

Innkalling til møte i Bestillerforum for nye metoder

Sted: Fysisk på Grev Wedels plass i Oslo og mulighet for digital deltakelse

Tidspunkt: Mandag 16.03.2026 kl. 10:00- 12:00.

Beslutningstakere: Helse Vest RHF v/ Leder i Bestillerforum, Fagdirektør Bjørn Egil Vikse

Helse Midt-Norge RHF v/ Fagdirektør Trude Basso

Helse Nord RHF v/ Konst. fagdirektør Synøve Kalstad

Helse Sør-Øst RHF v Fagdirektør Ulrich Spreng

Helsedirektoratet v/ Seniorrådgiver Ingvild Grendstad

Helsedirektoratet v/ Seniorrådgiver Hege Wang

Kopi: Folkehelseinstituttet v/ Fagdirektør Hilde Ristad

Direktoratet for medisinske produkter v/ Enhetsleder Elisabeth Bryn

Direktoratet for medisinske produkter v/ Seniorrådgiver Kirsti Hjelme

Direktoratet for medisinske produkter v/ Fung. enhetsleder Carolin Hagen

Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet v/ Fagdirektør Eva Friberg

Sykehusinnkjøp HF, v/ Fagsjef Christina Sivertsen

Helse Sør-Øst RHF, v/ Prosjektdirektør Ole Tjomsland

Helse Vest RHF v/ Rådgiver Marianne Saugestad

Helse Nord RHF v/ Seniorrådgiver André Engesland

Helse Midt-Norge RHF v/ Seniorrådgiver Ingvild Klevan

Brukerrepresentant Linda Haugland

Brukerrepresentant Faridah S. Nabaggala

Sekretariatet Nye metoder v/ Enhetsleder Ellen Nilsen

Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Barbra Schjoldager Frisvold

Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Helene Örhagen

Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Karianne Mollan Tvedt

Sekretariatet Nye metoder v/ Medisinsk rådgiver Michael Vester

Saksliste

Velkommen v/leder av Bestillerforum for nye metoder, fagdirektør Bjørn Egil Vikse.

Saksnummer	Sakstittel	Type sak
Sak 036-26	Protokoll fra møte 09.02.2026.	Til godkjenning.
Sak 037-26	Anmodning: ID2025_105 Mepolizumab (Nucala) til behandling av voksne som et tilleggsmiddel for vedlikeholdsbehandling av ukontrollert kronisk obstruktiv lungesykdom (KOLS) kjennetegnet av forhøyede blod-eosinofiler i kombinasjon med en inhalert kortikosteroid (ICS), en langtidsvirkende beta2-agonist (LABA) og en langtidsvirkende muskarinantagonist (LAMA). Eller på en kombinasjon av en langtidsvirkende beta2-agonist (LABA) og en langtidsvirkende muskarinantagonist (LAMA) -dersom bruk av ICS er uegnet -og Roflumilast.	Til drøfting.
Sak 038-26	Anmodning: ID2025_106 Mirdametinib (Ezmekly) som monoterapi til behandling av symptomatiske, inoperable pleksiforme neurofibromer (PN) hos pediatriske og voksne pasienter med neurofibromatose type 1 (NF1) i alderen 2 år og eldre.	Til drøfting.
Sak 039-26	Anmodning: ID2025_107 Nirogacestat (Ogsiveo) som monoterapi til behandling av voksne pasienter med	Til drøfting.

	progresierende desmoide tumorer som krever systemisk behandling.	
Sak 040-26	Anmodning: ID2025_104 Rilzabrutinib (Wayrilz) til behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) hos voksne pasienter som er refraktære overfor annen behandling.	Til drøfting.
Sak 041-26	Anmodning: ID2026_011 Nivolumab (Opdivo) i kombinasjon med doxorubicin, vinblastine og dacarbazine (AVD) for voksne og ungdommer på 12 år og eldre med tidligere ubehandlet stadium III eller IV klassisk Hodgkins lymfom.	Til drøfting.
Sak 042-26	Anmodning: ID2022_100 Lanadelumab (Takhzyro) til rutinemessig forebygging av residiverende anfall av arvet angioødem hos pasienter som er 12 år eller eldre. Anmodningen gjelder indikasjon utvidelse til bruk også hos pasienter som er 2-11 år.	Til drøfting.
Sak 043-26	Forslag: ID2025_109 DynamX koronarstent (implantat) til perkutan koronar intervensjon (PCI).	Til drøfting.
Sak 044-26	Forslag: ID2025_079 Tiratrikol (Emcitate) til behandling av perifer tyreotoksikose (unormalt høye nivåer av sirkulerende skjoldbruskhormoner) hos pasienter med MCT8-mangel (Allan-Herndon-Dudley syndrom).	Til drøfting.
Sak 045-26	Forslag: ID2021_123 Temperaturregulert laminær luftstrøm (TLA-behandling) behandling av alvorlige allergiske sykdommer som alvorlig allergisk astma og atopisk dermatitt (eksempel på produkt Airsonett Air 4).	Til drøfting.
Sak 046-26	Oppdrag: ID2025_019 Kunstig intelligens (KI)-basert analyse av video- og lydopptak av epileptiske anfall (Nelli®). Avklaring prosess. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter.	Til drøfting.
Sak 047-26	Oppdrag: ID2019_099 Apremilast (Otezla) til behandling av voksne med sår i munnen assosiert med Behçets sykdom (BD), som er aktuelle for systemisk behandling. Innspill fra Helse Midt Norge RHF.	Til drøfting.
Sak 048-26	Oppdrag: ID2024_082. Anmodninger der dokumentasjon ikke er levert av leverandør. Forslag om avbestilling av oppdrag. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter, Sykehusinnkjøp HF og sekretariatet for Nye metoder.	Til drøfting.
Sak 049-26	Videreutvikling: HTAR for medisinsk utstyr - Joint Clinical Assessment (JCA) for medisinske utstyr (MD) og in vitro-diagnostikk (IVD). Notat fra Direktoratet for medisinske produkter.	Til drøfting
Sak 050-26	Videreutvikling: HTAR for legemidler - Status til Bestillerforum om HTAR-arbeidet for legemidler i Nye metoder. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter og Sekretariatet for Nye metoder.	Til orientering.
Sak 051-26	Eventuelt	

Bestillerforum for nye metoder 09.02.2026 – Protokoll

Sted: Heldigitalt møte (Teams)
Tidspunkt: Mandag 09.02.2026 kl. 10:00- 11:30

Deltakere

Helse Vest RHF v/ Leder i Bestillerforum, Fagdirektør Bjørn Egil Vikse
Helse Midt-Norge RHF v/ Fagdirektør Trude Basso
Helse Nord RHF v/ Konst. fagdirektør Synøve Kalstad
Helse Sør-Øst RHF v Fagdirektør Ulrich Spreng
Helsedirektoratet v/ Seniorrådgiver Ingvild Grendstad
Helsedirektoratet v/ Seniorrådgiver Hege Wang
Folkehelseinstituttet v/ Fagdirektør Hilde Risstad
Folkehelseinstituttet v/ Ingeborg Beate Lidal på sak 031-26
Direktoratet for medisinske produkter v/ Enhetsleder Elisabeth Bryn
Direktoratet for medisinske produkter v/ Seniorrådgiver Kirsti Hjelme
Direktoratet for medisinske produkter v/ Enhetsleder Martin Lerner
Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet v/ Fagdirektør Eva Friberg
Sykehusinnkjøp HF, v/ Fagsjef Christina Sivertsen
Helse Vest RHF v/ Rådgiver Marianne Saugestad
Helse Nord RHF v/ Seniorrådgiver André Engesland
Helse Midt-Norge RHF v/ Seniorrådgiver Ingvild Klevan
Brukerrepresentant Linda Haugland
Brukerrepresentant Faridah S. Nabaggala
Sekretariatet Nye metoder v/ Enhetsleder Ellen Nilsen
Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Barbra Schjoldager Frisvold
Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Helene Örtthagen
Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Karianne Mollan Tvedt
Sekretariatet Nye metoder v/ Medisinsk rådgiver Michael Vester

