

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_099
Metodens tittel:	Alfa1-antitrypsin (Respreeza)

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Jonas Lundkvist
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	CSL Behring AB
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	jonas.lundkvist@cslbehring.com / +46703110682

3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)
<p>CSL Behring is requesting for change in track of hurtig metodevurdering for Alfa1-antitrypsin (Respreeza)</p> <p>On 26.09.2022 Bestillerforum decided to order a hurtig metodevurdering according to track C guidelines (including a cost-utility analysis (CUA)) for Respreeza (Bestillerforum 26.09.2022, Saksnummer 151-22). The decision was made after a proposal for assessment of new health technologies sent to Nye metoder dated 09.09.2022 by CSL Behring, which included a proposal and justification for an assessment via track D.</p> <p>The decision made was hence different from the requested assessment track by CSL Behring, but no clear justification for the changed track decided by Bestillerforum was provided, besides a statement in the reference sakpapirer saying that SLV concludes that: <i>“Alfa1-antitrypsin</i></p>

(Respreeza, Prolastina) er ikke tidligere metodevurdert. SLV vurderer at metoden kan være egnet for en metodevurdering med en kostnad per QALY-analyse. ”

After the Bestillerforum decision, CSL Behring had the opportunity to discuss this topic in a dialogue meeting (“formøte”) with SLV on 18.11.2022. In this meeting representatives from SLV agreed that it might not be feasible to perform a CUA of Respreeza due to the limited clinical data and rarity of the disease.

Therefore, CSL Behring still believes that a track D assessment would be more appropriate for this treatment because of the specific circumstances that makes a traditional CUA approach difficult, including:

- The rarity of the disease and slow rate of disease progression make it difficult to collect data on long-term benefits and relevant endpoints in a traditional clinical trial setting. It would require sample sizes beyond what is feasible for this rare disease.
- The rarity of the disease also means that there is limited reliable data available linking the trial endpoints to more relevant long-term benefits.
- One of the benefits of the treatment is a potential reduction in need for lung transplantation, but the clinical and economic value is difficult to quantify in a CUA, since there is a scarcity of organs for transplantation and the opportunity cost of alternative uses of them are not known.
- Respreeza is manufactured based on donated plasma, which is a costly process and the plasma material available is also limited. This means that there are other factors influencing the price setting of Respreeza.
- The overall budget impact for introducing Respreeza is modest and the displacement effects on other care is therefore limited.

Since there are no other efficacious treatment options available for these patients, there is a need to evaluate this treatment in a more pragmatic way where treatment costs are compared with clinical benefits outside the full scope of a traditional CUA.

For these reasons CSL Behring requests Bestillerforum to change the scope of the metodevurdering to follow track D instead of track C.

We would also like to comment on the patient number estimation provided by clinical expert ahead of the decision of Bestillerforum on 26.09.2022: *“Ca. 2000 personer i Norge”* (Offentlige sakspapirer, Bestillerforum 26.09.2022, Saksnummer 151-22, page 26).

We think this is a large overestimation of the number of patients that would be eligible for treatment in Norway (and subsequently also the budget impact). 2000 patients may be a reasonable estimation of number of Norwegian patients carrying the PiZZ allele as a risk factor for developing progressive emphysema disease (diagnosed and non-diagnosed), but all of them will not qualify as eligible for treatment. The patient number estimated by SLV in the same sakspapirer is more reasonable: *“Antall pasienter i Norge er ikke kjent ifølge forslagsstiller. Basert på et estimat av NICE i England, kan det være om lag 50 pasienter som er aktuelle for behandling med alfa1-antitrypsin i Norge.”* (Offentlige sakspapirer, Bestillerforum 26.09.2022, Saksnummer 151-22, page 18).

This number is similar to the approximately 80 patients estimated by the Danish Medicines council to be candidates for treatment with A1AT in Denmark (Medicinrådets vurdering af human alfa-1-antitrypsin til behandling af alvorlig alfa-1-antitrypsinmangel, Medicinrådet, 2019) and is also in line with the Norwegian estimation provided by CSL Behring in the proposal for assessment of new health technologies.

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 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?
See published metodevurdering

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

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

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

8. Spesielt for medisinsk utstyr (besvares av leverandør): CE-merking
See published metodevurdering

9. Spesielt for legemidler (besvares av leverandør): Markedsføringstillatelse (MT)
See published metodevurdering

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).

The submitter of this document represent CSL Behring AB, the manufacturer of Respreeza