Nusinersen (Spinraza) til behandling av voksne pasienter med spinal muskelatrofi (SMA) ID2017\_001 Nusinersen (Spinraza) til behandling av barn med SMA type 3b**

### Beslutning:

Beslutningen som er fattet av Beslutningsforum for nye metoder er resultat av en lang prosess og en grundig vurdering av de menneskelige konsekvenser som følger både av beslutning om innføring så vel som beslutning om ikke å innføre en metode for utredning, behandling og/eller prosedyre/organisering.

Dersom det tilkommer nye opplysninger (herunder om pasientsikkerhet, kostnadseffektivitet, pris, biotilsvarende medikamenter/generika, overlevelsestall m. m.) som endrer resultatet vesentlig, vil beslutningen kunne vurderes på nytt.

1. Nusinersen (Spinraza) innføres til behandling av voksne pasienter med spinal muskelatrofi (SMA) og barn med SMA type 3b.

#### GRUNNFORUTSETNINGER FOR OPPSTART MED BEHANDLING AV VOKSNE MED SMA

- Før oppstart av behandlingen skal pasienten være godt informert - skriftlig og muntlig - om hvordan effekt av behandlingen vil bli evaluert og hvordan beslutninger om å fortsette med eller seponere behandlingen vil bli gjort, samt at etiske aspekter ved å innlede behandlingen bør være diskutert.
- Det skal gjøres klinisk vurdering ved hjelp av utvalgte validerte motoriske skåringsverktøy utført av fysioterapeut, samt PROMS (patient reported outcome measures) ved baseline, hver 6. mnd. eller ved administrering av legemiddel første 2 år, og deretter årlig. Alle som får intratekal behandling bør få utført baseline MR nevroakse.
- Ved oppstart og videre i forløpet skal viktige data registreres i Norsk register for arvelige og medfødte nevrologiske sykdommer (NORNMD). Det gjennomføres og registreres en baseline måling av motorisk funksjon og pustefunksjon av pasienten.
- Den nasjonale faggruppen<sup>1</sup> skal følge opp at tilbudet er likeverdig tilgjengelig i hele landet. Den skal også vurdere de enkelte pasientene opp mot start-/stoppkriterier, og all oppstart av behandling hos voksne skal godkjennes i den

---

<sup>1</sup> Det er allerede etablert en nasjonal faggruppe i forbindelse med behandling til barn, som består av barnenevrolog og nevrolog fra hvert av de fire regionene, samt en barnelungelege og anestesilege. I tillegg bør det i forbindelse med behandling av voksne oppnevnes en lungelege, samt en voksenalderfysioterapeut og barnefysioterapeut, og ved behov vil det kunne være aktuelt med konsulterende medisinsk etiker. Den nasjonale faggruppen må oppnevnes på helseforetaksnivå.

nasjonale faggruppen. Faggruppen skal årlig vurdere og ta stilling til hver enkelt pasients behandlingseffekt, om indikasjon for videre behandling er tilstede eller om behandlingen skal stoppes. I vanskelige saker eller ved tvilstilfeller kan det være behov for å ta saken opp i klinisk etisk komite ved Oslo universitetssykehus (OUS).

- Oppstart av behandling skal gjøres på regionsykehusnivå, dvs. Universitetssykehuset i Nord-Norge, St. Olavs Hospital, Helse Bergen-Haukeland universitetssykehus eller Oslo universitetssykehus. Før man kan starte opp behandlingen må de aktuelle regionale fagteamene (inkludert nevrolog/fysioterapeut/lungelege) ha fått nødvendig opplæring. Ved oppstart av behandling bør man i utgangspunktet behandle minimum 1 år for vurdering av effekt. Behandling og oppfølging kan etter hvert gjøres på andre sykehus med etablert kompetanse, men det skal gjøres årlige vurderinger på regionsykehusnivå da effekten av behandlingen skal evalueres årlig. Hvis det er spørsmål om tilstanden forverres, skal beslutning om videre behandling tas i samråd med nasjonal faggruppe.
- Kriterier for behandlingsstart og ved vurdering av behandlingsstopp skal følges, slik det fremgår under:

#### START/STOPP-KRITERIER VED BEHANDLING AV VOKSNE MED SMA

### Kriterier for behandlingsstart

#### 1. Absolutte

##### a. Diagnose

- i. Genetisk verifisert 5q SMA
- ii. SMA type 2 og 3
- iii. Antall SMN2 kopier: 2-4

##### b. Funksjon

- i. Pasient-, fysio- og/el lege-rapportert progresjon av sykdom i form av funksjonsreduksjon ila siste 3 år, og
- ii. Gjenværende motorisk funksjon som kan forventes bedret/bevart og som er betydningsfull for pasientens selvstendighet, må være til stede

##### c. Ikke graviditet

#### 2. Relative

a. Respirasjon – Ikke signifikant respirasjonssvikt som for eksempel behov for assistert ventilasjon/NIV mer enn 16 timer/døgn

##### b. Komorbiditet

- i. Ikke sykdom eller skade som gjør at antatt levetid er < 3 år
- ii. Ikke sykdom/skade som gir betydelig redusert funksjonsnivå og som gjør vurdering av effekt vanskelig/umulig

### Behandling vurderes stoppet når

#### 1. Absolutt

- a. Pasient ønsker å slutte
- b. Graviditet el barneønske

## 2. Relative

- a. Diagnostisering av annen progressiv og livsbegrensende sykdom (f.eks. kreft eller alvorlig hjerneskade) som gjør at behandlingen ikke vil gi forventet langtidseffekt
- b. Forventet behandlingseffekt ikke oppnådd, dvs. progresjon av sykdom (stabilitet er tilfredsstillende behandlingseffekt). Progresjon av sykdom dokumentert gjennom
  - i. Motoriske skåringer og/el PROMS (endring i skår skal ikke la seg forklare av annen årsak)
  - ii. Forverring i respirasjonsstatus basert på tid med ventilator (NIV)/døgn, som f.eks. avhengig av respirator/BiPAP mer enn 16 timer/dag 21 dager i strekk uten samtidig infeksjon som antas å påvirke respirasjonen.
- c. Uakseptable bivirkninger el andre medisinske grunner som ikke kan håndteres på annet vis
- d. Manglende compliance på enten legemiddel eller oppfølging

3. Etske aspekter der det ut fra helhetlig vurdering ikke synes riktig å kontinuere behandlingen. Ved kompliserte tilfeller kan det være nødvendig å ta problemstillingen opp i klinisk etisk komite ved OUS.

### BEHANDLING AV SMA TYPE 3B HOS BARN

For behandling av SMA Type 3b hos barn, henvises det til grunnforutsetninger for behandling slik det er definert i forbindelse med tidligere beslutning for ID2017\_001: [Kriterier for behandling med nusinersen Spinraza for barn 0-18 år.pdf \(nyemetoder.no\)](#). Kriterier for pasienter med SMA type 3 foreslås oppdatert til nå å gjelde også type 3b:

- Barn med SMA type 3 kan være aktuelle for behandling etter samme kriterier og samme vurdering som for barn med SMA type 2
2. Beslutningen er knyttet til en alternativ prisavtale, og prisen kan endres i henhold til vilkårene i avtalen.
  3. Behandlingen kan tas i bruk til de aktuelle populasjonene fra 15.05.2023, da prisen kan gjelde fra denne dato.

Oslo 24. april 2023

---

Inger Cathrine Bryne  
Helse Vest RHF

---

Stig A. Slørdahl  
Helse Midt-Norge RHF

---

Terje Rootwelt  
Helse Sør-Øst RHF

---

Marit Lind  
Helse Nord RHF

*Protokollen er elektronisk godkjent og har derfor ikke håndskrevne signaturer.*