

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.

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 (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):

1.Hvilken metode gjelder innspillet?	
Metodens ID nummer*:	ID2022_100
Metodens tittel:	Lanadelumab (Takhzyro) - Revurdering Behandling av arvet arvefølsomt angioødem

*ID-nummer finner du på metodesiden på nyemetoder.no og har formen ID2020_XXX

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Henrik B. Boysen, formann Trine Dahl-Johansen, styremedlem Norge Ann Helen Hellevik, styremedlem Norge
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	HAE Scandinavia
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	hbb@haescan.org / +45 31 591 591 tdj@haescan.org / 957 95 908 ahh@haescan.org / 909 79 089

3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)
<p>Det bekymrer oss i HAE Scandinavia veldig at det per i dag ikke finnes mer enn ett preparat tilgjengelig for forebyggende behandling av arvet arvefølsomt angioødem (HAE) i Norge, nemlig berotralstat (Orladeyo). Dette til tross for at det dessverre ikke finnes en «one size fits all»-løsning på dette sykdomsområdet. Et standardvalg og en standarddose av et legemiddel er korrekt kun hos en standardpasient, noe HAE-pasienter definitivt ikke er. HAE-pasientene lever med en diagnose som potensielt kan være livstruende om den ikke blir behandlet godt. Ser man på Danmark, Sverige og Tyskland, har alle disse landene også valgt å tilby de to andre moderne forebyggende HAE-behandlingene: Lanadelumab (Takhzyro) og C1-inhibitor konsentrat (Berinert s.c. 2000/3000). Disse to er godkjent for bruk i Norge, men tilbys ikke per i</p>

dag på grunn av pris, til tross for at Sykehusinnkjøp er tilbudt større rabatter på en av dem enn i noe annet land i Europa.

Vi er kjent med at lanadelumab (Takhzyro) i løpet av de siste fire årene gjentatte ganger har blitt avvist av Beslutningsforum. Vi finner det ganske enkelt uansvarlig og direkte farlig for norske HAE-pasienter at nye behandlingsmuligheter ikke tilbys i et av verdens rikeste land, når det dreier seg om en pasientgruppe med en sjelden diagnose som er rammet av stor sykdomsalvorlighet.

For denne pasientgruppen er det viktig å redusere anfallsfrekvensen markant – og aller helst oppnå symptomfrihet. Dette vil være mulig å oppnå med nye forebyggende behandlingsmetoder. HAE Scandinavia opplever at pasienter som starter med forebyggende behandling blir tryggere, de føler frihet, begynner å arbeide igjen, fortsetter/tar opp studier, skaffer seg familie og rapporterer om økt livskvalitet. Antallet sykedager, sykehusinnleggelses og akutttransporter til sykehus blir minimert.

Samtidig vil alle pasientene ha behov for å ha tilgjengelig akutt medisinsk behandling, da anfall kan komme uten forvarsel, og de bør behandles så tidlig som mulig. Dette vil også gjelde de som kun har sporadiske anfall. Anbefalingene fra HAE-spesialistene i Norge er at alle HAE-pasienter skal ha en akuttmedisinsk plan med nødvendig medisin tilgjengelig til enhver tid, i tillegg til eventuell forebyggende behandling.

Likevel vet vi at det er svært individuelt hva som dekker behandlingsbehovet til den enkelte pasient. Medisineringen av denne pasientgruppen kan være utfordrende, da anfallene opptrer svært ulikt fra person til person, også innad i samme familie med samme type HAE. Det er derfor viktig at det finnes tilgjengelig ulike typer HAE-behandlinger, da ikke alle har lik effekt av samme medikamentell behandling. Behovet for flere alternativer er derfor essensielt for at det skal oppnås nedgang i anfallsfrekvens hos hele pasientgruppen. Slik det er per i dag frarøves HAE-pasientene muligheten til individuell vurdering og individuelt tilpasset behandling, da det kun finnes ett alternativ som Beslutningsforum har godkjent for langtidsforebyggende behandling.

