

Forslag om nasjonal metodevurdering

Viktig informasjon – se på dette først og husk å krysse av!

- Innsendte forslag til nasjonale metodevurderinger vil bli publisert i sin helhet. Har du informasjon du mener 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 18 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 forlagsstiller kjent med dokumentet [Veiledende kriterier for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder](#) (link) (kryss av):

Opplysninger om forlagsstiller

Navn/kontaktperson	Bjørn Egil Vikse
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Helse Vest RHF
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	bnev@ihelse.net / 99250064
Dato for innsending av forslag	21.02.2023

Opplysninger om metoden som foreslås

1. Forslagstillers tittel på forslaget:*

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

Eculizumab til behandling av akutt trombotisk mikroangiopati hvor plasmaferese ikke er egnet behandling

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Bruk av eculizumab til langvarig bruk ved atypisk hemolytisk uremisk syndrom (aHUS) ble besluttet ikke-innført i Beslutningsforum 26.09.2022. Dette vedtaket medfører at nye pasienter som utvikler akutt trombotisk mikroangiopati ikke kan få behandling med eculizumab.

De kliniske fagmiljø er bekymret for dette da kortvarig bruk av eculizumab ofte vil være livreddende for alvorlig syke unge pasienter (ofte barn) og beheftet med betydelig mindre risiko enn alternativet som er plasmautskifting der man også fjerner viktige plasmaproteiner som koagulasjonsfaktorer og immunglobuliner. De kliniske fagmiljø ber derfor om gruppeunntak for eculizumab ved akutt debut av trombotisk mikroangiopati hvor det er grunn til å mistenke aHUS og hos pasienter hvor behandling med plasmaferese ikke er egnet behandling. Bruk av eculizumab på slik indikasjon bør forsøkes avsluttet så raskt som mulig i tråd med kriterier for videreføring og avslutning av eculizumab gitt av de regionale fagdirektører i brev 21.02.2023

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

Metodevurderingen adresserer en undergruppe av indikasjonen aHUS som fikk en nei-beslutning i Beslutningsforum 26.09.2022.

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

Intervensjon er behandling med eculizumab etter protokoll for aHUS.

Relevant komparator er trolig plasmaferese, men denne komparatoren er kun tilgjengelig i historiske kohorter.

Outcome er pasientoverlevelse, og evnt også andelen som trenger å fortsette med behandling etter den akutte fasen.

*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.

5. Kort beskrivelse av dagens tilbud (Hvilken metode 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 medikamentet ble tilgjengelig for ca 10 år siden og frem til nå har medikamentet vært brukt med svært god effekt. Men etter nei-beslutning er eneste innførte alternativ plasmaferesebehandling. Dette er en svært krevende behandling pga komplikasjoner med blødning, trombose ved dialysekateter, infeksjon etc.

- | 6. Forslaget gjelder: | Ja | Nei |
|------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------|-------------------------------------|
| En metode som er aktuell for spesialisthelsetjenesten | <input type="checkbox"/> | <input checked="" type="checkbox"/> |
| En ny og innovativ metode | <input type="checkbox"/> | <input checked="" type="checkbox"/> |
| Et nytt bruksområde, eller en ny indikasjon for en etablert metode | <input type="checkbox"/> | <input checked="" type="checkbox"/> |
| En sammenligning mellom flere metoder | <input type="checkbox"/> | <input checked="" type="checkbox"/> |
| Er metoden tatt i bruk? | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Hvis ja – metode er tatt i bruk i klinisk praksis | <input checked="" type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Hvis ja – metode er tatt i bruk innen forskning/utprøving | <input checked="" type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Revurdering/utfasing av en metode som er tatt i bruk i klinisk praksis | <input type="checkbox"/> | <input checked="" type="checkbox"/> |

Eventuelle kommentarer til bruken av metoden:

Metoden har vært i bruk i Norge i cirka 10 år frem til nei-beslutning 26.09.2022

7. Hva omfatter metoden som foreslås (flere kryss mulig)?

- Legemiddel
- Medisinsk utstyr som er CE-merket*

*Angi klassifisering og bruksområde:

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

8. Finansieringsansvar Ja Nei
- Har spesialisthelsetjenesten et finansieringsansvar for metoden i dag?
- Vil spesialisthelsetjenesten kunne få finansieringsansvar for metoden?

Eventuelle kommentarer:

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

Angi eventuelt hvilke og kommenter eventuelt behov for endringer:

10. Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)? Ja Nei
-

Angi eventuelt type strålekilde, utstyr og stråleeksponering:

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

Nyremedisin, blodsykdommer og barnesykdommer.

Pasienter med akutt trombotisk mikroangiopati som ikke egner seg for plasmaferese er oftest barn eller ungdom og har svært dårlig prognose ubehandlet.

12. Hvilke aspekter er relevante for metodevurderingen? (flere kryss mulig)

- Klinisk effekt
- Sikkerhet/bivirkninger

Kostnader/ressursbruk	<input checked="" type="checkbox"/>
Kostnadseffektivitet	<input checked="" type="checkbox"/>
Organisatoriske konsekvenser	<input type="checkbox"/>
Etiske	<input type="checkbox"/>
Juridiske	<input type="checkbox"/>

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

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

Svært alvorlig sykdom, variasjon mellom subgrupper. De med dårligst prognose progredierer ofte til død eller kronisk alvorlig nyresvikt i løpet av et år, mens andre subgrupper ofte overlever men med høy risiko for alvorlig trombotiske hendelser.

Forventet effekt

Svært god.

Sikkerhet og bivirkninger

I praksis svært få

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

1-5 pasienter per år i Norge

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Noe usikkert da de fleste pasienter trolig raskt kan slutte med behandlingen, men det må forventes at 1-2 pasienter må fortsette.

14. Oppgi referanser til dokumentasjon om metodens effekt og sikkerhet (eks. tidligere metodevurderinger). (Inntil 10 sentrale referanser oppgis. Ikke send vedlegg nå.)

Metodevurdering med ID2020_003

UpToDate. Complement-mediated hemolytic uremic syndrome in children.

https://www.uptodate.com/contents/complement-mediated-hemolytic-uremic-syndrome-in-children?search=acute%20tma&topicRef=114693&source=see_link#H1311837247

Fakhouri et al. Eculizumab discontinuation in children and adults with atypical hemolytic-uremic syndrome: a prospective multicenter study. Blood 2021; 137: 2438-2449.

Ariceta et al. Eculizumab discontinuation in atypical haemolytic uraemic syndrome: TMA recurrence risk and renal outcomes. CKJ 2021; 14: 2075-2084

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

Alexion. Ny leverandør Amgen vil komme med produkt.

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

Ja, dette foreligger

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

18. 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 forbindelse med, eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.)

Forslagsstiller er fagdirektør i Helse Vest og fremmer forslaget på vegne av de interregionale fagdirektørene. Ingen økonomiske interesser.