

Forslag om nasjonal metodevurdering

Viktig informasjon – se på dette først!

- Innsendte forslag til nasjonale metodevurderinger vil bli publisert i sin helhet. Dersom forslagsstiller mener det er nødvendig informasjon for utfylling av skjemaet som 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 19 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 forslagsstiller kjent med dokumentet «[Veiledende kriterier for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder](#)» (link) (kryss av):

Kontaktinformasjon:

Navn på forslagsstiller (organisasjon/institusjon/foretak/produsent):

Gilead Sciences

Navn på kontaktperson:

Erik Stene

Telefonnummer:

94797210

E-postadresse:

erik.stene@gilead.com

Dato og sted:

11.12.2019

1. Forslagstillers tittel på forslaget:*

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

KTE-X19 (CAR-T) til behandling av mantelcellelymfom for voksne med tilbakefall eller refraktær sykdom, med høy overlevelse (PFS og OS) for en pasientgruppe med dårlig prognose og få eller ingen behandlingsalternativer.

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

KTE-X19 er en CAR-T celleterapi til behandling av refraktær mantelcellelymfom og/eller mantelcellelymfom med tilbakefall, der behandlingsmålet med nåværende behandling er palliasjon.

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

Ifølge Nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av pasienter med maligne lymfomer, sidene 81-82, benyttes ulike kombinasjoner av kjemoterapi, stråleterapi, HMAS, rituximab og allogene stamcelletransplantasjon. KTE-X19 kan forventes å komme inn som et alternativ for voksne med tilbakefall eller refraktær sykdom.

4. Forslaget gjelder:	Ja	Nei
En helt 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 checked="" type="checkbox"/>
Hvis ja – metode er tatt i bruk innen forskning/utprøving	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
Re-evaluering av metode som er tatt i bruk i klinisk praksis	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
Er metoden relevant for utfasing?	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>

NA

5. Hva omfatter metoden (flere kryss mulig)?

- Legemiddel
- Medisinsk utstyr/IVD medisinsk utstyr som er CE-merket*

*Hvis metoden er CE-merket:

"Klikk her og angi hva metoden er CE-merket som og til hvilket bruksområde."

- Medisinsk utstyr/IVD medisinsk utstyr som ikke er CE-merket
- Prosedyre
- Screening
- Høyspesialiserte tjenester/nasjonale tilbud
- Organisatorisk oppsett av helsetjenesten

Annet (beskriv)



Kite/Gilead har utviklet legemidlet.

6. Metodens bruksområde:

- Forebygging
- Utredning og diagnostikk
- Behandling
- Rehabilitering
- Spesialisthelsetjenesten
- Primærhelsetjenesten

Høyspesialisert behandling i sykehus, ref. tidligere vurderinger av CAR-T.

7. Finansieringsansvar

Ja Nei

- Har spesialisthelsetjenesten et finansieringsansvar for metoden i dag?
- Vil spesialisthelsetjenesten kunne få finansieringsansvar for metoden?

Denne kreftbehandlingen ligger under spesialisthelsetjenestens finansieringsansvar.

8. Er metoden omtalt i nasjonale faglige retningslinjer eller handlingsprogrammer utarbeidet av Helsedirektoratet?

Ja Nei

Ny metode

9. Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)?

Ja Nei

Nei

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

Onkologi/lymfom

11. Hvilke aspekter er relevante for vurderingen? (flere kryss mulig)

- Klinisk effekt
- Sikkerhet/bivirkninger
- Kostnader/ressursbruk
- Kostnadseffektivitet
- Organisatoriske konsekvenser
- Etiske
- Juridiske

12. Foreslå hva som bør være hovedproblemstilling(er) for metodevurderingen, samt eventuelle underproblemstillinger (i samsvar med pkt. 10). For deg som er kjent med «PICO (Patient, Intervention, Comparator, Outcome) -begrepet»- inkluder gjerne tentativt forslag til PICO.

I henhold til retningslinjene skal det utføres en helseøkonomisk vurdering av CAR-T, på samme måte som har vært gjort for Yescarta og Kymriah (CAR-T med markedsføringstillatelse), inkludert vurdering av effekt, sikkerhet, helseøkonomi og budsjettmessige konsekvenser.

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

Ny behandlingsmetode for voksne mantelcellelymfompasienter med tilbakefall eller som er refraktære og der dagens behandling er palliativ med kort forventet gjenstående levetid, der denne metoden har stor forventet mernytteverdi for pasientene som er berørt. Overlevelse for disse pasientene er blant de laveste for de ulike Non-Hodgkins lymfom subtypene, med en femårsoverlevelse på ca. 30-60%. De fleste pasientene får tilbakefall både etter første- og andrelinjebehandling.

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

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

Alvorlighetsgrad for de aktuelle pasientenes sykdomstilstand er høy, med kort forventet gjenstående levetid for pasienter med refraktær MCL og/eller pasienter med tilbakefall, derigjennom stort potensiale for forlenget livslengde og forbedret livskvalitet.

Forventet effekt

Data fra studien ZUMA-2 ble publisert på ASH 7.-10. desember 2019 og kan sees her: <https://www.gilead.com/news-and-press/press-room/press-releases/2019/12/kite-presents-positive-results-from-pivotal-zuma-2-trial-in-relapsed-or-refractory-mantle-cell-lymphoma>. Her heter det følgende: "After a single infusion of KTE-X19, the best objective response via independent radiologic central review (n=60 evaluable for efficacy analysis) was 93 percent, with 67 percent of patients having achieved a complete response."

Sikkerhet

Cytokine release syndrome og neurologiske hendelser, ref. ovenstående nevnte pressemelding.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

3-5 i Norge anslagsvis, ut fra ovennevnte norske lymfomretningslinjer.

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Vil kunne være noe økt ressursbruk samlet sett, avhengig av komparator, men samlet sett likevel beskjedent siden pasientpopulasjonen er lav.

Behov for revisjon av eksisterende nasjonale faglige retningslinjer, evt. utarbeidelse av nye

Ja, retningslinjene bør revideres, spesielt hvis det besluttet å ta i bruk KTE-X19

15. Oppgi referanser til dokumentasjon om metodens effekt og sikkerhet (eks. tidligere metodevurderinger). (Inntil 10 sentrale referanser oppgis. Ikke send vedlegg på dette trinnet i prosessen.)

<https://www.gilead.com/news-and-press/press-room/press-releases/2019/12/kite-presents-positive-results-from-pivotal-zuma-2-trial-in-relapsed-or-refractory-mantle-cell-lymphoma>

Det er under utarbeidelse et studium som har som mål å dokumentere hvordan det går med pasientene under dagens standardbehandling, i tillegg til en indirekte sammenligning på basis av publisert informasjon.

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

Kite, a Gilead company & Gilead Sciences

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

Forventet markedsføringstillatelse for KTE-X19 EU anslås nå til oktober 2020, og da forventningsvis november 2020 for Norge.

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

<https://www.gilead.com/news-and-press/press-room/press-releases/2019/12/kite-presents-positive-results-from-pivotal-zuma-2-trial-in-relapsed-or-refractory-mantle-cell-lymphoma>

https://www.helsedirektoratet.no/retningslinjer/lymfekreft-handlingsprogram/Maligne%20lymfomer%20%E2%80%93%20Nasjonalt%20handlingsprogram%20med%20retningslinjer%20for%20diagnostikk,%20behandling%20og%20oppf%C3%B8lgning.pdf/_attachment/inline/f6bd4849-1599-4b14-ad65-e1b0e2fa4ba9:998b557284fd4f32668946fec550784aa9c03191/Maligne%20lymfomer%20%E2%80%93%20Nasjonalt%20handlingsprogram%20med%20retningslinjer%20for%20diagnostikk,%20behandling%20og%20oppf%C3%B8lgning.pdf

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02601313>

19. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv forslagstillers 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 tilslutning til eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.)

Forslagsstiller representerer Kite/Gilead Sciences og har økonomiske interesser i saken