Saksliste

Saks-nummer	Sakstittel	Beslutninger
Sak 022-26	Protokoll fra møte 19.01.2026.	Beslutning Protokollen fra møtet den 19.01.2026 ble godkjent.
Sak 023-26	Anmodning: ID2025_101 Pembrolizumab (Keytruda) i kombinasjon med paklitaksel, med eller uten bevacizumab, til behandling av platinaresistent epitelial eggstokkreft, egglederkreft, eller primær peritonealkarsinom hos voksne med tumor som uttrykker PD-L1 med CPS ≥ 1 og som har fått én	Metode ID2025_101 Pembrolizumab (Keytruda) i kombinasjon med paklitaksel, med eller uten bevacizumab, til behandling av platinaresistent epitelial eggstokkreft, egglederkreft, eller primær peritonealkarsinom hos voksne med tumor som uttrykker PD-L1 med CPS ≥ 1 og som har fått én eller to tidligere systemiske behandlingsregimer.

	eller to tidligere systemiske behandlingsregimer.	Kommentar/begrunnelse Direktoratet for medisinske produkter (DMP) har opplyst saken i egnethetsvurderingen. Beslutning En metodevurdering, med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse), basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør, gjennomføres av Direktoratet for medisinske produkter (DMP). Et tilhørende prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.
Sak 024-26	Anmodning: ID2025_100 Humant koagulasjonsaktivt plasma (Octaplasma) ved sammensatt mangel på koagulasjonsfaktorer (koagulopati), spesielt ved ukontrollerbar massiv blødning (hemoragisk sjokk) og traumeindusert koagulopati behandlet prehospitalt over lengre tid. Frysetørket formulering med blodtype AB.	Metode ID2025_100 Humant koagulasjonsaktivt plasma (Octaplasma) ved sammensatt mangel på koagulasjonsfaktorer (koagulopati), spesielt ved ukontrollerbar massiv blødning (hemoragisk sjokk) og traumeindusert koagulopati behandlet prehospitalt over lengre tid. Frysetørket formulering med blodtype AB. Kommentar/begrunnelse Direktoratet for medisinske produkter (DMP) har opplyst saken i egnethetsvurderingen. Bestillerforum for nye metoder vurderer at en metodevurdering i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker. Beslutning Et prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.
Sak 025-26	Anmodning: ID2021_048 Berotralstat (Orladeyo) til rutinemessig forebygging av tilbakevendende anfall av arvelig angioødem (HAE) hos barn i alderen 2 til under 12 år (aldersutvidelse).	Metode ID2021_048 Berotralstat (Orladeyo) til rutinemessig forebygging av tilbakevendende anfall av arvelig angioødem (HAE) hos barn i alderen 2 til under 12 år. Kommentar/begrunnelse Anmodningen gjelder en aldersutvidelse. Beslutning Et prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.

		Leverandør bes ta kontakt med Sykehusinnkjøp HF når de får opinion i EMA (det europeiske legemiddelbyrået).
Sak 026-26	Anmodning: ID2026_003 Gentamicin for behandling av alvorlige, livstruende infeksjoner hos voksne og barn fra fødselen, der mindre toksiske antimikrobielle legemidler ikke er effektive, spesielt hvis etiologien er ukjent, eller hvis det er mistanke om sepsis forårsaket av gramnegative bakterier.	Metode ID2026_003 Gentamicin for behandling av alvorlige, livstruende infeksjoner hos voksne og barn fra fødselen, der mindre toksiske antimikrobielle legemidler ikke er effektive, spesielt hvis etiologien er ukjent, eller hvis det er mistanke om sepsis forårsaket av gramnegative bakterier. Beslutning Et prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.
Sak 027-26	Anmodning: ID2026_004 Levofloksacinhemihydrat (Levonic) til behandling av voksne med følgende infeksjoner - samfunnservert lungebetennelse, -kompliserte hud- og bløtvevsinfeksjoner.	Metode ID2026_004 Levofloksacin til behandling av voksne med følgende infeksjoner -samfunnservert lungebetennelse, -kompliserte hud- og bløtvevsinfeksjoner. Beslutning Et prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.
Sak 028-26	Forslag: ID2022_135 Ponatinib (Iclusig) til Philadelphiakromosom-positiv akutt lymfatisk leukemi.	Metode ID2022_135 Ponatinib (Iclusig) i kombinasjon med kjemoterapi med redusert intensitet hos voksne pasienter med nylig diagnostisert til Philadelphiakromosom-positiv akutt lymfatisk leukemi (Ph+ ALL). Kommentar/begrunnelse Direktoratet for medisinske produkter (DMP) har opplyst saken i egnethetsvurderingen. Det foreligger nå en positiv opinion fra det europeiske legemiddelbyrået (EMA). Beslutning En metodevurdering basert på tilgjengelig dokumentasjon gjennomføres av Direktoratet for medisinske produkter (DMP). Et tilhørende prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.
Sak 029-26	Forslag: ID2025_102 Endoskopisk ryggkirurgisk prosedyre.	Metode ID2025_102 Endoskopisk ryggkirurgisk prosedyre ved skiveprolaps og foraminal og sentral spinal stenose.

		Beslutning En fullstendig metodevurdering av endoskopisk ryggkirurgisk prosedyre som supplement til dagens behandling gjennomføres ved Direktoratet for medisinske produkter (DMP). Populasjon må defineres nærmere i samarbeid med fageksperter. DMP avstemmer populasjonen med Bestillerforum for nye metoder underveis i arbeidet. Metodevurderingen skal inkludere vurderinger av effekt, sikkerhet og helseøkonomi, samt organisatoriske konsekvenser ved en eventuell innføring. Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet involveres i arbeidet. Et tilhørende prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.
Sak 030-26	Metode: ID2022_064 Alglukosidase alfa (Myozyme) til langsiktig enzymerstatningsterapi, hos voksne og pediatriske pasienter i alle aldre, med en bekreftet diagnose på Pompes sykdom (syre-alfaglukosidasemangel).	Metode ID2022_064 Alglukosidase alfa (Myozyme) til langsiktig enzymerstatningsterapi, hos voksne og pediatriske pasienter i alle aldre, med en bekreftet diagnose på Pompes sykdom (syre-alfaglukosidasemangel). Beslutning En metodevurdering basert på tilgjengelig dokumentasjon gjennomføres av Direktoratet for medisinske produkter (DMP). Et tilhørende prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.
Sak 031-26	Oppdrag: ID2025_012 Early Intensive Behavioral Intervention (EIBI) ved autisme hos barn i førskolealder. Kartlegging fra Folkehelseinstituttet.	Metode ID2025_012 Early intensive behavioral intervention (EIBI), tidlig intensiv adferdsanalytisk behandling og andre sammensatte tiltak basert på prinsipper fra utviklingspsykologi og anvendt atferdsanalyse til barn 0-6 år med en autismediagnose. Kommentar/begrunnelse Folkehelseinstituttet har opplyst saken i kartleggingen. Beslutning Bestillerforum for nye metoder utkvitterer kartleggingen. Kartleggingen kan

		publiseres. En metodevurdering uten en helseøkonomisk analyse gjennomføres av Folkehelseinstituttet (FHI). Metodevurderingen skal inkludere vurderinger av effekt og sikkerhet av Early intensive behavioral intervention (EIBI) og Naturalistic Developmental Behavioral Interventions (NDBIs). Metodevurderingen skal også inneholde beregninger av personellbruk i helsetjenesten og andre aktuelle sektorer (for eksempel utdanningssektoren), samt beregninger av organisatoriske konsekvenser. Eventuelle subgrupper med mereffekt skal belyses. FHI skal innhente innspill fra fagdirektørene i helseforetakene til arbeidet – innspillsrunde gjennomføres ved hjelp av de regionale fagdirektørene.
Sak 032-26	Oppdrag: ID2024_077 Seladelpar (Lyvdelzi) til behandling av primær biliær kolangitt (PBC) i kombinasjon med ursodeoksykolsyre (UDCA) hos voksne som har utilstrekkelig respons på UDCA, eller som monoterapi hos pasienter som ikke kan tolerere UDCA. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter.	Metode ID2024_077 Seladelpar (Lyvdelzi) til behandling av primær biliær kolangitt (PBC) i kombinasjon med ursodeoksykolsyre (UDCA) hos voksne som har utilstrekkelig respons på UDCA, eller som monoterapi hos pasienter som ikke kan tolerere UDCA. Kommentar/begrunnelse Leverandør har ikke levert dokumentasjon til hele oppdraget. Leverandør, pasientforening og fagmiljø har sendt innspill til saken som ble gjennomgått i møtet. Direktoratet for medisinske produkter (DMP) har opplyst saken i et notat til Bestillerforum for nye metoder. Beslutning Et tilhørende prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.
Sak 033-25	Årsoppsummering Nye metoder 2025.	Beslutning Bestillerforum for nye metoder tar saken til orientering.
Sak 034-25	Utsatt sak fra 19.01.2026 – Sak 020-26: Videreutvikling: Brukerstemmen i Nye metoder	Kommentar/begrunnelse

