

Innspillskjema for legemidler

Opplysninger fra leverandør / produsent

Leverandøren/produsenten har anledning til å komme med tilleggsopplysninger til en metode (forslag/metodevarsel) som er foreslått for nasjonal metodevurdering før den behandles av Bestillerforum RHF. Bruk dette skjema for å gi innspill til forslag/metodevarsler på metoder som har status «Forslag mottatt/åpent for innspill». Det er frivillig å fylle ut skjemaet.

Innsendte skjema vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no. Dersom det er nødvendig informasjon for utfylling av skjemaet som ikke kan offentliggjøres ta kontakt med sekretariatet [før innsending](#).

Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (kryss av):

Jeg har fylt ut siste punktet «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):

Hvilken metode gjelder det	
Metodens ID nummer*:	ID2019_046
Metodens tittel:	Zynteglo

*ID2016_XX

Navn på leverandør / produsent:	bluebird bio
Organisasjonsnummer:	
Vi er leverandør av følgende legemiddel på det norske markedet:	-
Kontaktperson med kontaktinformasjon:	Sara Ohrman

Foreligger det Markedsføringstillatelse i Norge? Nei
I så fall: Tidspunkt for Markedsføringstillatelse: Godkjent indikasjon:

Er legemidlet i bruk i Norge i dag? Nei
Hvis legemidlet er i bruk: Fra hvilket tidspunkt har det vært i bruk: Nevn eventuelt(le) sted(er) det er i bruk:

Er legemidlet omtalt eller anbefalt i for eksempel nasjonale retningslinjer? Nei
I så fall beskriv:

Kjenner dere til om det er flere leverandører av legemidlet? Nei, endast bluebird bio
I så fall hvilke(n):

Eventuelle innspill til hoved-/ underproblemstilling i forslaget/metodevarslet?

Finnes alternativer til legemidlet som er foreslått (dere er ansvarlig for)?
I så fall beskriv kortfattet: Transfusjonsberoende betatalassemi behandles med blodtransfusjoner. Transfusjonsbehandling er forbundet med jernopphopning. Siden kroppen ikke har noen utskillelsesmekanisme for jern, vil regelmessige transfusjoner medføre oppbygging av et jernoverskudd som kan føre til organskade. Jernoverskudd må derfor fjernes med jernchelerende behandling.

Øvrige kommentarer
Zynteglo är en avancerad behandling där patientens egna blodstamceller tas ut, modifieras gentiskt och sätts in igen. Behandlingen kommer därför endast att ges pa specialutbildade och ackrediterade kliniker. I Europa är beta-talassemi mest förekommande i Medelhavsländerna. I Norge uppskattar vi att det finns mycket få thalassemi-patienter inom indikationen; behandling av patienter 12 år och äldre med transfusionsberoende β -talassemi (TDT) som inte har en β^0/β^0 -genotyp, för vilka hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT) är lämplig men en human-leukocytantigen (HLA)-matchad besläktad donator inte är tillgänglig. bluebird bio är ett litet företag som fokuserar på att sätta upp behandling på ett mindre antal kvalificerade kliniker i Europa, där majoriteten av patienterna med transfusionsberoende beta-talassemi lever. Mot bakgrund av den låga prevalensen av transfusionsberoende β -talassemi i Norden har vi inte för avsikt att inrätta ett behandlingscenter för Zynteglo i Norge. För de norska patienter som har ett medicinskt behov av behandling med Zynteglo finns det möjlighet att söka behandling enligt <i>Rett til behandling i utlandet ved kompetansemangel i Norge</i> i Sverige där behandlingen planeras finnas tillgänglig för nordiska patienter.

Ønsker dere å bidra med dokumentasjon som etterspørres dersom Bestillerforum RHF beslutter at det skal gjennomføres en metodevurdering på bakgrunn av forslaget/metodevarsel?

Interesser og eventuelle interessekonflikter -til den leverandør/produzent som sender inn dette innspill Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som foreslås metodevurdert. (Eksempel: Økonomiske interesser i saken.)
Beskriv kortfattet: -

Sted, dato Zurich, 11 april

Firmanavn blebird bio

_____ Sara Ohrman

Navn