

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](#)» (link) (kryss av):

Kontaktinformasjon:

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

Sykehusinnkjøp HF

Navn på kontaktperson:

Anne Marthe Ringerud

Telefonnummer:

97009866

E-postadresse:

Anne.marthe.ringerud@sykehusinnkjop.no

Dato og sted:

Oslo 4/2-2019

1. Forslagstillers tittel på forslaget:*

*Denne kan endres under den videre behandlingen i systemet for Nye metoder:

Ny-vurdering av ID2017_020 etter endring i finansiering; Eculizumab (Soliris) til behandling av pasienter med behandlingsrefraktær generalisert myasthenia gravis

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Eculizumab fikk i august 2017 godkjent indikasjonsutvidelse og er nå også indisert til voksne til behandling av refraktær generalisert myasthenia gravis (gMG) hos pasienter som er positive for antistoffer mot acetylkolinereseptor (AChR). Hittil har ikke eculizumab blitt tatt i bruk hos pasienter med gMG via ordningen med individuell stønad, finansieringen ble overført til regionale helseforetak fra ½-2019. Metoden var oppe i Bestillerforum i mars 2017, men ble da ikke bestilt fordi finansieringsansvaret lå hos Folketrygden.

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. Eculizumab opprettholder de tidlige komponentene i komplementaktiveringen som er nødvendige i immunresponsen mot mikroorganismer (oppsonisering) og fjerning av immunkomplekser.

Dosering:
 Startfase: 900 mg Soliris gitt hver uke de første 4 ukene. $((48533,90 \cdot 3) \cdot 4 = 582\,406,8 \text{ NOK})$
 Vedlikeholdsfase: 1200 mg Soliris gitt den 5. uken, etterfulgt av 1200 mg Soliris gitt hver 14.±2 dag. $((48533,9 \cdot 4) \cdot 24 = 4\,695\,254,4.)$

Behandlingen gis som intravenøs infusjon over 25-45 minutter.

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

Eculizumab (Soliris) er allerede tatt i bruk via individuell stønad ved indikasjonene paroksyttisk nattlig hemoglobinuri og atypisk hemolytisk-uremisk syndrom (aHUS).

3. 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?)

Fra metodevarsel nr 009 2017 oppdatert 14.02.2017:

Medikamentell behandling av gMG har som mål å oppnå remisjon med ingen eller minimale symptomer og uten uakseptable bivirkninger. Anbefalingene er stort sett basert på klinisk erfaring og små studier. Primært brukes kolinesterasehemmer, vanligvis pyridostigmin som symptomatisk behandling. Immunmodulerende behandling med glukokortikoid alene eller i kombinasjon med immunsuppressive midler (azatioprin, ciklosporin, takrolimus) kan benyttes hos pasienter som fortsatt har betydelige symptomer til tross for symptomatisk behandling. En pasient med gMG anses som behandlingsrefraktær dersom de overnevnte tiltakene ikke leder til tilstrekkelig sykdomskontroll eller ved opplevelse av uakseptable bivirkninger. Ved tilfeller av terapirefraktær gMG kan følgende legemidler forsøkes: cyklofosamid, rituximab, og intravenøs immunoglobiner

4. Forslaget gjelder:	Ja	Nei
En helt ny og innovativ metode	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Et nytt bruksområde, eller en ny indikasjon for en etablert metode	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
En sammenligning mellom flere metoder	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Er metoden tatt i bruk?	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
Hvis ja – metode er tatt i bruk i klinisk praksis	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

- 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?

"Klikk her og beskriv. Inkluder også utfyllende opplysninger om eventuell bruk av metoden"

5. Hva omfatter metoden (flere kryss mulig)?

- Legemiddel
- Medisinsk utstyr/IVD medisinsk utstyr som er CE-merket*

*Hvis metoden er CE-merket:

"Klikk her og angi hva metoden er CE-merket som og til hvilket bruksområde."

- Medisinsk utstyr/IVD medisinsk utstyr som ikke er CE-merket
- Prosedyre
- Screening
- Høyspesialiserte tjenester/nasjonale tilbud
- Organisatorisk oppsett av helsetjenesten
- Annet (beskriv)

"Klikk her og beskriv. Inkluder eventuelt hvem som er ansvarlig for utvikling av metoden"

6. Metodens bruksområde:

- Forebygging
- Utredning og diagnostikk
- Behandling
- Rehabilitering
- Spesialisthelsetjenesten
- Primærhelsetjenesten

"Klikk her og beskriv"

7. Finansieringsansvar

Ja Nei

- Har spesialisthelsetjenesten et finansieringsansvar for metoden i dag?
- Vil spesialisthelsetjenesten kunne få finansieringsansvar for metoden?

Finansieringsansvaret ble overført fra Folketrygden ½-2019

8. Er metoden omtalt i nasjonale faglige retningslinjer eller handlingsprogrammer utarbeidet av Helsedirektoratet?

Ja Nei

"Beskriv her nærmere omtalen i nasjonale faglige retningslinjer eller handlingsprogrammer:"

9. Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)?

Ja Nei

"Klikk her og gi en kort beskrivelse av type strålekilde, utstyr og stråleeksponering"

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

"Klikk her og skriv"

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

- Klinisk effekt
- Sikkerhet/bivirkninger
- Kostnader/ressursbruk
- Kostnadseffektivitet
- Organisatoriske konsekvenser
- Etiske
- Juridiske

12. 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 skal tas i bruk med gMG, komparator dagens standardbehandling

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

Få en gjennomgang av eventuelle mereeffekter i norsk klinisk praksis, behandlingen er svært kostbar så de er viktig med en systematisk vurdering av om metoden skal tas i bruk og eventuelt se på kriterier for bruk.

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

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

"Klikk her og skriv"

Forventet effekt

"Klikk her og skriv"

Sikkerhet

"Beskriv kort opplysninger om kjente risikoforhold, sikkerhetsaspekter og bivirkninger"

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Firma har anslått ca 25 pasienter.
Fra metodevarsel: En nasjonal epidemiologisk studie fra 2009 identifiserte omkring 900 seropositive MG pasienter i Norge. Det regnes med at en liten andel av disse vil oppleve behandlingsresistens til eksisterende behandlinger, og vil dermed være aktuelle for behandling med eculizumab.

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Betydelig, ved 25 pasienter blir budsjettkonsekvenser om lag 126 millioner NOK

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

"Klikk her og skriv"

15. 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.)

Metodevarsel 009 2017:
https://nyemetoder.no/Documents/Forslag/ID2017_020_Varsel.pdf

Forslag om metodevurdering ID nr 2017_020

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

Alexion

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

Metoden har MT. Aktuell indikasjon ikke tatt i bruk.

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

"Klikk her og skriv"

19. 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.)

"Klikk her og skriv"