

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*:	ID2021_017
Metodens tittel:	Mepolizumab (Nucala) til behandling av hypereosinofilsyndrom (HES)

*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>Hypereosinofilt syndrom er en sjelden men alvorlig sykdom karakterisert ved hypereosinofili med påfølgende inflammasjon og organskade.</p> <p>Det er en ukjent insidens og prevalens i Norge da vi mangler registerdata. Insidensen antas å være lav med en årlig insidens på 0,036 pr 100000 men man mistenker underestimering av HES-forekomsten på grunn av underrapportering (Azrakhsh NA, 2020). Hvis man bruker internasjonale prevalenstall på 0,001% tilsvarer dette ca 50 pasienter i Norge.</p> <p>Ved bruk av mepolizumab kan man hos klinisk stabile pasienter som står på høydose systemiske steroider (20-60mg daglig) forvente å se en reduksjon av Prednisolon-dosen til 10mg eller mindre i mer enn 8 uker mens sykdommen forblir stabil (84 prosent i mepolizumab-</p>

gruppen versus 43% i placebogruppen i vår fase 3 studie Rothenberg et. Al NEJM 2008). Behandlingen kan således bli steroidsparende for en signifikant andel av pasienter som står på høye doser kortikosteroider med påfølgende uheldige bivirkninger.

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 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, 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 til behandling av voksne pasienter med Hypereosinofilt syndrom (HES).

Pasienter med HES har vedvarende og markant overproduksjon av eosinofile celler. I tillegg infiltrerer eosinofile celler visse organer som gir inflammasjon og organskade. Dersom man ikke finner en annen forklaring på eosinofilien får pasienten diagnosen HES. Symptomene varierer veldig ut ifra hvilke organer som er affisert, men sykdommen assosieres med en eller flere av følgende: fibrose (lunge, hjerte, mage/tarm), trombose, hudaffeksjon, perifer eller sentral nevropati eller andre organmanifestasjoner (lever, bukspyttkjertel, nyre etc). I tillegg kan pasientene oppleve mer uspesifikke symptomer som feber, nattesvette, vekttap og slapphet. Hvis sykdommen forblir ubehandlet kan tilstanden gradvis forverres og den kan være livstruende. (Valent P, 2012)

Det er en ukjent insidens og prevalens i Norge da vi mangler registerdata. Insidensen antas å være lav med en årlig insidens på 0,036 pr 100000, men man mistenker underestimering av HES-forekomsten på grunn av underrapportering (Azrakhsh NA, 2020). Hvis man bruker internasjonale prevalenstall på 0,001% tilsvarer dette ca 50 pasienter i Norge.

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

Beskriv kortfattet: Behandling i dag består først og fremst systemiske kortikosteroider. Hos noen pasienter prøver man andre medikamenter som hydroxyurea, interferon-alfa og imatinib. Ved den hereditære typen av HES er imatinib førstevalg.

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:

Ved bruk av mepolizumab kan man hos klinisk stabile pasienter som står på høydose systemiske steroider (20-60mg daglig) forvente å se en reduksjon av Prednisolon-dosen til 10mg eller mindre i mer enn 8 uker mens sykdommen forblir stabil (84 prosent i mepolizumab-gruppen versus 43% i placebogruppen i vår fase 3 studie Rothenberg et. Al NEJM 2008). Behandlingen kan således bli steroidesparende for en signifikant andel av pasienter som står på høye doser kortikosteroider med påfølgende uheldige bivirkninger.

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. GSK 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.