	2025 – oppsummering og oppfølging av innspill. Notat fra sekretariatet.	Bestillerforum for nye metoder drøftet saken og innspillene fra Brukerstemmen i møtet. Innspillene fra Brukerstemmen følges opp i den pågående videreutviklingen av Nye metoder, blant annet gjennom kommunikasjonsarbeidet i Nye metoder og oppdraget om legitimitet og tillit. Direktoratet for medisinske produkter tar med seg innspillet om økt brukervedvirkning i metodevurderinger. Beslutning Bestillerforum for nye metoder tar oppsummeringen fra Brukerstemmen til orientering og støtter at innspillene følges opp i videreutviklingsarbeidet.
Sak 035-26	Eventuelt	Det var ingen saker til eventuelt.

Saksnummer 037-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2025_105 Mepolizumab (Nucala) til behandling av voksne som et tilleggsmiddel for vedlikeholdsbehandling av ukontrollert kronisk obstruktiv lungesykdom (KOLS) kjennetegnet av forhøyede blod-eosinofiler i kombinasjon med en inhalert kortikosteroid (ICS), en langtidsvirkende beta2-agonist (LABA) og en langtidsvirkende muskarinantagonist (LAMA). Eller på en kombinasjon av en langtidsvirkende beta2-agonist (LABA) og en langtidsvirkende muskarinantagonist (LAMA) -dersom bruk av ICS er uegnet - og Roflumilast

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren som søker om markedsføringstillatelse (MT): GSK.
- Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse.
- Administrasjonsform: injeksjonsvæske, oppløsning i ferdigfylt penn / sprøyte.
- Farmakoterapeutisk gruppe: immunosuppressiva, Interleukin-5 (IL-5) hemmere.
- Det aktuelle virkestoffet er tidligere behandlet i Nye metoder og innført til andre indikasjoner ([ID2021_017](#), [ID2021_016](#), [ID2016_089](#)).
- Det foreligger bestilling for dupilumab (Dupixent) for KOLS, [ID2024_046](#), som har lignende virkningsmekanisme og flere tilsvarende indikasjoner. Denne er ikke besluttet per 03.03.2026. Leverandør mener at disse er faglig likeverdige med hverandre for KOLS (dupilumab og mepolizumab).
- Anbud: Leverandør skriver at Sykehusinnkjøp legger opp til at neste alvorlig astma anbud også skal inkludere biologisk behandling for KOLS, noe som forutsetter faglig likeverdige alternativer.
- Markedsføringstillatelse (MT) i Norge forventes i februar 2026.
- Legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen: Legemidlet kan bli brukt hos voksne med ukontrollert KOLS og høye blod-eosinofiler, som tillegg til vanlig vedlikeholdsbehandling med ICS, LABA og LAMA.
- Sykdomsbeskrivelse: Kronisk obstruktiv lungesykdom (KOLS) er en heterogen lungetilstand preget av kronisk luftveissymptomer (dyspné, hoste, sputumproduksjon, eksaserbasjoner) på grunn av abnormiteter i luftveiene (bronkitt, bronkiolitt) og/eller alveoler (emfysem) som forårsake vedvarende, ofte progressive, luftstrømhindringer.
- Dagens behandling: en kombinasjon med en inhalert kortikosteroid (ICS), en langtidsvirkende beta2-agonist (LABA) og en langtidsvirkende muskarinantagonist (LAMA). Dersom bruk av ICS er uegnet i tilfelle en kombinasjon av en langtidsvirkende beta2-agonist (LABA) og en langtidsvirkende muskarinantagonist (LAMA) Roflumilast kan også være aktuelt for noen pasienter. Behandling av forverring av KOLS: orale kortikosteroider og antibiotika.
- Prognose: Kolspasientene som er aktuelle for tilleggsbehandling av Nucala er blant de mest alvorlig syke kolspasientene og har en dårlig prognose. Se detaljer i anmodningsskjema.
- Pasientgrunnlag: Det er usikkert hvor stor pasientgruppen for indikasjonen er, og eventuelle tilgangskriterier kan ytterligere begrense antallet som får behandling. Det gjør det vanskelig å estimere hvor mange som vil få tilgang til biologisk behandling for KOLS.
- Leverandør foreslår at mepolizumab bør følge et enkelt løp fordi det anses som et faglig likeverdig alternativ til dupilumab for KOLS. Siden dupilumab allerede er under vurdering som det første biologiske legemidlet for KOLS, og vurderes etter en fullstendig

kostnad-per-QALY-analyse, fremstår det som unødvendig bruk av ressurser å kreve en tilsvarende omfattende analyse for mepolizumab.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (vedlagt):

- MT gitt 04.02.2026.
- Gis hver 4. uke, subkutan injeksjon. Langtidsbehandling.
- DMP har nylig gjennomført metodevurdering av [ID2024_046 dupilumab \(Dupixent\)](#) til samme indikasjon som den anmodede bruken av mepolizumab. Dupilumab hemmer IL-4 og IL-13.
- Dupilumab og mepolizumab er i dag inkludert i samme anbudsgruppe innenfor alvorlig astma.
- GSK mener at mepolizumab er et faglig likeverdig behandlingsalternativ til dupilumab også til behandling av KOLS. Av denne grunn mener GSK at man kan se hen til metodevurderingen av dupilumab ved KOLS og en antagelse om faglig likeverdighet. GSK skisserer ingen innsendelse av dokumentasjon til metodevurdering hos DMP.
- Vurdering og anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter: Det foreligger en metodevurdering av dupilumab for tilsvarende indikasjon (ID2024_046). Det er foreløpig ikke fattet beslutning i Nye metoder i denne saken. DMP vurderer at 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 (kostnad-per-QALY-analyse).

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: 1 innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- 1 innspill (Norsk forening for lungemedisin).

Innspill fra Helsedirektoratet:

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Nasjonal faglig retningslinje for KOLS kan bli påvirket.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret overført til RHF-ene 01.01.2018.

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.

