

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	Anne Marthe Ringerud
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Sykehusinnkjøp HF, divisjon legemidler
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	anne.marthe.ringerud@sykehusinnkjop.no
Dato for innsending av forslag	

Opplysninger om metoden som foreslås

1. Forslagsstillers tittel på forslaget:*

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

Elosulfase alfa (Vimizim) til behandling av mukopolysakkaridose type IVA (Morquio A-syndrom, MPS IVA) hos pasienter i alle aldre.

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Enzymerstatningsterapi (ERT). MOS IVA er en arvelig stoffskiftesykdom som først og fremst rammer skjelett og bindevev, men også mange organsystemer i kroppen. Kognitiv utvikling er som regel normal. Årsaken til sykdommen er mangel på et enzym (et protein) som er nødvendig for å bryte ned komplekse sukkerproteinforbindelser.

Behandling med Elosulfase alfa (Vimizim) tilfører cellene manglende aktivt enzym.

Vimizim fikk markedsføringstillatelsen i 2014. Anbefalt dosering 2 mg/kg kroppsvekt administrert én gang ukentlig.

Årskostnad til behandling (40kg kroppsvekt): 1 hetteglass (maks AUP 10 315,80) gir 5 mg, pr uke behov for 16 hetteglass jfr SPC (165 052 pr uke, pr 52 uker = 8,58 millioner NOK.

Morquios sykdom er sjeldent forekommende. Den finnes hos 1/270 000 personer. I Norge kjenner vi i 2019 til nærmere 20 personer med sykdommen.

Tall fra Reseptregisteret viser at antall brukere har økt fra 6 i 2016, 10 i 2017 og 12 i 2018. Omsetning i 2018 var på 74 millioner. Kostnad pr bruker i 2018 var da 6,2 millioner NOK (gjennomsnitt)

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

Elosulfase alfa (Vimizim) ble tatt i bruk hos pasienter med MPS IVA via ordningen med individuell stønad, finansieringen ble overført til regionale helseforetak fra 1.2.2019. Metoden er ikke metodevurdert.

Det er behov for å vurdere relativ effekt av behandling med elosulfase alfa. Det er også behov for å vurdere om de svært høye kostnadene til behandling står i forhold til effekten.

Sykdomsbildet ved MPS IVA er heterogent, Det er en glidende overgang fra alvorlige og tidlig debuterende former med rask sykdomsutvikling til mindre alvorlige former med senere utvikling av symptomer. Det er behov for å vurdere eventuelle kriterier for behandling med ERT.

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.*

Metodevurderingen bør inneholde en sammenligning av ERT og standard støttebehandling ved MPS IVA, både med hensyn til relativ effekt på kliniske relevante endepunkt og kostnader knyttet til behandlingen.

*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?)

ERT (Vimizim) har vært tilgjengelig siden 2014 via ordningen med individuell refusjon. Ifølge SPC er effekten av Vimizim vurdert i kliniske studier der primære og sekundære endepunkt har vært endring i 6-minutters gangtest (meter) og 3-minutters trappegåing (trapper/minutt), samt KS-konsentrasjon i urin fra baseline til uke 24.

6. Forslaget gjelder:	Ja	Nei
En metode som er aktuell for spesialisthelsetjenesten	☒	☐
En ny og innovativ metode	☒	☐
Et nytt bruksområde, eller en ny indikasjon for en etablert metode	☒	☐
En sammenligning mellom flere metoder	☒	☐
Er metoden tatt i bruk?	☒	☐
Hvis ja – metode er tatt i bruk i klinisk praksis	☒	☐
Hvis ja – metode er tatt i bruk innen forskning/utprøving	☐	☐
Revurdering/utfasing av en metode som er tatt i bruk i klinisk praksis	☐	☐

Eventuelle kommentarer til bruken av metoden:

Leverandøren har ikke levert dokumentasjon til en metodevurdering innenfor Folketrygdfinansieringssystemet (blåresept)

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:

Finansieringsansvar overført til RHF 1.2.2019

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?))

Flere, blant annet (barne)nevrologi

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

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

Juridiske



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

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

Varierende, Forventet levealder er avhengig av alvorlighetsgraden av sykdommen, med en betydelig forkortet levealder for de med alvorlig sykdom. Det er likevel rapportert om personer som har hatt tilnærmet normal levealder og som har blitt over 70 år gamle.

Forventet effekt

Usikker relativ effekt og klinisk relevant effekt.

Sikkerhet og bivirkninger

Metoden har MT

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Opptil 20 personer (2019)

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Omsetning av Vimizim 2018 var på 74 millioner, fordelt på 12 brukere (kilde Reseptregisteret)

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

Informasjon om sykdommen: <https://frambu.no/diagnose/morquios-sykdom/>

Tidligere bestilling av metodevurdering: <https://nyemetoder.no/metoder/elosulfase-alfa-vimizim>

Preparatomtalen: https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/vimizim-epar-product-information_no.pdf

NT-rådets anbefaling (Sverige)

[https://janusinfo.se/download/18.1dfa69ad1630328ad7c42d60/1535626543451/Elosulfas-alfa-\(Vimizim\)150422.pdf](https://janusinfo.se/download/18.1dfa69ad1630328ad7c42d60/1535626543451/Elosulfas-alfa-(Vimizim)150422.pdf)

NICE guidance: <https://www.nice.org.uk/guidance/hst2/chapter/1-Guidance>

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

BioMarin International Limited

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

Metoden har MT

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

Metodevurdering ble bestilt 16.6.2014, men oppdraget ble avsluttet 27.4.2015 med referanse til at det bare er legemidler som de regionale helseforetakene har finansieringsansvar for som skal metodevurderes og behandles i beslutningsforum for nye metoder. Finansieringsansvaret er nå hos RHF og det er dermed behov for metodevurdering.

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.)

Ansatt i Sykehusinnkjøp.