

Forslag om nasjonal metodevurdering

Viktig informasjon – se på dette først og husk å krysse av!

- Innsendte forslag til nasjonale metodevurderinger vil bli publisert i sin helhet. Har du informasjon du mener 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 18 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 forlagsstiller kjent med dokumentet [Veiledende kriterier for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder](#) (link) (kryss av):

Opplysninger om forlagsstiller

Navn/kontaktperson	Eivind Jørgensen
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Oecona AS
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	Eivind@oecona.no / 969 06 294
Dato for innsending av forslag	24.09.2021

Opplysninger om metoden som foreslås

1. Forslagstillers tittel på forslaget:*

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

Ravulizumab til behandling av paroksysmal nattlig hemoglobinuri (PNH)

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Ravulizumab er et monoklonalt antistoff som binder til det terminale komplementprotein C5. Ved å binde C5 forhindres kløying til pro-inflammatoriske komponenter og komplementmediert ødeleggelse av røde blodceller (hemolyse). Legemiddelet administreres i.v. som injeksjon hver 8. uke.

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

Ravulizumab og Eculizumab er begge legemidler som er godkjent til behandling av PNH. Det er begge C5-hemmere, og Ravulizumab er utviklet med utgangspunkt i Eculizumab. Ravulizumab har en halveringstid som er fire ganger så lang som Eculizumab. Eculizumab skal administreres hver annen uke, mens Ravulizumab kun skal administreres hver annen måned. Dette har betydning både for pasientenes livskvalitet og for kostnaden ved behandling av sykdommen.

PNH-pasienter som begynte behandling med Eculizumab før finansieringen ble overført til regionale helseforetak, får legemiddelet dekket over Folketrygdens budsjett så lenge det er medisinsk indikasjon for det. De årlig behandlingskostnad med Ravulizumab for denne pasientgruppen er tilsvarende som for Eculizumab.

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

Hovedproblemstilling vil være å evaluere i hvilken grad overgang fra Eculizumab til Ravulizumab kan realisere økt pasientvelferd.

*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 tiltak det er naturlig å sammenligne med, og hvilke utfall/endepunkter det er relevant å måle/vurdere. PICO er viktig for planlegging og gjennomføring av en metodevurdering.

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

I dag brukes C5-hemmeren Eculizumab

6. Forslaget gjelder:	Ja	Nei
En metode som er aktuell for spesialisthelsetjenesten	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
En 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 checked="" type="checkbox"/>	<input 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 type="checkbox"/>
Hvis ja – metode er tatt i bruk innen forskning/utprøving	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Revurdering/utfasing av en metode som er tatt i bruk i klinisk praksis	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Eventuelle kommentarer til bruken av metoden:

7. Hva omfatter metoden som foreslås (flere kryss mulig)?

Legemiddel

Medisinsk utstyr som er CE-merket*

*Angi klassifisering og bruksområde:

Medisinsk utstyr som ikke er CE-merket

Prosedyre

Screening

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

8. Finansieringsansvar Ja Nei
- Har spesialisthelsetjenesten et finansieringsansvar for metoden i dag?
- Vil spesialisthelsetjenesten kunne få finansieringsansvar for metoden?

Eventuelle kommentarer:

9. Er metoden omtalt i nasjonale faglige retningslinjer eller handlingsprogrammer utarbeidet av Helsedirektoratet? Ja Nei
-

Angi eventuelt hvilke og kommenter eventuelt behov for endringer:

10. Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)? Ja Nei
-

Angi eventuelt type strålekilde, utstyr og stråleeksponering:

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

Hematologi. Metoden gjelder pasienter med PNH.

12. Hvilke aspekter er relevante for metodevurderingen? (flere kryss mulig)

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

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

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

PNH er en svært alvorlig tilstand.

Før en C5-hemmer var tilgjengelig, mottok pasienter med PNH bare symptomlindrende behandling. Den gang døde opptil 35% av pasientene med PNH innen 5 år etter diagnosen. Etter introduksjonen av Soliris forbedret dødeligheten hos behandlede pasienter dramatisk og nådde $\leq 8\%$.

Den eneste kurative behandlingen er allogene stamcelletransplantasjon. Dette er en behandling assosiert med betydelige grad av morbiditet og mortalitet.

Forventet effekt

Sammenlignet med dagens behandling som er Eculizumab, må legemidlene antas å ha samme kliniske verdi. Utover dette vil forskjellene i administrasjonshyppighet føre til bedre pasientvelferd, og behandlingsteknadene forbundet med administrasjon av legemiddelet vil bli lavere. Det fremgår av FK-teksten at legemiddelet må gis av helsepersonell, under veiledning av lege med erfaring med behandling av pasienter med hematologiske, renale, nevrologiske eller nevroinflammatoriske sykdommer, men at hjemmebasert infusjon kan vurderes hos pasienter som har tålt infusjoner godt på sykehus.

Sikkerhet og bivirkninger

Ravulizumab har en tilsvarende sikkerhetsprofil som Eculizumab som er i bruk i dag.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Det antas at Eculizumab brukes av 10 pasienter med PNH i dag. Det antas at disse for disse pasientene vil Eculizumab bli erstattet av Ravulizumab.

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

For denne pasientgruppen vil skifte fra Eculizumab til Ravulizumab først og fremst ha betydning for pasientvelferd. Når det gjelder ressursbruk, vil det medgå færre ressurser til administrasjon av legemiddelet.

14. Oppgi referanser til dokumentasjon om metodens effekt og sikkerhet (eks. tidligere metodevurderinger). (Inntil 10 sentrale referanser oppgis. Ikke send vedlegg nå.)

Lee, W. et al. 2019, *Ravulizumab (ALXN1210) vs eculizumab in adult patients with PNH naive to complement inhibitors: the 301 study*. Blood. 2019;133(6):530-539

Kulasekararaj AG et al. 2019, *Ravulizumab (ALXN1210) vs eculizumab in C5-inhibitor-experienced adult patients with PNH: the 302 study*. Blood. 2019;133(6):540-549

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

Alexion

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

MT er på plass, og legemiddelet har blitt markedsført siden mars 2021.

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

Formålet med dette forslaget er at Bestillerforum skal be om en hurtig metodevurdering av type D.

18. 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 forbindelse med, eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.)

Innsender av dette forslaget, er eier av Oecona AS. Dette er et konsulentfirma om utfører metodevurderingsrapporter for innsendelse til Legemiddelverket på vegne av kunder i Legemiddelbransjen. Forslaget sendes inn i forståelse med Alexion. Dersom Bestillerforum beslutter å bestille en metodevurdering av type D, er det Oecona AS som skal utarbeide metodevurderingsdokumentet som et betalt oppdrag på vegne av Alexion.