Utfylt 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 \(nyemetoder.no\)](#)

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: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	GSK
1.2 Navn kontaktperson	Anders K. Hansen
1.3 Stilling kontaktperson	Helseøkonom
1.4 Telefon	928 61 098
1.5 E-post	Anders.k.hansen@gsk.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?	Kronisk obstruktiv lungesykdom (kols)

<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>	Estimert ordlyd: <i>Nucala er indikert hos voksne som et tilleggsmiddel for vedlikeholdsbehandling av ukontrollert kronisk obstruktiv lungesykdom (KOLS) kjennetegnet av forhøyede blod-eosinofiler i kombinasjon med en inhalert kortikosteroid (ICS), en langtidsvirkende beta2-agonist (LABA) og en langtidsvirkende muskarinantagonist (LAMA). Eller på en kombinasjon av en langtidsvirkende beta2-agonist (LABA) og en langtidsvirkende muskarinantagonist (LAMA) -dersom bruk av ICS er uegnet -og Roflumilast.</i> <i>Nucala is indicated in adults as an add-on maintenance treatment for uncontrolled chronic obstructive pulmonary disease (COPD) characterized by raised blood eosinophils on a combination of an inhaled corticosteroid (ICS), a long-acting beta2-agonist (LABA), and a long-acting muscarinic antagonist (LAMA). Or on a combination of a long-acting beta2-agonist (LABA), and a long-acting muscarinic antagonist (LAMA) -in case the use of ICS is not recommended -and Roflumilast.</i>
2.3 Handelsnavn	Nucala
2.4 Generisk navn/virkestoff	Mepolizumab
2.5 ATC-kode	R03D X09
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingslengde</i> <i>Skriv kort</i>	INJEKSJONSVÆSKE, oppløsning i ferdigfylt penn 100 mg: Hver ferdigfylt penn inneh: Mepolizumab 100 mg, sukrose, natriumfosfatdibasisk heptahydrat, sitronsyremonohydrat, polysorbat 80, dinatriumedetat, vann til injeksjonsvæsker. INJEKSJONSVÆSKE, oppløsning i ferdigfylt sprøyte 40 mg og 100 mg: Hver ferdigfylt sprøyte inneh: Mepolizumab 40 mg, resp. 100 mg, sukrose, natriumfosfatdibasisk heptahydrat, sitronsyremonohydrat, polysorbat 80, dinatriumedetat, vann til injeksjonsvæsker. NB! Kun 100 mg aktuell for omsøkte indikasjon

2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Farmakoterapeutisk Gruppe for Nucala (KOLS-indikasjon): Nucala (mepolizumab) tilhører farmakoterapeutisk gruppe av immunsuppressiva, spesifikt Interleukin-5 (IL-5) hemmere. Det er klassifisert som et anti-astmatisk og antiinflammatorisk middel. Virkningsmekanisme for Nucala ved KOLS: Nucala er et monoklonalt antistoff som retter seg mot og hemmer interleukin-5 (IL-5), et cytokin involvert i vekst, differensiering, rekruttering, aktivering og overlevelse av eosinofiler. Ved å binde seg til IL-5, forhindrer Nucala det fra å interagere med sin reseptor på overflaten av eosinofiler, noe som fører til en reduksjon i blodets eosinofilnivåer. Denne reduksjonen i eosinofiler bidrar til å redusere betennelse i luftveiene, som er en medvirkende faktor i patofysiologien til Kronisk Obstruktiv Lungesykdom (KOLS). Som et resultat bidrar Nucala til å forbedre lungefunksjonen, redusere forverringer og forbedre den generelle livskvaliteten for pasienter med KOLS som har en eosinofil fenotype.
--	--

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: ID2021_017 ID2021_016 ID2016_089
3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja ☒ Nei ☐ ID-nummer: ID2024_046
3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng? <i>Hvis ja, oppgi referanse</i>	Ja ☐ Nei ☒ 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? <i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i>	Ja ☒ Nei ☐ Dato for MT for første indikasjon: 02.12.2015
4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?	Ja ☒ Nei ☐
4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon? <i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i> <i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i> <i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i>	MT i Norge: Ja ☐ Nei ☒ Prosedyrenummer i EMA: EMA/VR/0000257645 Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Desember 2025. Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Februar 2026 Hvis metoden har MT: Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.
4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon? <i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i>	Ja ☐ Nei ☒ 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»: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.

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:

Ja, det foreligger bestilling for Dupixent (dupilumab) for kols ID2024_046, som har lignende virkningsmekanisme og flere tilsvarende indikasjoner. Denne er til vurdering hos DMP per dags dato.

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?

Ja ☒ Nei ☐

Legemiddel og ID-nummer:

Dupixent (dupilumab) for kols ID2024_046 er foreløpig til vurdering hos DMP og ikke innført.

Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder

GSK mener Nucala er et faglig likeverdig legemiddel vs. Dupixent for kols. Det legges også opp til anbud for biologisk behandling for kols, noe som forutsetter faglig likeverdige alternativer. Det bør derfor ses hen til nevnte metodevurdering av Dupixent ved beslutning om prosess for Nucala kols.

6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?

Ja ☐ Nei ☒

Kommentar:

Per i dag er det anbud for alvorlig astma for samme legemidler (ID2024_046). Sykehusinnkjøp legger opp til at neste alvorlig astma anbud også skal inkludere biologisk behandling for kols, noe som forutsetter faglig likeverdige alternativer.

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)

7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB?

Hvis nei, begrunn kort

Ja ☐ Nei ☒

Begrunnelse:

Dupixent anmodet om denne utredningen for indikasjonen kols. Det ble avslått. Da denne anmodningen gjelder samme indikasjon basert på faglig likeverdighet, mener GSK en nordisk utredning ikke er egnet.

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)?

Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA

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?

F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.

Begrunn forslaget

Dupixent er som nevnt over fortsatt til vurdering hos DMP som første biologiske legemiddel for kols. Innføring av Dupixent vurderes derfor på grunnlag av kostnad-per-QALY analyse

GSK mener at Nucala (Mepolizumab) er et faglig likeverdig behandlingsalternativ til Dupixent (dupilumab) for kols.

Selv om Dupixent formelt sett ikke er besluttet innført på anmodningstidspunktet fremstår det likevel som unødvendig bruk av både innsender og evalueringsressurser å bestille et løp med fullstendig helseøkonomisk analyse i lys av denne situasjonen.

Dokumentasjonen som følger i dette skjemaet, herunder indirekte sammenligning vs. Dupixent, bør være tilstrekkelig for å kunne vurdere legemidlene som faglig likeverdige, og det anmodes derfor om en pragmatisk tilnærming som tilsvarer et forenklet løp basert på tidlig faglig vurdering av sammenlignbarhet.

	Se også 9.3 og 14.3
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Anmodning gjelder tilsvarende populasjon som for Dupixent, det vil i utgangspunktet si kols-pasienter med forhøyede eosinofilnivåer som til tross for behandling med inhalasjonssteroid, langtidsvirkende β2-agonist (LABA) og en langtidsvirkende muskarinantagonist (LAMA), eller i en kombinasjon med en LABA og en LAMA dersom ICS er uegnet likevel har gjentakende eksaserbasjoner (ukontrollert kols til tross for inhalert trippel-behandling), og for de som bruker Roflumilast sammen med bronkodilatorer. Innenfor den foreslåtte «forenklede prosessen» ovenfor vil eventuelle refusjonskriterier som begrenser populasjonen ved innføring av Dupixent også gjelde for Nucala.
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>	MATINEE studie publikasjonen: Sciurba FC, et al. Mepolizumab to Prevent Exacerbations of COPD with an Eosinophilic Phenotype. N Engl J Med. 2025;392(17):1710-1720. doi:10.1056/NEJMoa2413181. MATINEE studie lenken: <i>Mepolizumab to Prevent Exacerbations of COPD with an Eosinophilic Phenotype</i> METREX studie publikasjonen: Pavord ID, et al. Mepolizumab for eosinophilic chronic obstructive pulmonary disease. New England Journal of Medicine. 2017 Dec 14;377(17):1613-1629. doi:10.1056/NEJMoa1709988. METREX studie lenken: <i>Mepolizumab for Eosinophilic Chronic Obstructive Pulmonary Disease - PubMed</i> METREO studie publikasjonen: Chanez P, et al. Mepolizumab for eosinophilic chronic obstructive pulmonary disease (METREO): a randomized, double-blind, placebo-controlled trial. American Journal of Respiratory and Critical Care Medicine. 2018 Sep 1;198(5):616-627. doi:10.1164/rccm.201804-0677OC METREO studie lenken: <i>Mepolizumab for Eosinophilic Chronic Obstructive Pulmonary Disease</i> Indirekte sammenligning vedlagt: konfidensiell i sin helhet i påvente av publikasjon

	Se også 14.3
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Ettersom Nucala vil konkurrere om pasienter som allerede er aktuelle for biologisk behandling mot kols vil en innføring av Nucala ikke øke legemiddelbudsjettet for omsøkte populasjon utover det som er beregnet for Dupixent. Potensielt vil Nucala være kostnadsbesparende basert på økt konkurranse i markedet. Så lenge refusjonskriteriene er ukjente, lar det seg ikke gjøre å tallfeste budsjettkonsekvensene av å innføre Nucala/biologisk behandling for kols.
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>	Det anmodes om et pragmatisk/forenklet løp basert på faglig likeverdighet og er således ikke relevant i denne saken. Da Nucala allerede har MT, kan i teorien dokumentasjon til Sykehusinnkjøp HF oversendes nå. Vi forventer imidlertid at dette først blir aktuelt når det foreligger en vurdering/beslutning for Dupixent for kols.

10 Sykdommen og eksisterende behandling	
10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon <i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptom-bilde, eventuelt inkl. referanser</i>	Kronisk obstruktiv lungesykdom (KOLS) er en heterogen lungetilstand preget av kronisk luftveissymptomer (dyspné, hoste, sputumproduksjon, eksaserbasjoner) på grunn av abnormiteter i luftveiene (bronkitt, bronkiolitt) og/eller alveoler (emfysem) som forårsake vedvarende, ofte progressive, luftstrømhindringer. Ref; GOLD. Global Strategy for the diagnosis, Management, and Prevention of Chronic Obstructive Pulmonary Disease (2026Report). 2026 GOLD Report and Pocket Guide - Global Initiative for Chronic Obstructive Lung Disease - GOLD Accessed November 26th, 2025.), Definition and Nomenclature of Chronic Obstructive Pulmonary Disease: Time for Its Revision – PubMed. MepoliPubMed. et første-i-klassen, humanisert monoklonalt antistoff som spesifikt retter seg mot IL-5. Det har blitt undersøkt som en tilleggsbehandling for pasienter med KOLS med type 2 betennelse, karakterisert ved en eosinofil fenotyp. befolkningen i MATINEE-studien inkluderte et bredt spekter av luftstrømhindringer, hele spekteret av mMRC-score og pasienter uansett av symptomer på kronisk bronkitt eller KOLS-fenotype (kun kronisk bronkitt, kun emfysem, begge eller ingen av dem).

10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Lunge- og luftveissykdommer
10.3 Kreftområde <i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i>	Velg kreftområde fra menyen: N/A
10.4 Dagens behandling <i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i>	Vedlikeholdsbehandling av ukontrollert kronisk obstruktiv lungesykdom (KOLS) kjennetegnet av forhøyede blod-eosinofiler vil typisk være en kombinasjon med en inhalert kortikosteroid (ICS), en langtidsvirkende beta2-agonist (LABA) og en langtidsvirkende muskarinantagonist (LAMA). Dersom bruk av ICS er uegnet i tilfelle en kombinasjon av en langtidsvirkende beta2-agonist (LABA) og en langtidsvirkende muskarinantagonist (LAMA) Roflumilast kan også være aktuelt for noen pasienter. Behandling av forverring av KOLS: orale kortikosteroider og antibiotika (helsedirektoratet.no).
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Kolspasientene som er aktuelle for tilleggsbehandling av Nucala er blant de mest alvorlig syke kolspasientene og har en dårlig prognose med høy dødlighet etter sykehusinnleggelse pga. eksaserbasjon: 23 % av pasientene dør innen et år etter at de ble utskrevet fra sin første forverring av KOLS som krevde sykehusinnleggelse; Referanse: Serra-Picamal X, et al. Hospitalizations due to exacerbations of COPD: A big data perspective. <i>Respir Med.</i> 2018;145:219-225. doi: 10.1016/j.rmed.2018.01.008. 10% av pasientene som er innlagt på sykehus med en akutt eksaserbasjon vil dø under sykehusoppholdet, og selv blant de «heldige» som overlever, vil et flertall oppleve bivirkninger relatert til kortikosteroider, inkludert hyperglykemi, søvnløshet, hypertensjon og vektøkning, og én av tre pasienter vil få tilbakefall og kreve et nytt sykehusinnleggelse innen 6 måneder etter utskrivelse. Referanse: Sin DD. Should COPD stand for “comorbidity-related obstructive pulmonary disease”? <i>Eur Respir J.</i> 2015;46(4):901-2. doi: 10.1183/13993003.01112-2015. 40–50 % av pasienter med KOLS døde innen 5 år etter den første alvorlige eksaserbasjonen. Referanse: Suissa S, et al. <i>Thorax</i> 2012;67:957–63.

10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Nucala kan bli brukt hos voksne med ukontrollert kols og høye blod-eosinofiler. Legemidlet skal gis som tillegg til vanlig vedlikeholdsbehandling, som vanligvis består av inhalert kortikosteroid (ICS), langtidsvirkende beta2-agonist (LABA) og langtidsvirkende muskarinantagonist (LAMA). Endelig plass i algoritmen avhenger også av tilgangsbetning og eventuelle refusjonsbegrensninger vs. indikasjonspopulasjon.
10.7 Pasientgrunnlag	Det er en del usikkerhet knyttet til størrelsen pasientpopulasjonen omfattet av indikasjonen. Det kan i tillegg tenkes at det vedtas kriterier i beslutning om tilgang, som begrenser populasjon som vil bli gitt tilgang. Det er derfor vanskelig å estimere antall pasienter som faktisk vil kunne få tilgang til biologisk behandling for sin kols. Indikasjonspopulasjonen er vesentlig begrenset versus den totale kolspopulasjonen, da det skal være kols-pasienter med forhøyede eosinofiler som fortsatt har ukontrollert kols på tross av sin vedlikeholdsbehandling bestående av en kombinasjon med inhalert kortikosteroid (ICS), en langtidsvirkende beta2-agonist (LABA) og en langtidsvirkende muskarinantagonist (LAMA).

<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>	Prevalensen og insidensen er usikker, men vi legger til grunn at prevalens og insidens for populasjonen som vurderes for tilgang også estimeres i fob. Med metodevurderingen av Dupixent. I tillegg avhenger beregningene som nevnt av eventuelle refusjonskriterier. Nedenfor følger noen tall fra oss, men dette er både usikkert, under arbeid og ufullstendig: Prevalens kols: Ca. 200 000 Diagnostisert: 140 000 Behandlet med legemidler: 110 000 Behandlet med ICS/LABA/LAMA: 40 000 Ukontrollert: Usikkert Forhøyet eosinofilnivå: Usikkert Indikasjonspopulasjon: Usikkert Insidens har ikke tallgrunnlag
---	--

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier

	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke	Studie-ID: MATINEE (Mepolizumab as Add-on Treatment in Participants with COPD Characterized by Frequent Exacerbations and Eosinophil Level) Studienavn: Mepolizumab to Prevent Exacerbations of COPD with an Eosinophilic Phenotype NCT-nummer: NCT04133909 MATINEE studie publikasjonen: Sciurba FC, et al. Mepolizumab to Prevent Exacerbations of COPD with an Eosinophilic Phenotype. N Engl J Med. 2025;392(17):1710-1720. doi:10.1056/NEJMoa2413181 MATINEE studie lenken; Mepolizumab to Prevent Exacerbations of COPD with an Eosinophilic Phenotype	Studie-ID: METREO Studienavn: Mepolizumab for Eosinophilic Chronic Obstructive Pulmonary Disease NCT-nummer: NCT02105961 METREO studie publikasjonen: Chanez P, et al. Mepolizumab for eosinophilic chronic obstructive pulmonary disease (METREO): a randomized, double-blind, placebo-controlled trial. American Journal of Respiratory and Critical Care Medicine. 2018 Sep 1;198(5):616-627. doi:10.1164/rccm.201804-0677OC METREO studie lenken: Mepolizumab for Eosinophilic Chronic Obstructive Pulmonary Disease	Studie-ID: METREX Studienavn: Mepolizumab for Eosinophilic Chronic Obstructive Pulmonary Disease NCT-nummer: NCT02105948 METREX studie publikasjonen: Pavord ID, et al. Mepolizumab for eosinophilic chronic obstructive pulmonary disease. New England Journal of Medicine. 2017 Dec 14;377(17):1613-1629. doi:10.1056/NEJMoa1709988. METREX studie lenken: Mepolizumab for Eosinophilic Chronic Obstructive Pulmonary Disease - PubMed
11.2 Studietype og -design	Studietype: Klinisk fase 3-studie. Design: Randomisert, dobbeltblindet, placebokontrollert studie. Varighet: 52 til 104 uker. Antall sentre: 344 sentre i 25 land. Behandlingsgrupper: Pasienter ble randomisert i et 1:1-forhold til å motta enten Mepolizumab (100 mg subkutan hver 4. uke) eller placebo, i tillegg til bakgrunnsbehandling med trippel inhalasjonsterapi (ICS + LABA + LAMA)	Studietype: Klinisk studie Design: Fase 3, randomisert, placebokontrollert, dobbeltblind, parallellgruppe-studie	Studietype: Klinisk studie Design: Fase 3, randomisert, placebokontrollert, dobbeltblind, parallellgruppe-studie
11.3 Formål	Primært formål: Å evaluere effekten av Mepolizumab som tillegg til trippel inhalasjonsterapi for å redusere den årlige frekvensen av moderate eller alvorlige forverringer hos pasienter med kronisk obstruktiv lungesykdom (COPD) og eosinofil fenotype. Sekundært formål: Å undersøke tiden til første moderate eller alvorlige forverring, helse-relatert livskvalitet, symptomer, og frekvensen av forverringer som fører til akuttinnleggelse eller sykehusinnleggelse.	Formål: Evaluere effekt og sikkerhet av subkutan mepolizumab (100 mg og 300 mg) sammenlignet med placebo som tillegg til inhalert trippelterapi hos pasienter med KOLS med eosinofil fenotype og en historie med moderate eller alvorlige forverringer.	Formål: Evaluere effekt og sikkerhet av subkutan mepolizumab (100 mg) sammenlignet med placebo som tillegg til inhalert trippelterapi hos pasienter med KOLS med eosinofil fenotype og en historie med moderate eller alvorlige forverringer

11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	Målgruppe: Pasienter med moderat til svært alvorlig kronisk obstruktiv lungesykdom (COPD) og eosinofil fenotype. Antall pasienter: Totalt 804 pasienter (403 i Mepolizumab-gruppen og 401 i placebo-gruppen) Inklusjonskriterier: Alder ≥ 40 år. Diagnostisert med COPD minst ett år før screening. Blodeosinofilnivå: ≥ 300 celler/μL ved screening. Dokumentert historisk nivå ≥ 150 celler/μL i løpet av de siste 12 månedene (målt minst 14 dager etter en forverring). Minst to moderate forverringer behandlet med systemiske glukokortikoider (med eller uten antibiotika) eller minst én alvorlig forverring som resulterte i sykehusinnleggelse i løpet av de siste 12 månedene. FEV1/FVC-ratio $< 0,70$ før og etter bruk av albuterol. FEV1 mellom 20 % og 80 % av forventet verdi etter albuterol (moderat til svært alvorlig luftstrømsobstruksjon). Minst tre måneder med trippel inhalasjonsterapi (flutikasonpropionat ≥ 500 μg/dag, langtidsvirkende β2-agonist og langtidsvirkende muskarinantagonist). Eksklusjonskriterier: Samtidig eller tidligere astma (inkludert barneastma). Pasienter uten eosinofil fenotype. Pasienter med alvorlige komorbiditeter som kan påvirke studieresultatene, inkludert: Aktiv tuberkulose, lungekreft, bronkiektasi, sarkoidose, interstitiell lungesykdom eller annen aktiv lungesykdom. Pneumoni, forverring av COPD eller nedre luftveisinfeksjon innen 4 uker før screening. Livstruende eller ustabil hjertesykdom (f.eks. nylig hjerteinfarkt, ustabil angina, alvorlig hjertesvikt). Malignitet i remisjon < 12 måneder før screening. Hypereosinofile syndromer eller	Populasjon: Pasienter med KOLS og eosinofil fenotype, 40 år eller eldre, med dokumentert KOLS-diagnose i minst ett år. Inklusjonskriterier: Blodeosinofilnivå ≥ 150 celler/mm^3 ved screening eller ≥ 300 celler/mm^3 i løpet av det foregående året. Historie med minst to moderate eller én alvorlig forverring av KOLS det siste året. Bruk av inhalert glukokortikoidbasert trippel vedlikeholdsbehandling i minst 12 måneder før screening. Eksklusjonskriterier: Nåværende astmadiagnose eller tidligere astmahistorie hos ikke-røykere. Nonsmokere med astmahistorie.	Populasjon: Pasienter med KOLS og eosinofil fenotype, 40 år eller eldre, med dokumentert KOLS-diagnose i minst ett år. Inklusjonskriterier: Blodeosinofilnivå ≥ 150 celler/mm^3 ved screening eller ≥ 300 celler/mm^3 i løpet av det foregående året. Historie med minst to moderate eller én alvorlig forverring av KOLS det siste året. Bruk av inhalert glukokortikoidbasert trippel vedlikeholdsbehandling i minst 12 måneder før screening. Eksklusjonskriterier: Nåværende astmadiagnose eller tidligere astmahistorie hos ikke-røykere. Nonsmokere med astmahistorie

	parasittinfeksjon < 6 måneder før screening.		
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Intervensjon: Mepolizumab 100 mg subkutan. Antall pasienter: 403 pasienter i intervensjonsarmen. Dosering: 100 mg. Doseringsintervall: Subkutan injeksjon hver 4. uke. Behandlingsvarighet: 52 til 104 uker.	Intervensjon: Subkutan injeksjon av mepolizumab. Dosering: 100 mg eller 300 mg. Doseringsintervall: Hver 4. uke. Behandlingsvarighet: 52 uker	Intervensjon: Subkutan injeksjon av mepolizumab. Dosering: 100 mg. Doseringsintervall: Hver 4. uke. Behandlingsvarighet: 52 uke

11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Komparator: Placebo. Antall pasienter: 401 pasienter i placeboarmen. Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet: Placebo subkutan hver 4. uke i 52 til 104 uker.	Komparator: Placebo. Doseringsintervall: Hver 4. uke. Behandlingsvarighet: 52 uker	Komparator: Placebo. Doseringsintervall: Hver 4. uke. Behandlingsvarighet: 52 uker
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Primært endepunkt: Årlig frekvens av moderate eller alvorlige forverring (definert som forverring som krever behandling med systemiske glukokortikoider, antibiotika eller sykehusinnleggelse). <u>Målemetode:</u> Negativ binomial modell med justering for baselinevariabler. Tidspunkt for måling: Fra første dose til exit-besøk (52–104 uker). Sekundære endepunkter: Tid til første moderate eller alvorlige forverring (målt med Cox proportional hazards-modell). <u>Prosentandel av pasienter med forbedring i:</u> CAT-score (≥2 poeng reduksjon fra baseline). SGRQ-total score (≥4 poeng reduksjon fra baseline). E-RS (≥2 poeng reduksjon fra baseline). Årlig frekvens av forverring som fører til akuttmottak eller sykehusinnleggelse.	Primært endepunkt: Årlig rate av moderate eller alvorlige forverring (målt over 52 uker). Sekundære endepunkter: Tid til første moderate eller alvorlige forverring. Årlig rate av forverring som fører til besøk på akuttmottak eller sykehusinnleggelse. Endring fra baseline i St. George's Respiratory Questionnaire (SGRQ) total score ved uke 52. Endring fra baseline i COPD Assessment Test (CAT) score ved uke 52. Eksplorative endepunkter: Endringer i blod-eosinofilnivå, FEV1, FVC, SGRQ-domener og CAT-respons ved uke 52	Primært endepunkt: Årlig rate av moderate eller alvorlige forverring (målt over 52 uker). Sekundære endepunkter: Tid til første moderate eller alvorlige forverring. Årlig rate av forverring som fører til besøk på akuttmottak eller sykehusinnleggelse. Endring fra baseline i St. George's Respiratory Questionnaire (SGRQ) total score ved uke 52. Endring fra baseline i COPD Assessment Test (CAT) score ved uke 52. Eksplorative endepunkter: Endringer i blod-eosinofilnivå, FEV1, FVC, SGRQ-domener og CAT-respons ved uke 52

	Eksplorative endepunkter: Årlig frekvens av alvorlige forverringar (sykehusinnleggelse ≥ 24 timer eller død). Endring fra baseline i pre-bronkodilatator FEV₁. Endring i pasientrapporterte utfall (CAT, SGRO, E-RS) ved 24 og 52 uker.		
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	Prespesifiserte subgrupper: Behandlingsvarighet (52 uker vs. 104 uker). Antall moderate/alvorlige forverringar siste år (≤ 2, 3, ≥ 4). Blodeosinofilnivå ved screening (<500 celler/μL vs. ≥ 500 celler/μL). Alder (40–64 år). Kjønn (mann vs. kvinne). Geografisk region (Europa, Øst-Europa, Asia, Sør-Amerika, Nord-Amerika, resten av verden). Kroppsmasseindeks (BMI) ved baseline (≤ 20 kg/m², >20–≤ 30 kg/m², >30 kg/m²). Symptomer på kronisk bronkitt ved baseline (tilstede vs. fraværende). Luftstrømsobstruksjon ved baseline (moderat, alvorlig, svært alvorlig). Tilstedeværelse av kardiovaskulære komorbiditeter.	Subgruppeanalyser: Prespesifisert meta-analyse av primære endepunkter basert på blod-eosinofilnivå ved screening (<150, ≥ 150 til <300, ≥ 300 til <500, ≥ 500 celler/mm³). Post hoc-analyse av primære endepunkter for pasienter med blod-eosinofilnivå ≥ 300 celler/mm³ ved screening eller i løpet av det foregående året	Subgruppeanalyser: Prespesifisert meta-analyse av primære endepunkter basert på blod-eosinofilnivå ved screening (<150, ≥ 150 til <300, ≥ 300 til <500, ≥ 500 celler/mm³). Post hoc-analyse av primære endepunkter for pasienter med blod-eosinofilnivå ≥ 300 celler/mm³ ved screening eller i løpet av det foregående året
11.9 Oppfølgingstid <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>	Oppfølgingstid for tilgjengelige data: 52 uker for alle pasienter, med variabel oppfølging opp til 104 uker for en del av pasientene. Planlagt samlet oppfølgingstid: Maksimalt 104 uker.	Oppfølgingstid: 52 uker behandlingsperiode, etterfulgt av 8 uker oppfølging.	Oppfølgingstid: 52 uker behandlingsperiode, etterfulgt av 8 uker oppfølging.

11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Studieperspektiv: Avsluttet studie. Tilgjengelige datakutt: Fullstendige data fra 52 uker og variabel oppfølging opp til 104 uker er tilgjengelige for vurdering	Studien er avsluttet.	Studien er avsluttet.
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publisasjon</i>	Sciurba FC, et al. Mepolizumab to Prevent Exacerbations of COPD with an Eosinophilic Phenotype. N Engl J Med. 2025;392(17):1710-1720. doi:10.1056/NEJMoa2413181	Chanez P, et al. Mepolizumab for eosinophilic chronic obstructive pulmonary disease (METREO): a randomized, double-blind, placebo-controlled trial. American Journal of Respiratory and Critical Care Medicine. 2018 Sep 1;198(5):616-627. doi:10.1164/rccm.201804-0677OC	Pavord ID, et al. Mepolizumab for eosinophilic chronic obstructive pulmonary disease. New England Journal of Medicine. 2017 Dec 14;377(17):1613-1629. doi:10.1056/NEJMoa1709988.

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 ☐ REALITI-C studien Type: Real-World Evidence (RWE)-studie. Tidslinje: Q3 2025 – Q1 2028 Detaljer: RWE av mepolizumab på blant annet eksaserbasjoner som krever sykehusinnleggelser/besøk på legevakten. Ytterligere landsspesifikke data planlagt for Q3 2025– Q1 2028. BREATHE-M-studien Tidslinje: Protokoll ferdigstilt 4. kvartal 2025, første pasientbesøk (FPFV) Q1 2026. Detaljer: Bildediagnostikkstudie for å demonstrere effekten av mepolizumab på sykdomsaktivitet kontra alvorlighetsgrad.
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja ☒ Nei ☐ CRSwNP: REALITI-N-studien: Real-World Evidence (RWE)- studie. Tidslinje: Pågående, interimanalyse Q3/Q4 2026. Detaljer: Effektiviteten av mepolizumab i den virkelige

	verden hos pasienter med CRSwNP og astma. RESPONSE studien: Type: Real-World Evidence (RWE)- studie. Tidslinje: 12 måneder (Q2 2025- Q2 2026). Detaljer: Den studerer effekten av Mepolizumab hos komorbide pasienter med kronisk rhinosinitt med nesepolypper og alvorlig astma. Alvorlig astma: REIMAGINE-studien Tidslinje: Pågående, 12 måneders tidspunkt i 2026. Detaljer: Evaluerer mepolizumabs evne til å oppnå klinisk remisjon ved alvorlig astma. TYREX-studien Tidslinje: Pågående, publikasjoner forventes i 2026. Detaljer: Observasjonsstudie av 5 år med mepolizumab- bruk i behandling av alvorlig astma i Spania. EGPA: EMERGE-studien Tidslinje: Pågående, forventet avlesning i 2026. Detaljer: RCT ledet av det franske vaskulittnettverket for å demonstrere effekten av mepolizumab på remisjonsinduksjon hos nylig diagnostiserte eller tilbakefallende EGPA-pasienter. MIRRA NP-delanalyse Tidslinje: Q1 2026. Detaljer: Fokuserer på pasientresponder med komorbid CRSwNP og EGPA.
--	--

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 ☐ Differensialtelling av eosinofile celler i blod. I fob. Med 13.2: Denne testen gjøres i stor grad rutinesmessig av kolspasienter i møte med spesialisthelsetjenesten. Den gjøres ikke rutinemessig i møte med fastlegene. I og med at biologisk behandling av kols kun kan forskrives av spesialisthelsetjenesten, vil innføring av biologisk behandling ikke medføre ytterligere behov for diagnostiske tester.

13.2 Er testen etablert i klinisk praksis? <i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i>	Ja ☒ Nei ☐ 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	N/A
--	-----

14 Andre relevante opplysninger	
14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen? <i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i> <i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)</i>	Ja ☒ Nei ☐ Vi har kontaktet følgende lungespesialister: 1- Dr. Basel Abu Ayash (overlege ved A-hus) 2- Dr. Ahmed Sadik Rizwan (overlege ved A-hus) 3- Dr. Hanne Skanke (konsulentavdelingsleder for lungeavdelingen ved Tønsberg sykehus) De har deltatt i en én-til-én-rådgivningssamtale med GSKs medisinske rådgiver for å få deres innsikt i type 2 inflammatoriske KOLS-pasienter i Norge som går på trippelbehandling, men fortsatt er ukontrollert, hvordan de behandles og følges opp i dag, og hvilke utfordringer lungeleger står overfor med dem.
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? <i>Hvis ja, begrunn kort.</i> <i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i> Nærmere informasjon og skjema: Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF	Ja ☐ Nei ☒

14.3 Andre relevante opplysninger?	Vi er klar over at Dupixent ikke er ferdig vurdert og besluttet innført. I lys av dokumentasjon som fremkommer i anmodningen og som er vedlagt, samt pågående prosess for Dupixent, ber vi om en pragmatisk/forenklet tilgangsprosess slik at knappe utredningsressurser kan brukes mer effektivt. Vedlagte indirekte sammenligning er konfidensiell inntil den er publisert.
---	--

