

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 offentligjøres, 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*:	ID2021_015
Metodens tittel:	Mepolizumab (Nucala) til behandling av eosinofil granulomatose med polyangitt (EGPA)

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Marianne Klausen
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	GSK
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	marianne.x.klausen@gsk.com

3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)
<p>Eosinofil granulomatose med polyangitt (EGPA), tidligere kjent som Churg-Strauss syndrom, er en sjelden vaskulitt som angriper små – og mellomstore blodårer i ulike organer, særlig i hud, luftveier og perifere nerver. Astma og eosinofili er karakteristisk for sykdommen. Overlevelsen har økt betraktlig etter at systemiske kortikosteroider (SKS) og immunsuppressiva ble tatt i bruk, men tilbakefallsraten er fortsatt høy. (Vaskulitt.no, Nguyen Y, 2018)</p> <p>Med Nucala er det flere pasienter som går i remisjon sammenlignet med kun SKS og som i tillegg kan redusere behovet for steroider og med reduserte antall tilbakefall.</p> <p>I NOSVAR-registeret ved Rikshospitalets revmatologiske seksjon er 44 pasienter med EGPA registrert pr 2019.</p>

EGPA-pasienter som vurderes for biologisk behandling opplever gjentatte oppbluss av sykdommen eller har en behandlingsrefraktær sykdom tross høye doser systemiske kortikosteroider (SKS).

European League Against Rheumatism (EULAR) rapporterer at tilbakefallsraten for EGPA-pasienter etter ett og to år ligger på henholdsvis 10-27 % og 15-35 %. ([Mukhtyar C, 2007](#))

I henhold til kliniker ved Rikshospitalet var det pr juni 2020 ca 10 pasienter ved Riks hospitalet som ble behandlet med Nucala da de har astma med lungemanifestasjoner av EGPA som er identiske med diagnosen alvorlig eosinofil astma.

Disse 10 utgjør 22,73 % av de 44 registrerte EGPA pasientene i NOSVAR-registeret. Det er vanskelig for oss å anslå hvor mange ytterligere pasienter som eventuelt vil motta Nucala når denne indikasjonen etter hvert blir godkjent.

Med bakgrunn i de lave forventede pasienttallene for denne indikasjonen har GSK besluttet å ikke utarbeide helseøkonomisk dokumentasjon til anvendelse for løp C og kan derfor kun levere dokumentasjon på effekt, sikkerhet og kostnader. GSK foreslår løp D for denne metoden.

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?

Er metoden i bruk utenom kliniske studier i dag: Ja, til alvorlig eosinofil astma
 Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk: Siden 1. mars 2016.
 Hvor er eventuelt metoden i bruk: Sykehus/privatpraktiserende spesialister

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

Det er forventet at Nucala vil bli indisert som tilleggsbehandling hos pasienter ≥ 6 år med Eosinofil Granulomatose med polyangitt (EGPA).

Eosinofil granulomatose med polyangitt (EGPA), tidligere kjent som Churg-Strauss syndrom, er en sjelden vaskulitt som angriper små – og mellomstore blodårer i ulike organer, særlig i hud, luftveier og perifere nerver. Astma og eosinofili er karakteristisk for sykdommen. Overlevelsen har økt betraktlig etter at systemiske kortikosteroider (SKS) og immunsuppressiva ble tatt i bruk, men tilbakefallsraten er fortsatt høy. ([Vaskulitt.no, Nguyen Y, 2018](#))

I NOSVAR-registeret ved Rikshospitalet revmatologiske seksjon er 44 pasienter med EGPA registrert pr 2019.

Insidensen av EGPA er beregnet til 0,5 (Tromsø) - 3,1 (Norwich, UK) pr. million innbyggere pr. år (Watts R, 2001). Det tilsvarer 3-15 nye tilfeller i Norge hvert år.

Prevalensen av EGPA i Sverige er beregnet til 14 pr million innbyggere, noe som i Norge vil tilsvare en prevalens på ca 70 personer (Mohammad AJ, 2007)

I henhold til kliniker ved Rikshospitalet var det pr juni 2020 ca 10 pasienter ved Rikshospitalet som ble behandlet med Nucala da de har astma med lungemanifestasjoner av EGPA som er identiske med diagnosen alvorlig eosinofil astma. Ved EGPA er symptomer fra lunger og hud vanligst og pasienten har ofte en mangeårig forhistorie med astma og allergi som har blitt verre (etter hvert som sykdommen utvikler seg).

EGPA-pasienter som vurderes for biologisk behandling opplever gjentatte oppbluss av sykdommen eller har en behandlingsrefraktær sykdom tross høye doser systemiske kortikosteroider (SKS). EGPA-pasienter som er stabile på lave doser SKS vurderes ikke for biologisk behandling.

European League Against Rheumatism (EULAR) rapporterer at tilbakefallsraten for EGPA-pasienter etter ett og to år ligger på henholdsvis 10-27 % og 15-35 %. (Mukhtyar C, 2007)

De 10 pasientene som pr juni 2020 mottar biologisk behandling i form av Nucala på Rikshospitalet utgjør 22,73 % av de 44 registrerte EGPA pasientene i NOSVAR-registeret. Det er vanskelig for oss å anslå hvor mange ytterligere pasienter som eventuelt vil motta Nucala når denne indikasjonen etter hvert blir godkjent.

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

Først og fremst systemiske kortikosteroider (SKS), noe som medfører betydelige bivirkninger.

Ved manglende effekt av SKS eller mer alvorlig sykdom brukes høydosert SKS i kombinasjon med immunsuppressiva.

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?

Med Nucala er det flere pasienter som går i remisjon sammenlignet med kun SKS og som i tillegg kan redusere behovet for steroider og med reduserte antall tilbakefall.

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:

Nei, MT forventes i november 2021.

10. Andre kommentarer

Til orientering: Med bakgrunn i de lave forventede pasienttallene for denne indikasjonen har GSK besluttet å ikke utarbeide helseøkonomisk dokumentasjon til anvendelse for løp C og kan derfor kun levere dokumentasjon på effekt, sikkerhet og kostnader.

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).

Vi er produsent av legemidlet og har følgelig økonomiske interesser i saken.