

## Nye metoder: Innspill til metoder (forslag/metodevarsler/oppdrag)

Alle har anledning til å komme med tilleggsopplysninger til en metode som er foreslått for nasjonal metodevurdering. Det er ønskelig at innspill kommer inn så tidlig som mulig i prosessen, fortrinnsvis før behandling i Bestillerforum RHF.

Bruk dette skjemaet for å gi innspill til forslag, metodevarsler og oppdrag. På nyemetoder.no vil nye forslag/metodevarsler ha statusen «Forslag mottatt/åpent for innspill» før behandling i Bestillerforum RHF. Utfylt skjema sendes [nyemetoder@helse-sorost.no](mailto:nyemetoder@helse-sorost.no).

**NB: Punkt 1-3 og 11 fylles ut av alle.** Punkt 4-9 fylles ut avhengig av rolle og kjennskap til metoden.

Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på [nyemetoder.no](http://nyemetoder.no) (kryss av):

Har du informasjon du mener ikke kan offentliggjøres, ta kontakt med sekretariatet før innsending.

Jeg har fylt ut punkt 11 nedenfor «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):

<b>1.Hvilken metode gjelder innspillet?</b>	
Metodens ID nummer*:	<a href="#">ID2021_043</a>
Metodens tittel:	Avalglucosidase alfa til langsiktig enzymerstatningsterapi ved Pompes sykdom.

\*ID-nummer finner du på metodesiden på [nyemetoder.no](http://nyemetoder.no) og har formen ID2020\_XXX

<b>2. Opplysninger om den som gir innspill</b>	
Navn	Thomas Hansen
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Sanofi Aventis Norge
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	Thomas.hansen@sanofi.com

<b>3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)</b>
<p>Sanofi benytter seg med dette av muligheten til å komme med innspill angående metodevarsel for Avalglucosidase alfa.</p> <p>Sanofi har forståelse for at man må følge prioriteringsforskriften, og at det slik sett er vanskelig å gjennomføre en sammenligning mot et produkt som ikke er blitt vurdert etter dagens forskrift. Når dette er sagt, er det viktig å sette denne saken i sammenheng. I vårt innspill til metodevarsel av 21. desember 2020, mener vi at komparator bør være alglucosidase alfa (Myozyme) ettersom dette produktet er det eneste på markedet mot Pompe sykdom.</p>

Myozyme har vært på markedet i Norge siden 2006, og i dag er det 5 pasienter som får produktet.

Ettersom den aktuelle populasjonen er svært begrenset, og dokumentasjonsgrunnlaget for å kunne gjennomføre en fullgod cost utility modellering (CUA) er mangelfull, anser Sanofi at en vurdering av pris og effekt opp mot dagens behandling (Myozyme) er rimelig. Dette er også bakgrunnen for at vi ønsker å tilby en minst like god behandling med samme pris som Myozyme. Et slik forenklet metodeløp vil, naturlig nok, medføre en lavere ressursbruk både for saksbehandlere og for oss. Å gjennomføre en full CUA for 5 pasienter vil innebære en stor grad av usikkerhet til resultatet. I tillegg vil en slik prosess medføre en betydelig forsinkelse uten at myndighetene, etter vårt syn, vil oppnå et bedre beslutningsgrunnlag. Med lik pris som dagens behandling vil en kunne oppnå en minst like god behandling uten at dette vil medføre noen budsjettmessige konsekvenser.

Sanofi håper at Bestillerforum ser det uforholdsmessige i denne saken og omgjør bestillingen til en forenklet vurdering.

**Nærmere informasjon om metoden og innspill til PICO\***

\*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 å er relevant å måle/vurdere. PICO er viktig for planlegging og gjennomføring av en metodevurdering.

**4. Kjenner du til om metoden er i bruk i Norge i dag?**

Er metoden i bruk utenom kliniske studier i dag:  
 Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk:  
 Hvor er eventuelt metoden i bruk:

**5. Hvilken pasientgruppe i den norske spesialisthelsetjenesten er metoden aktuell for? (PICO)**

Beskriv kortfattet: Samme pasientgruppe som i dag får Myozyme. Avalglucosidase alfa vil dermed erstatte Myozyme

**6. Er du kjent med behandlingsalternativer til denne metoden og hvordan disse fungerer for pasientgruppen i dag? (PICQ)**

Beskriv kortfattet: I dag brukes Myozyme til behandling av Pompe sykdom i Norge

**7. Har du innspill til hva som vil være viktig for pasienter som er aktuelle for behandling med metoden? (PICQ)**

Hva kan oppfattes som en fordel for pasienter og brukere med denne metoden sammenlignet med aktuelle alternativer? Hvilke endepunkter/resultater av behandlingen er det aktuelt å måle? Beskriv kortfattet:

**8. Spesielt for medisinsk utstyr (besvares av leverandør): CE-merking**

Foreligger det CE-merking for bruksområdet som beskrives i metoden? I så fall angi type og tidspunkt:

**9. Spesielt for legemidler (besvares av leverandør): Markedsføringstillatelse (MT)**

Har legemiddelet MT for indikasjonen som omfattes av metoden? Angi i så fall tidspunkt eller ventet tidspunkt for MT:

**10. Andre kommentarer**

**11. Interesser og eventuelle interessekonflikter**

Beskriv dine relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Beskriv kortfattet: