

## Innspillskjema forslag/metodevarsler

Alle 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».

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

NB! Leverandører/produsenter bruker spesielle skjemaer for innspill, se [leverandører](#).

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

Jeg har fylt ut punkt 5 nedenfor «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av): **JA**

| 1.Hvilken metode     |                     |
|----------------------|---------------------|
| Metodens ID nummer*: | ID2018_115          |
| Metodens tittel:     | Lomitapid (Lojuxta) |

| 2. Opplysninger om den som gir innspill       |   |
|---|---|
| Fornavn, Etternavn                            | Martin Prøven Bogsrud <sup>1,2</sup><br>Gisle Langslet <sup>1*</sup>  |
| Eventuell organisasjon/arbeidsplass           | <sup>1</sup> Nasjonal kompetansetjeneste for familiær hyperkolesterolemi / Lipidklinikken, Avd. endokrinologi, sykelig overvekt og forebyggende medisin, Oslo Universitetssykehus Rikshospitalet<br><sup>2</sup> Enhet for hjertegenetikk, Avd. med. gen., Oslo Universitetssykehus Ullevål.<br>*Pensjonert fra overlegestilling ved Lipidklinikken, OUS fra 1. sep. 2018, men deltar fortsatt aktivt i forskning og undervisning/kompetansespredning |
| Kontaktopplysninger (e-post og/eller telefon) | <a href="mailto:mabogs@ous-hf.no">mabogs@ous-hf.no</a> , 22 11 89 91, 95 94 81 94 (privat mobil)<br><a href="mailto:glangsle@ous-hf.no">glangsle@ous-hf.no</a> 90 14 42 84 (privat mobil)   |

| 3. Har du opplysninger om bruken av metoden i Norge i dag?  | <u>Ja</u> |
|---|-----------|
| Hvis metoden er i bruk: <b>JA</b><br>Fra hvilket tidspunkt har det vært i bruk: <b>2016</b><br>Nevn eventuelt(le) sted(er) den er i bruk: <b>Metoden har kun vært brukt til en og samme pasient i Norge fra 2016 og brukes fortsatt av denne pasienten.</b> |           |

**3. Er du det kjent med behandlingsalternativer til metoden som bør løftes frem?**

I så fall beskriv kortfattet:

-Den svært sjeldne, og alvorlige tilstanden homozygot familiær hyperkolesterolemi (HoFH) skyldes en dobbel genfeil (arvet fra både mor og far) som fører til opphevet eller sterkt nedsatt funksjon av LDL-reseptor på levercellene. LDL-reseptor fjerner LDL-kolesterol fra blodet. Pasientene har typisk ca. 4 ganger så høyt kolesterolnivå som normalt og ubehandlet fører dette til hjerte- og karsykdom og ev. død før 20-års alder. 12 personer er diagnostisert med HoFH i Norge i dag.

Statiner og ezetimibe er alltid grunnbehandling, men er aldri tilstrekkelig til å senke kolesterolet til akseptabelt nivå. Tilleggsbehandling med PCSK9-hemmer (evolokumab) er et alternativ for en undergruppe pasienter som har noe LDL-reseptor restaktivitet.

-Aferesebehandling (LDL fjernes i filter ved dialyselignende teknikk) ved sykehus er standard behandlingsvalg for pasienter hvor PCSK9 hemmer ikke har effekt, eller ikke har tilstrekkelig effekt.

-Lomitapide vil være aktuell som tilleggsbehandling eller alternativ behandling til aferese.

**4. Er metoden aktuell for den norske spesialisthelsetjenesten?**

I så fall beskriv kortfattet:

Ja, for de ytterst få homozygote FH pasienter uten tilstrekkelig LDL-reseptor restfunksjon til å ha effekt av PCSK9-hemmer. Per i dag dreier det seg om opptil nye 6 brukere. Ved å innskrenke kriteriene kan antallet ytterligere begrenses.

Metoden er altså aktuell som en siste-alternativ behandling for en svært begrenset pasientgruppe.

**4. Øvrige kommentarer**

Pga. taushetsplikt er det vanskelig å gi utfyllende kommentarer her med så få pasienter. U.t. gir gjerne supplerende detaljinformasjon, men det må da i så fall innhentes samtykke fra pasienter og/eller unntas fra offentlig publisering. Det er innhentet samtykke til å dele informasjon om den ene pasient som bruker lomitapide per i dag.

**5. Interesser og eventuelle interessekonflikter**

Beskriv dine/deres 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: Du/dere har økonomiske interesser i saken. Du har eller har hatt oppdrag i tilslutning til eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.)

Beskriv kortfattet:

MPB: Har deltatt på et seminar om homozygot FH i Sverige i 2016. Dette seminaret ble arrangert av svensk fagmiljø, men møtet var sponset av Aegerion som på den tiden markedsførte lomitapide i Europa.

GL: Har holdt foredrag og deltatt på seminar om HoFH i Sverige i 2016, arrangert av Aegerion. Har holdt foredrag og deltatt på seminar om HoFH i Sverige i 2018, arrangert av Amryt som nå markedsfører lomitapide i Norge.