

Egnethetsvurdering	
ID-nummer	ID2025_086
Handelsnavn (virkestoff)	Scemblix (askiminib)
Virkningsmekanisme	STAMP-hemmer (Specifically Targeting the ABL Myristoyl Pocket) av BCR-ABL1, som allosterisk binder til myristoyl-setet på BCR-ABL1.
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder en indikasjonutvidelse for et kjent virkestoff. Dato for markedsføringstillatelse (MT) for aktuell indikasjon er 17.11.2025.
Aktuell indikasjon	Philadelphia-kromosompositiv kronisk myelogen leukemi i kronisk fase (Ph+ KML-KF)
Dosering	Askiminib administreres peroralt, og anbefalt dose er 80 mg én gang daglig.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Novartis Norge
Bakgrunn	Det foreligger nasjonale behandlingsretningslinjer, senest faglig oppdatert 17.04.24¹. Kronisk myelogen leukemi (KML) er en form for blodkreft som skyldes en genfeil på kromosom 22. Sykdommen deles inn i kronisk fase og blastfase. Diagnosen stilles som regel i den kroniske fasen. Progresjon er ofte forbundet med økende behandlingsresistens og symptomer. Antall blaster og basofile granulocytter øker i perifert blod og behandlingsrelaterte cytopenier kan oppstå. Blastfase er morfologisk og klinisk en akutt leukemi der immunfenotypen kan være lymfoblastisk eller myeloblastisk (lymfoid eller myeloid blastkrise). Median overlevelse er da meget kort uten transplantasjon. Førstelinjebehandling ved kronisk KML er i dag førstegenerasjons tyrosinkinasehemmeren (TKI) imatinib eller andregenerasjons TKI-ene dasatinib, nilotinib, og bosutinib (innført 16.06.25²). Anmodningen er basert på ASC4FIRST-studien (NCT04971226), som er en fase III, randomisert, kontrollert, multisenterstudie. Studien sammenligner askiminib med standard førstelinje TKI-behandling (imatinib, nilotinib, dasatinib og bosutinib) hos nydiagnostiserte voksne pasienter med Philadelphia-kromosompositiv kronisk myelogen leukemi i kronisk fase (Ph+ KML-KF). I tillegg planlegger anmoder å inkludere ASC4START-studien (NCT05456191) som støttende dokumentasjon. Dette er en fase IIIb studie som sammenligner askiminib med nilotinib, med hovedfokus på toleranse og tid til seponering grunnet bivirkninger.

² <https://www.nyemetoder.no/metoder/bosutinib>

² <https://www.nyemetoder.no/metoder/bosutinib>

Begrunnelse i forslag	Metoden er tidligere innført til pasienter med Philadelphia-kromosompositiv kronisk myelogen leukemi i kronisk fase (Ph+ KML-KF) som tidligere har mottatt behandling med to eller flere tyrosinkinasehemmere (ID2022_028). Anmoder foreslår en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse av behandling med askiminib i første linje mot dagens standardbehandling (utprøvervalgt TKI).
Preliminær PICO³	P: I tråd med endelig godkjent indikasjon: nylig diagnostiserte voksne pasienter med Philadelphia-kromosompositiv kronisk myelogen leukemi i kronisk fase (Ph+ KML-KF). I: Askiminib brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtale, 80 mg tabletter peroralt daglig. C: Dagens standardbehandling med enten imatinib (400 mg daglig), dasatinib (100 mg daglig), nilotinib (300 mg to ganger daglig) og bosutinib (400 mg daglig). O: Primære endepunkter: - Andel deltakere i major molecular response (MMR) ved uke 48 (askiminib vs. utprøvervalgt TKI) - Andel deltakere i MMR ved uke 48 (askiminib (imatinib-stratum) vs. utprøvervalgt TKI (imatinib-stratum)).
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Det foreligger en randomisert, kontrollert studie mot relevante komparatorer, som kan være egnet som dokumentasjonsgrunnlag for en helseøkonomisk analyse.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse i form av en kostnad-nytte-analyse.

Versjonslogg*

Dato	Hva
06.01.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP
*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se Legemiddelsøk.no. Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.	

³ Pasientpopulasjon, intervensjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering