

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av): ☒

Fyll ut dato for innsending av skjema: 06.02.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Takeda AS
1.2 Navn kontaktperson	Lidziya Vanahel Ulvenes
1.3 Stilling kontaktperson	Market Access Lead
1.4 Telefon	48042399
1.5 E-post	Lidziya.ulvenes@takeda.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.7 Telefon og e-post	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	Et nytt virkestoff ☐ En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon ☒ En ny styrke eller formulering ☒
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Rutinemessig forebygging av residiverende anfall av arvet angioødem (HAE) hos barn 2-11 år.

<i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i> <i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i>	
2.3 Handelsnavn	Takhzyro
2.4 Generisk navn/virkestoff	lanadelumab
2.5 ATC-kode	B06AC05
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i> <i>Skriv kort</i>	Subkutan injeksjon, anbefalt dose 150 mg hver 2. uke. For kroppsvekt over 40 kg 300 mg hver 2. uke er anbefalt. For mer detaljer se punkt 11.5
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Lanadelumab er et fullstendig humant, monoklonalt antistoff (IgG1/ κ-lett kjede). Lanadelumab hemmer proteolytisk aktivitet av aktiv plasma-kallikrein. Økt plasma-kallikrein-aktivitet fører til angioødem-anfall hos pasienter med HAE via proteolyse av høymolekylært kininogen (HMWK) slik at det dannes spaltet HMWK (cHMWK) og bradykinin. Lanadelumab gir vedvarende kontroll av plasma-kallikrein-aktivitet og begrenser derved bradykinin-dannelse hos pasienter med HAE.

3 Historikk – virkestoff og indikasjon	
3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja ☒ Nei ☐ ID-nummer: ID2018_093, revurdering ID2022_100
3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon?	Ja ☐ Nei ☒ ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	
3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng?	Ja ☐ Nei ☒
<i>Hvis ja, oppgi referanse</i>	Referanse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring	
4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner?	Ja ☒ Nei ☐
<i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i>	Dato for MT for første indikasjon: 26.10.2018
4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?	Ja ☒ Nei ☐
4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon?	MT i Norge: Ja ☒ Nei ☐
<i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i>	Prosedyrenummer i EMA: EMEA/H/C/004806/II/0043/G
<i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i>	Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst. Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
<i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i>	Hvis metoden har MT: Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: 13.02.2025
4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?	Ja ☐ Nei ☒
<i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i>	Beskrivelse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?	Ja ☐ Nei ☒

4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA? <i>Hvis ja, fyll ut dato</i>	Ja ☒ Nei ☐ Dato for «orphan drug designation»: 10.09.2015
---	--

5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?	Ja ☐ Nei ☒
--	---

6 Sammenlignbarhet og anbud

6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?	Ja ☒ Nei ☐ Kommentar: Takhzyro 300mg er godkjent og innført i Norsk klinisk praksis og inkludert i HAE anbudet for forebyggende behandling av HAE hos pasienter fra 12 år (ID2022_100). Flere andre legemidler er innført og inkludert i HAE anbudet for samme pasientpopulasjon: Orladeyo (ID2021_048), Andembry (ID2024_064). Donidalorsen er under metodevurdering (ID2025_061). Det er kun Cinryze som har en indikasjon for forebyggende behandling av barn fra 2 år. Cinryze er administrert intravenøst noe som kan være komplisert på små barn. Takhzyro 150 mg er den eneste subkutane behandlingen for forebygging av HAE hos barn 2-11 år.
6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen? <i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja ☒ Nei ☐ Legemiddel og ID-nummer: Takhzyro ID2022_100
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja ☒ Nei ☐ Kommentar: Ja, HAE anbudet. Lanadelumab 300 mg har en positiv refusjonsbeslutning og er inkludert i HAE anbudet. Den nye styrken 150 mg vil også være en del av HAE anbudet.

--	--

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)

7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB? <i>Hvis nei, begrunn kort</i>	Ja ☐ Nei ☒ Begrunnelse: Grunnet ulike refusjonsprosesser i de ulike landene
--	---

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)

8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)? <i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i>	Ja ☐ Nei ☒ Dato for søknad til EMA: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.
---	--

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse

9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	Takeda foreslår en forenklet vurdering med prisnotat fra Sykehusinnkjøp. Takhzyro 300mg er allerede inkludert i HAE anbudet for pasienter 12 år og eldre. Det finnes flere andre alternativer for samme populasjonen. Det finnes derimot ikke en subkutan formulering i en styrke som egner seg for barn 2-11 år. Takhzyro 150 mg vil derfor dekke dette behovet.
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Ikke relevant.
9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.) <i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i>	Ikke relevant
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Ikke relevant

9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF. <i>Tidspunkt må oppgis</i>	Pristilbud kan leveres til Sykehusinnkjøp snarest etter bestillingen fra Bestillerforum.

10 Sykdommen og eksisterende behandling	
10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon <i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i>	Hereditært angioødem er en sjelden genetisk potensielt livstruende sykdom karakterisert av residiverende hevelser i hud og slimhinner som kan oppstå over hele kroppen. Se ID2022_100 for mer detaljer.
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Immunologi
10.3 Kreftområde <i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i>	Velg kreftområde fra menyen: Velg et element.
10.4 Dagens behandling <i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i>	Kun et medikament inkludert i HAE anbudet har indikasjon for behandling av barn 2-11 år: Cinryze. Andre mediakmitter inkludert i HAE anbudet for forebyggende behandling av HAE fra 12 år er: Orladeyo (ID2021_048), Andembry (ID_2024_064), Takhzyro (ID2022_100).
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Kronisk sykdom med livsvarig risiko for akutte potensielt livstruende anfall (laryngxødem) (Se ID2022_100 for mer detaljer).

10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Allerede plassert i HAE anbudet. Den nye styrken gjelder indikasjonsutvidelse for barn 2-11 år.
10.7 Pasientgrunnlag <i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i> <i>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</i> <i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i>	1-2 pasienter per år. Ellers se ID2022_100 for pasienter fra og med 12 år.

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	SPRING Study (NCT04070326; Study SHP643-301) https://clinicaltrials.gov/study/NCT04070326	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.2 Studietype og -design	Open-Label, Multisenter, fase 3 studie	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	Formålet med studien var å evaluere effekt og sikkerhet, samt farmakokinetikk av lanadelumab i en pediatrik populasjon 2-11 år.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	Barn 2-11 år. Inklusjonskriterier: 1. Barn 2-11 år 2. Dokumentert HAE diagnose Eksklusjonskriterier: • Komorbiditet • Annen pågående behandling for HAE • Pågående HAE anfall • Abnormal leverfunksjon • Hypersensitivitet til intervensjon	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Lanadelumab 150 mg annenhver uke eller hver 4 uke. Anbefalt dose av lanadelumab for barn 2 til < 12 år er basert på kroppsvekt. Pasienter med en kroppsvekt på 20 kg opp til 40 kg og som har vært stabile uten anfall, kan fortsette med samme dose når de når 12 års alder. For kroppsvekt: 10 opp til 20 kg er anbefalt startdose 150 mg lanadelumab hver 4. uke. Doseøkning til 150 mg lanadelumab hver 3. uke kan vurderes hos pasienter som har utilstrekkelig anfallskontroll For kroppsvekt: 20 opp til 40 kg er anbefalt startdose 150 mg lanadelumab hver 2. uke. Dosereduksjon til 150 mg lanadelumab hver 4. uke kan vurderes hos pasienter som er stabile uten anfall under behandling. For kroppsvekt: 40 kg eller mer er anbefalt startdose 300 mg lanadelumab hver 2. uke. Dosereduksjon til 300 mg lanadelumab hver 4. uke kan vurderes hos pasienter som er stabile uten anfall under behandling.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	None	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11.7 Endepunkter	Primære endepunkter: sikkerhet og farmakokinetikk Sekundære: effekt og farmakodynamikk og immunogenisitet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
<i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Ved 52 uker med behandling 95 % reduksjon i totale HAE-anfall og en 97 % reduksjon i moderate eller alvorlige anfall ble observert sammenlignet med baseline. 76 % av pediatriske pasienter behandlet med TAKHZYRO hadde i gjennomsnitt 99,5 % anfallsfrie dager . De kliniske effektdataene var i tråd med det som ble observert hos ungdom og voksne .		
11.8 Relevante subgruppeanalyser	Ikke relevant	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
<i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>			
11.9 Oppfølgingstid	52 uker	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
<i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i>			
11.10 Tidsperspektiv resultater	Avsluttet studie i 2021.	Klikk eller trykk her for å	Klikk eller trykk her for å

Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt		skrive inn tekst.	skrive inn tekst.
11.11 Publikasjoner Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publisasjon	Maurer M, Lumry WR, Li HH, Aygören-Pürsün E, Busse PJ, Jacobs J, Nurse C, Ahmed MA, Watt M, Yu M; SPRING Investigators. Lanadelumab in Patients 2 to Less Than 12 Years Old With Hereditary Angioedema: Results From the Phase 3 SPRING Study. J Allergy Clin Immunol Pract. 2024 Jan;12(1):201-211.e6. doi: 10.1016/j.jaip.2023.09.009. Epub 2023 Sep 18. PMID: 37730089. https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37730089/	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

12 Igangsatte og planlagte studier	
12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden? <i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i>	Ja ☐ Nei ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja ☐ Nei ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

13 Diagnostikk	
13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør? <i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i>	Ja ☒ Nei ☐
13.2 Er testen etablert i klinisk praksis?	Ja ☒ Nei ☐

Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?	Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag? Ja ☒ Nei ☐
13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

14 Andre relevante opplysninger	
14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen? Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med? (Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)	Ja ☒ Nei ☐ Se ID2022_100
14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene? Hvis ja, begrunn kort. Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter. Nærmere informasjon og skjema: Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF	Ja ☐ Nei ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
14.3 Andre relevante opplysninger?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

--	--

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no