Forslag om nasjonal metodevurdering

**Viktig informasjon – se på dette først!**

* Innsendte forslag til nasjonale metodevurderinger vil bli publisert i sin helhet. Dersom forslagsstiller mener det er nødvendig informasjon for utfylling av skjemaet som ikke kan offentliggjøres, ta kontakt med sekretariatet før innsending.
Forslagsstiller er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (kryss av): [ ]
* Forslagsstiller har fylt ut punkt 19 nedenfor: «Interesser og eventuelle
 interessekonflikter» (kryss av): [ ]
* Dette skjemaet brukes for å sende inn forslag om metodevurdering på nasjonalt nivå i Nye metoder. Skjemaet gjelder ikke forslag om forskningsprosjekter. En metodevurdering er en type kunnskapsoppsummering, og for at en slik skal kunne utføres, behøves dokumentasjon eksempelvis fra gjennomførte kliniske studier. Manglende dokumentasjonsgrunnlag kan være en av årsakene til at Bestillerforum RHF ikke gir oppdrag om en metodevurdering.
* Hvis forslaget gjelder et medisinsk utstyr, er forslagsstiller kjent med dokumentet «[Veiledende kriterier for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder](https://nyemetoder.no/Documents/Om%20systemet/Veiledende%20kriterier%20for%20medisinsk%20utstyr%20i%20Nye%20metoder%20%2829.06.17%29.pdf) « (link) (kryss av): [ ]

## Kontaktinformasjon:

**Navn på forslagsstiller** (organisasjon/institusjon/foretak/produsent):

Anne Marthe Ringerud, Avdeling for Nye Metoder, Sykehusinnkjøp HF divisjon Legemidler

**Navn på kontaktperson:**

Anne Marthe Ringerud

**Telefonnummer:**

97009866

**E-postadresse:**

Anne.marthe.ringerud@sykehusinnkjop.no

**Dato og sted:**

Oslo, 19.12.2019

1. Forslagstillers tittel på forslaget:\*
\*Denne kan endres under den videre behandlingen i systemet for Nye metoder:

Eculizumab (Soliris) til behandling av atypisk hemolytisk uremisk syndrom.

1. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Eculizumab (Soliris) er indisert til voksne og barn til behandling av Atypisk hemolytisk-uremisk syndrom (atypisk HUS).

Eculizumab er et rekombinant, humanisert monoklonalt IgG2/4k-antistoff som selektivt hemmer aktivering av komplementsystemet ved å spesifikt bindes til komplementprotein C5 og hindre dannelse av det terminale komplementkompleks C5b-9. Behandling med Soliris hos pasienter med atypisk HUS blokkerer ukontrollert terminal komplementaktivering og påfølgende komplementmediert trombotisk mikroangiopati.

Dosering hos voksne og barn med kroppsvekt ≥40kg:

Startfase: 900 mg Soliris gitt hver uke de første 4 ukene. ((48533,90\*3) \*4 = 582 406,8 NOK)

Vedlikeholdsfase: 1200 mg Soliris gitt den 5. uken, etterfulgt av 1200 mg Soliris gitt hver 14.±2 dag. ((48533,9\*4) \*24 = 4 695 254,4.)

Behandlingen gis som intravenøs infusjon over 25-45 minutter.

Årskostnad legemiddel første år: 5 241 661,2. Påfølgende år: 5 047 525,6.

1. Kort beskrivelse av dagens tilbud (Hvilken metode(r) brukes nå? Status for metoden (gir kurativ behandling, forlenget levetid etc.) Vil metoden som foreslås vurdert erstatte eller komme i tillegg til dagens tilbud?)

Eculizumab ble tatt i bruk hos pasienter med atypisk HUS via ordningen med individuell stønad, finansieringen ble overført til regionale helseforetak fra 1.2.2019. Metoden er ikke metodevurdert. Metoden er anbefalt i pediatriveileder ved Hemolytisk-uremisk syndrom

<https://www.helsebiblioteket.no/pediatriveiledere?key=151022&menuitemkeylev1=6747&menuitemkeylev2=6567>

1. Forslaget gjelder: Ja Nei

En helt ny og innovativ metode [ ]  [x]

Et nytt bruksområde, eller en ny indikasjon for en etablert metode [x]  [ ]

En sammenligning mellom flere metoder [ ]  [ ]

Er metoden tatt i bruk? [ ]  [ ]

 Hvis ja – metode er tatt i bruk i klinisk praksis [x]  [ ]

 Hvis ja – metode er tatt i bruk innen forskning/utprøving [ ]  [ ]

Re-evaluering av metode som er tatt i bruk i klinisk praksis [ ]  [ ]

Er metoden relevant for utfasing? [ ]  [ ]

