

Forslag til nasjonal metodevurdering

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):

Kontaktinformasjon:

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

Nasjonalt kompetansesenter for porfyrisykdommer (NAPOS)

Navn på kontaktperson:

Aasne Karine Aarsand, overlege, NAPOS
Linda Gilleshammer, farmasøyt, NAPOS

Telefonnummer:

55973170

E-postadresse:

Porfyri@helse-bergen.no

Sted og dato:

Bergen, 09.05.2016

1. Tittel på bestillingen:

Scenesse (afamelanotide) til behandling av voksne pasienter med erytropoietisk protoporfyri (EPP).

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Scenesse er et legemiddel til bruk som profylakse mot fototoksitet hos voksne med EPP. Det administreres i form av en subkutan implantasjon hver 2. måned i forbindelse med eksponering av sollys. Det er aktuelt med 3 (evt 4) implantater per år.

- 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?)

Det finnes ingen medisinsk behandling til denne pasientgruppen med god dokumentert effekt. Det finnes et annet legemiddel (betakaroten) for tilsvarende indikasjon, men dette brukes svært lite pga manglende effekt. Eneste behandlingsmulighet i dag er å unngå/begrense lyseksponering av huden. Pasienter med EPP reagerer også på lys gjennom vindusglass og må derfor også beskytte seg i bil, i oppholdsrom med mye lys/vinduer etc. Pga manglende behandlingsmuligheter gir EPP i dag store begrensninger i dagliglivet og ofte betydelig nedsatt livskvalitet som følge av dette.

- | 4. Hva gjelder forslaget? | Ja | Nei |
|---|-------------------------------------|-------------------------------------|
| En helt ny 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 checked="" type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Hvis ja – metode tatt i bruk i klinisk praksis? | <input checked="" type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Hvis ja – metode tatt i bruk innen forskning/utprøving? | <input checked="" type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |

Legemiddelet fikk markedsføringstillatelse i desember 2014 på betingelse av at alle pasienter som skal behandles inngår i en oppfølgingsstudie (PASS-studie) med tanke på sikkerhet av legemiddelet, samt at de deltar i et europeisk register over EPP pasienter. Flere europeiske land tatt middelet i bruk/ er i prosess med å ta det i bruk.

- 5. Hva omfatter metoden** (flere kryss mulig)?

- | | |
|---|-------------------------------------|
| Legemiddel | <input checked="" type="checkbox"/> |
| Medisinsk utstyr/teknologi | <input type="checkbox"/> |
| Prosedyre | <input type="checkbox"/> |
| Screening | <input type="checkbox"/> |
| Høyspesialiserte tjenester/nasjonale tilbud | <input type="checkbox"/> |
| Organisatorisk oppsett av helsetjenesten | <input type="checkbox"/> |
| Annet (beskriv) | <input type="checkbox"/> |

- 6. Metodens bruksområde:**

- | | |
|--------------------------|-------------------------------------|
| Forebygging | <input checked="" type="checkbox"/> |
| Utredning og diagnostikk | <input type="checkbox"/> |

Behandling
Rehabilitering

Spesialisthelsetjenesten
Primærhelsetjenesten

Øke hudens toleranse for sollys og forebygge skade i forbindelse med soleksponering.

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

(Kort beskrivelse av type strålekilde, utstyr og stråleeksponering.)

"Klikk her og beskriv"

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

Scenesse skal brukes til pasienter med EPP. Behandling og oppfølging kan bare gis av spesialister tilhørende et porfyriserter som har gjennomgått opplæring og godkjenning av legemiddelprodusenten Clinuvel.

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

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

10. Foreslå hva som bør være hovedproblemstilling(er) for metodevurderingen, samt eventuelle underproblemstillinger (i samsvar med pkt. 8):

Kostnader og effekt av behandlingen. Skal Scenese tilbys til norske EPP pasienter?

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

Scenese er et nytt legemiddel til en sjelden sykdom der det ikke finnes gode behandlingsalternativer.

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

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

EPP er en livslang lidelse som gir en invalidiserende intoleranse for lys. Graden av lysømfintlighet er individuell, men for mange gir den svært redusert mulighet til å oppholde seg på steder med direkte sollys (både utendørs og innendørs) og dermed store begrensinger i dagliglivet og nedsatt livskvalitet.

Forventet effekt

Bruk av Scenese gir en økt melanocyttpigmentering av huden og virker beskyttende mot lys. Det er forventet at pasientene vil få økt evne til å eksponere seg for lys, og dermed betydelig økt livskvalitet.

Sikkerhet (beskriv kort opplysninger om kjente risikoforhold, sikkerhetsaspekter og bivirkninger)

Rapporterte bivirkninger inkluderer kvalme, hodepine samt reaksjon på implantasjonsstedet. Informasjon om langtidseffekter er begrenset.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Ca. 30 pasienter.

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Økonomi. Utgifter til legemiddel-, administrasjon og oppfølging av pasientene i henhold til PASS-studie-protokoll. Behandlingen kan kun administreres av spesialister tilknyttet et porfyriserer som er gitt opplæring av produsenten. I Norge vil det aktuelle porfyrisereret være Nasjonalt kompetansesenter for porfyrissykdommer (NAPOS) ved Haukeland universitetssykehus. NAPOS er en rådgivende tjeneste, slik at behandlingen må bli gitt av spesialister ved relevante kliniske avdelinger på Haukeland universitetssykehus, i samarbeid med NAPOS.

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

EPP er en sjelden sykdom og det finnes ingen nasjonal faglig retningslinje. NAPOS har en rådgivningsfunksjon og har utviklet retningslinjer for oppfølging ved EPP.

- 13. 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.)

SmPC (Scenese)

Langendonk JG, Balwani M. m.fl. Afamelanotide for Erythropoietic Protoporphyrria. N Engl J Med. 2015 Jul 2;373(1):48-59.

Kim ES, Garnock-Jones KP. Afamelanotide: A Review in Erythropoietic Protoporphyrria. Am J Clin Dermatol. 2016 Apr;17(2):179-85.

Biolcati G, Marchesini E, Long-term observational study of afamelanotide in 115 patients with erythropoietic protoporphyria. Br J Dermatol. 2015 Jun;172(6):1601-12.

Expert Rev Clin Pharmacol. 2015 Jan;8(1):43-53. Minder EI, Schneider-Yin X. Afamelanotide (CUV1647) in dermal phototoxicity of erythropoietic protoporphyria.

- 14. Oppgi navn på produsenter/leverandører vedrørende metoden (dersom aktuelt/tilgjengelig):**

Clinuvel

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

Scenese fikk markedsføringstillatelse i desember 2014.

- 16. Fritekstrubrikk** (Supplerende relevant informasjon, inntil 300 ord.)

"Klikk her og skriv"