



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/produsent):

Amena Shamim Younis

Navn på kontaktperson:

Amena Shamim Younis

Telefonnummer:

(0047) 924 01 532

E-postadresse:

Amina.younis1@gmail.com

Sted og dato:

25 januar 2017

1. Tittel på bestillingen:

MYELOMATOSE : Kombinasjons-behandling Daratumumab + Velcade + Dexamentason



2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Immunpreparatet Daratumumab er i dag under evaluering og godkjenning som mono-terapi i Norge. Store fase 3 studier i utlandet har vist solide resultater hvis medikamentet kombineres med Revlimid og Dexametason. Metoden er allerede godkjent i USA og under prosess for evt. godkjenning i EU.

Som mono-terapi har Daratumumab respons på ca 1/3-del av pasientene. Men i den nevnte kombinasjonen viser studier en responsrate som ikke er sett tidligere for noen behandling for sykdommen myelomatose, og som langt overgår responsen man ser som mono-terapi. Responsraten og antall komplette remisjoner overgår også dagens kjente behandlingsregimer betydelig.

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?)

Førstelinije for myelomatose i dag er allogene stamcelletransplantasjon for pasienter under 65 år. Annenlinje er normalt Revlimid + Dex, alternativt Valcade.

I dette forslag foreslås den nevnte Daratumumab-kombinasjonen som annenlinje-behandling, noe som for øvrig også er godkjent av FDA i USA. Forslagsstiller ber om at den subsidiært vurderes som tredjelinije-behandling. Skal man ha full nytte av kombinasjonen, bør denne gis før pasienten blir immun mot Revlimid som er et av medikamentene i den innmeldte kombinasjon.

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 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"/>

Enkelte pasienter i Norge får i dag, eller har allerede fått denne behandlingen ved norske sykehus. I USA er metoden godkjent som annen-linjebehandling mot myelomatose og i bruk. Godkjenning prosess pågår for tiden i EU.

5. Hva omfatter metoden (flere kryss mulig)?

Legemiddel	<input checked="" type="checkbox"/>
Medisinsk utstyr/teknologi	<input type="checkbox"/>
Prosedyre	<input type="checkbox"/>

- Screening
- Høyspesialiserte tjenester/nasjonale tilbud
- Organisatorisk oppsett av helsetjenesten
- Annet (beskriv)

Dette er en kjent behandling .

6. Metodens bruksområde:

- Forebygging
- Utredning og diagnostikk
- Behandling
- Rehabilitering

- Spesialisthelsetjenesten
- Primærhelsetjenesten

Metoden bør vurderes som allmen bruk for myelomatose, ved norske offentlige sykehus

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

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

Ikke relevant problemstilling

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

Metoden vil berøre onkologi- og hematologi-avdelinger ved norske sykehus. Alle pasienter med myelomatose i Norge er aktuelle å vurdere som kandidater for metoden.

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

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

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

Det foreslås at man spesielt observerer den betydelige økte responsraten denne metoden har i forhold til de metoder som benyttes i dag. Videre ser man en betydelig økning i antall komplette remisjoner i forhold til dagens metoder. Nylig fremlagte tall viser at PFS (progressjonsfri overlevelse) samt OS øker i de seneste studier.

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

Kombinasjonen som foreslås er av ledende hematologer og onkologer uttalt å være et av de største gjennombrudd noensinne i behandlingen av myelomatose. Behandlingen hadde «breakthrough status» av amerikanske helsemyndigheter før den ble endelig godkjent og flyttet helt frem som annen-linjebehandling.

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

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

Uhelbredelig kreft

Forventet effekt

Betydelig økning av PFS samt betydelig økt forventet levetid (OS).

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

Det er forslagstiller bekjent ikke avdekket alvorlige, livstruende bivirkninger i de studier som er publisert og som forslagstiller er kjent med.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Ca 400 – 500 pr år

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Utover medikament-kostnaden, anslås det at bruk av kombinasjonen kan innføres med dagens bemanning og kapasitet ved norske sykehus.

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

I første omgang ikke behov for revisjon. Kan innføres som alternativ annen-linje-behandling

- 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.)

Siden det ikke bes om vedlegg på dette punkt, begrenser forslagstiller seg på dette tidspunkt i prosessen til å legge ved lenke til USA's helsemyndigheters godkjenning hvor all informasjon og effekt og sikkerhet fremgår. I vedlagte dokument er all nødvendig referanse-materiell. All den tid behandlingen allerede er godkjent i USA og i prosess i EU, er metodens effekt og sikkerhet allerede veldokumentert.

Lenke:

<http://www.fda.gov/Drugs/InformationOnDrugs/ApprovedDrugs/ucm530249.htm>

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

GenMab, Danmark

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

Det foreligger allerede søknad til Helsedirektoratet for Daratumumab som mono-terapi

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

Grunnet metodens dokumenterte effekt, samt dens mange fortrinn og gode responsrate sett i forhold til dagens behandlingsregimer, bes det om hurtigbehandling av denne søknad. Myelomatose er en uhelbredelig sykdom, og mange pasienter i Norge har behov for denne behandlingen hurtig. Behandlingen er internasjonalt akseptert som et stort gjennombrudd i behandlingen av myelomatose.