1. Hva omfatter metoden (flere kryss mulig)?

Legemiddel [x]

Medisinsk utstyr/IVD medisinsk utstyr som er CE-merket\* [ ]

\*Hvis metoden er CE-merket:

Medisinsk utstyr/IVD medisinsk utstyr som ikke er CE-merket [ ]

Prosedyre [ ]

Screening [ ]

Høyspesialiserte tjenester/nasjonale tilbud [ ]

Organisatorisk oppsett av helsetjenesten [ ]

Annet (beskriv) [ ]

1. Metodens bruksområde:

Forebygging [ ]

Utredning og diagnostikk [ ]

Behandling [x]

Rehabilitering [ ]

Spesialisthelsetjenesten [ ]

Primærhelsetjenesten [ ]

1. Finansieringsansvar Ja Nei

Har spesialisthelsetjenesten et finansieringsansvar for metoden i dag? [x]  [ ]
Vil spesialisthelsetjenesten kunne få finansieringsansvar for metoden? [ ]  [ ]

Finansieringsansvar ble overført til RGF 1.2.2019

1. Er metoden omtalt i nasjonale faglige retningslinjer eller handlingsprogrammer utarbeidet av Helsedirektoratet? Ja Nei

 [ ]  [x]

Omtalt i veileder fra Norsk barnelegeforening

1. Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)? Ja Nei
 [ ]  [x]

1. Hvilke fagområde(r) gjelder metoden, og hvilke pasienter berøres? (Får metoden evt. også konsekvenser for andre grupper (som personell, pårørende?)

Nefrologi, pediatri

1. Hvilke aspekter er relevante for vurderingen? (flere kryss mulig)

Klinisk effekt [x]

Sikkerhet/bivirkninger [x]

Kostnader/ressursbruk [x]

Kostnadseffektivitet [x]

Organisatoriske konsekvenser [ ]

Etiske [ ]

Juridiske [ ]

1. Foreslå hva som bør være hovedproblemstilling(er) for metodevurderingen, samt eventuelle underproblemstillinger (i samsvar med pkt. 10). For deg som er kjent med «PICO (Patient, Intervention, Comparator, Outcome) -begrepet»- inkluder gjerne tentativt forslag til PICO.

Vurdere om eculizumab fremdeles skal ha en plass som standardbehandling, komparator støttebehandling.

1. Gi en kort begrunnelse for hvorfor det er viktig at metodevurderingen som foreslås bør gjennomføres:

Få en gjennomgang av eventuelle mereffekter av metoden, behandlingen er svært kostbar så de er viktig med en systematisk vurdering av om metoden skal anbefales som standardbehandling og eventuelt se på kriterier for bruk.

Leverandøren har utviklet et nytt administrasjonsprinsipp (Ravulizumab, Ultomiris) som skal erstatte eculizumab etter patentutløp. Det ble bestilt metodevurdering av ravulizumab (Ultomiris) 16.12.2019

1. Kommenter metoden som forslås vurdert mht. følgende punkter:

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

Forventet effekt

Sikkerhet

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Leverandøren har tidligere anslått omlag 10 pasienter pr år

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Behov for revisjon av eksisterende nasjonale faglige retningslinjer, evt. utarbeidelse av nye

1. Oppgi referanser til dokumentasjon om metodens effekt og sikkerhet (eks. tidligere metodevurderinger). (Inntil 10 sentrale referanser oppgis. Ikke send vedlegg på dette trinnet i prosessen.)

NT-rådet har vurdert metoden: https://janusinfo.se/download/18.11b119de1639e38ca5f75de8/1535626549944/Eculizumab-(Soliris)-vid-aHUS-180605.pdf

1. Oppgi navn på produsenter/leverandører vedrørende metoden (dersom aktuelt/tilgjengelig):

Alexion

1. Status for markedsføringstillatelse (MT) eller CE-merking: Når forventes MT- eller CE-merking? Eventuelt opplysning om planlagt tidspunkt for markedsføring.

Metoden/indikasjonen har markedsføringstillatelse.

1. Fritekstrubrikk (Supplerende relevant informasjon, inntil 300 ord.)

Fra før er det bestilt metodevurdering av eculizumab til paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (PNH) (ID2019\_061), behandlingsrefraktær generalisert myasthenia gravis (ID2019\_021) og relapserende neuromyelitis optica spectrum disorder (ID2019\_043).

Det er også bestilt metodevurdering av leverandørens etterfølger Ultomiris (ID2019\_117)

1. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv forslagstillers 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: Forslagsstiller har økonomiske interesser i saken. Forslagsstiller har eller har hatt oppdrag i tilslutning til eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.)

Ansatt i Sykehusinnkjop