Til tross for at det finnes andre HAE-medisiner, de fleste kun godkjent til akutt behandling, er det viktig å påpeke at det er store mangler i behandlingen av HAE-pasienter, blant annet fordi det også er en relativt høy byrde forbundet med noen av de eksisterende, eldre behandlingsmetodene. Det er ikke alle som klarer å administrere behandling intravenøst, og i disse tilfellene må pasientene i hyppig kontakt med helsevesenet for å få hjelp til medisinering. Dette pålegger samfunnet en økt kostnad, i tillegg til at det er en belastning i pasientens hverdagsliv og livsutfoldelse. Vi ser av erfaring fra behandling av pasienter i Danmark og Sverige at muligheten for subkutane behandlingsalternativer gir en klar forbedring i kontrollen av egen diagnose, og reduserer frekvensen av sykefravær og akutte sykehusbesøk.

Samlet sett er den norske pasientgruppen liten, og for oss i HAE Scandinavia er det viktig at pasientene har valgmuligheter når det gjelder medisinsk behandling, slik at de sammen med egen legespesialist kan finne den behandlingskombinasjonen som er best egnet til den enkelte. Man vet aldri når det neste HAE-anfallet kan komme, eller hvor det dukker opp. Om det fore eksempel skulle være et larynxødem kan det gi fatale følger.

Det er derfor svært viktig at denne pasientgruppen har tilgang til flere forebyggende og akutte behandlingsmetoder, slik at behandlingen kan tilpasses den enkeltes livssituasjon.

På vegne av styret i HAE Scandinavia,

Henrik Balle Boysen, formann

Trine Dahl-Johansen, styremedlem for Norge

Ann Helen Hellevik, styremedlem for Norge

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: Den er godkjent for bruk i Norge, men pasientene må i så fall ta kostanden selv, da den ikke har Ok fra Beslutningsforum.
 Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk: SLV gjennomførte hurtig metodevurdering, ferdigstilt 03.01.2020
 Hvor er eventuelt metoden i bruk: Hvor mange som eventuelt betaler for behandlingen selv vet vi ikke.

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

Beskriv kortfattet: Rutinemessig forebygging av residiverende anfall av den sjeldne diagnosen hereditært angioødem (HAE) hos pasienter ≥ 12 år.

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

Beskriv kortfattet: Det finnes kun ett forebyggende alternativ som er med i anbudsordningen per i dag. Da pasientgruppen med HAE er svært sammensatt og ulikt rammet er det ikke alle som har tilfredsstillende effekt av dette medikamentet. Pasientgruppen trenger individuelt tilpasset behandlingmulighet og flere alternativer å velge blant. Se også mer informasjon under innspill i punkt 3

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

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:
 Vi ser av erfaring fra behandling av pasienter i Danmark og Sverige at muligheten for subkutane behandlingsalternativer gir en klar forbedring i kontrollen av egen diagnose, og reduserer frekvensen av sykefravær og akutte sykehusbesøk. Se også innspill under punkt 3. Legemiddelverket skriver i sin hurtige metodevurdering at på grunn av effektdataene fra primærstudiet, fordeler ved subkutan administrasjon og lengre administrasjonsintervall at pasientene vil ha nytte av behandlingen. Se også mer informasjon under innspill i punkt 3

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:

HAE Scandinavia har fått midler til ulike prosjekter fra leverandøren Takeda, noe vi også har fått fra alle de andre leverandørene av HAE-medisiner godkjent i Norge. Midlene er kun prosjektbasert og tidsbegrenset, og er ikke på noen måte knyttet til bindinger eller forventninger om omtale eller promotering av produkter. Vi har ingen økonomiske interesser knyttet til godkjenning og salg av dette produktet. Vi følger de etiske reglene utarbeidet av legemiddelindustrien og pasientorganisasjonene.