

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*:	013 2019
Metodens tittel:	Ataluren (Translarna) til behandling av Duchenne muskeldystrofi hos ikke-ambulatoriske pasienter

*ID2016_XX

Navn på leverandør / produsent:	PTC Therapeutics Sweden AB
Organisasjonsnummer:	559017-0931
Vi er leverandør av følgende legemiddel på det norske markedet:	Translarna (ataluren)
Kontaktperson med kontaktinformasjon:	Peter Blomqvist Medical Science Lead, Nordic and Baltic countries Mob tel +46 729 779 502 Epost: pblomqvist@ptcbio.com PTC Therapeutics Sweden AB Regus Gårda, Fabriksgatan 7, 412 50 Göteborg, Sweden

Foreligger det Markedsføringstillatelse i Norge? Ja/Nei
I så fall: Ja Tidspunkt for Markedsføringstillatelse: 31 Juli 2014 Godkjent indikasjon: Translarna er indisert til behandling av Duchenne muskeldystrofi som et resultat av nonsense-mutasjon i dystrofinet, hos ambulatoriske pasienter i alderen 2 år og eldre. Effekt er ikke vist hos ikke-ambulatoriske pasienter. Tilstedeværelsen av en nonsense-mutasjon i dystrofinet bør fastslås ved genetiske prøver

Er legemidlet i bruk i Norge i dag? Ja/Nei
Hvis legemidlet er i bruk: Ja Fra hvilket tidspunkt har det vært i bruk: Juni 2015? Nevn eventuelt(le) sted(er) det er i bruk: Trondheim

Er legemidlet omtalt eller anbefalt i for eksempel nasjonale retningslinjer?
I så fall beskriv: Nei, inte vad vi kjenner till.

Kjenner dere til om det er flere leverandører av legemidlet?
I så fall hvilke(n): Inga andra leverantörer er involverade

Eventuelle innspill til hoved-/ underproblemstilling i forslaget/metodevarslet?
Inga nya patienter finns för närvarande inom indikation. Vi inväntar studie 041 för ambulerande patienter (RCT, Ph 3 study, ClinicalTrials.gov Identifier: NCT03179631)

Finnes alternativer til legemidlet som er foreslått (dere er ansvarlig for)?
I så fall beskriv kortfattet: Det finns inga alternativ till Translarna som behandlar den bakomliggande orsaken till DMD. Som farmakologisk grundbehandling ingår kortikosteroider, preventiv/faktisk hjärtsviktsbehandling och en rad icke farmakologiska interventioner

Øvrige kommentarer
PTC vill framhålla att avvakta en metodutvärdering då detta är ett mycket omfattande arbete som i nuläget inte berör några (noll) patienter.

Ønsker dere å bidra med dokumentasjon som etterspørres dersom Bestillerforum RHF beslutter at det skal gjennomføres en metodevurdering på bakgrunn av forslaget/metodevarsel?
Vi ska försöka tillmötesgå Bestillerforum med den information som eventuellt kommer efterfrågas.

Interesser og eventuelle interessekonflikter
-til den leverandør/producent 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: Inga ekonomiska kompenasjoner är givna i Norge för HCP, inklusive ingen tidigare involvering i kliniska prövningar. Post approval authorization study STRIDE är aktiv I Norge.

Sted, dato: Göteborg, 2019-04-08

Firmanavn: PTC Therapeutics Sweden AB

Navn: Peter Blomqvist