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2025_105
Handelsnavn (virkestoff)	Nucala (mepolizumab)
Virkningsmekanisme	Mepolizumab er et monoklonalt antistoff som binder seg spesifikt til interleukin-5 (IL-5). Hemmingen av IL-5-signalerer fører til redusert produksjon og overlevelse av eosinofile granulocytter, som dermed demper eosinofil betennelse.
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse for et kjent virkestoff. Indikasjonen fikk markedsføringstillatelse (MT) i Europa 4. februar 2026.
Indikasjon	Tilleggsvedlikeholdsbehandling av ukontrollert kols karakterisert ved forhøyede eosinofiler i blodet, med en kombinasjon av et inhalert kortikosteroid (ICS), en langtidsvirkende β_2 -agonist (LABA) og en langtidsvirkende muskarinantagonist (LAMA).
Dosering	Mepolizumab 100 mg hver 4. uke. Subkutan injeksjon. Langtidsbehandling.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	GlaxoSmithKline (GSK)
Bakgrunn	Kols gir vedvarende og progredierende luftveisobstruksjon som medfører symptomer som hoste, økt slimproduksjon og tung pust ved anstrengelse. De fleste pasientene opplever i tillegg episoder med akutt forverring (eksaserbasjoner). Kols skyldes betennelsesreaksjon i luftveier og lunger som følge av eksponering av skadelige stoffer som f.eks. røyk eller luftforurensing. Legemiddelbehandling ved kols innebærer gradvis opptrapping etter økende symptomer, først med korttidsvirkende muskarinantagonister (SAMA) eller beta-2-agonister (SABA), deretter langtidsvirkende LAMA eller LABA, deretter kombinasjon av LAMA og LABA. Ved utilstrekkelig effekt av dette kan inhalasjonskortikosteroid (ICS) legges til. Kombinasjonen LAMA, LABA og ICS utgjør dagens standardbehandling for pasienter som er aktuelle i denne metodevurderingen. DMP har nylig gjennomført metodevurdering av ID2024_046 dupilumab (Dupixent) til samme indikasjon som den anmodede bruken av mepolizumab. Dupilumab hemmer IL-4 og IL-13.
Begrunnelse i forslag	Dupilumab og mepolizumab er i dag inkludert i samme anbudsgruppe innenfor alvorlig astma ¹ . GSK mener at mepolizumab er et faglig likeverdig behandlingsalternativ til dupilumab også til behandling av kols. Av denne grunn mener GSK at man kan se hen til metodevurderingen av dupilumab ved kols og en antagelse om faglig likeverdighet. GSK skisserer ingen innsendelse av dokumentasjon til metodevurdering hos DMP.
Preliminær PICO²	P: I tråd med endelig godkjent indikasjon: Tilleggsvedlikeholdsbehandling av ukontrollert kols karakterisert ved

¹ www.sykehusinnkjo.no/49b235/siteassets/avtaledokumenter/avtaler-legemidler/alvorlig-astma/anbefaling-alvorlig-astma.pdf

² Pasientpopulasjon, intervensjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering

	forhøyede eosinofiler i blodet, med en kombinasjon av ICS, LABA og LAMA. I: Mepolizumab brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtalen: 100 mg hver 4. uke. C: Dagens standardbehandling: Kombinasjonen ICS, LABA og LAMA. O: Lungefunksjon, eksaserbasjoner, overlevelse, helserelatert livskvalitet og ressursbruk.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Det foreligger en metodevurdering av dupilumab for tilsvarende indikasjon (ID2024_046). Det er foreløpig ikke fattet beslutning i Nye metoder i denne saken.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP vurderer at 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 (kostnad-per-QALY-analyse).

Versjonslogg*

Dato	Hva
03.03.2026	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](https://legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

105 Mepolizumab til behandling av voksne med ukontrollert KOLS

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Foreløpig ingen dekning for biologisk behandling ved KOLS.
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Ja Nei Til riktig pasient kan dette være til betydelig hjelp og kostnadseffektivt. Redusere innleggelser, bruk av AB og andre helsetjenester og livsforlengende
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Mulig opp til 20-30% av KOLS pasientene

4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Bør vurdere de andre biologiske medikamentene også som f.eks Dupixent
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Ingen økonomiske interesser i aktuelle produkter

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	Sykehuset i Vestfold HF
Avdeling	Lungeseksjonen
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Hanne Skanke, seksjonsleder lungefag
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Innspill til Nye metoder fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2025_105

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Etablert behandling for denne pasientgruppen er gitt i Nasjonale faglige retningslinjer og i veileder som finnes på nettsidene til helsedirektoratet og Norsk forening for lungemedisin. Komparator til mepolizumab ved kols bør være trippelbehandling til pasienter som har fått hjelp til røykeslutt og som har fått tilbud om spesialisert rehabilitering.
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Det er behov for metoden, men pasientene vil etter min mening i stor grad også kunne tilfredsstille diagnosekriterier for astma. Det vil dreie seg om tilleggsbehandling Jeg antar at det vil dreie seg om en svært liten andel av pasientene ved kols som vil være aktuelle for denne behandlingen. Det bør være en forutsetning at behandlende lege har gått gjennom samtlige trinn i behandlingsstigen for kols og at

	man har gjort grundige overveielser som tar høyde for potensialet for undererkjent type II høy astma.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	I mine øyne bør det inn forutsetninger om å ha fulgt nasjonale retningslinjer, inkludert røykeavvenning og rehabilitering, i tillegg til at man nøye bør ha overveid muligheten for at pasienten har en ikke erkjent astma.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Det er en omfattende diskusjon i det lungemedisinske miljøet hvorvidt «eosinofil kols» i disse studiene virkelig er kols, og ikke astma. På den annen side – dersom pasienter har både høyt nivå av eosinofile, betydelig reversibilitet og FENO, så er det sannsynlig at astmapasienter som behandles med høydose ICS, LAMA og LABA vil bli tilbudt biologisk behandling.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Tidligere leder for Norsk forening for lungemedisin og deltaker i arbeidsgruppen som utarbeidet veileder for kols og nasjonale faglige retningslinjer.

Har gjennom Norsk forening for lungemedisin fått tildelt forskningsstipender fra både GSK og Sanofi, og har vært i faglige diskusjoner med representanter fra flere selskap innen den farmasøytiske industri.

7. Avsender av faglig innspill

Fagmedisinsk forening	Norsk forening for lungemedisin
Navn, stilling og arbeidsplass	Professor i lungesykdommer, Universitetet i Bergen og overlege, Lungeavdelingen, Haukeland Universitetssykehus.

Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Saksnummer 038-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2025_106 Mirdametinib (Ezmekly) som monoterapi til behandling av symptomatiske, inoperable pleksiforme neurofibromer (PN) hos pediatriske og voksne pasienter med neurofibromatose type 1 (NF1) i alderen 2 år og eldre.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren som har markedsføringstillatelse (MT): Merck AS.
- Anmodningen gjelder et nytt virkestoff.
- Om sykdommen: Pleksiforme neurofibromer (PN) er godartede svulster er vanlige hos personer med neurofibromatose type 1 (NF1). De kan vokse betydelig, infiltrere nerver og skape betydelig sykkelighet.
- Dagens behandling: Det finnes ikke en standard behandling. Dersom kirurgi ikke er et alternativ, vil behandlingen være best supportive care (BSC).
- Leverandør viser til at ID2021_062 Selumetinib (Koselugo) er behandlet i Nye metoder til den pediatriske indikasjonen.
- Pasientgrunnlag: Leverandør anslår at 18-20 barn er aktuelle for metoden. Det er ikke avklart hvor mange voksne som er aktuelle.
- Tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) i Norge for indikasjonen: 17.07.2025.
- Legemiddelet har betinget MT i påvente av ytterligere informasjon.
- Forventet tidspunkt for levering av dokumentasjon til DMP: Mars 2026.
- Leverandør foreslår en kostnad-nytte-analyse der mirdametinib sammenlignes med beste tilgjengelige standardbehandling (BSC). Leverandør kan levere dokumentasjonspakke for hele indikasjonen, men kan også levere dokumentasjon for behandling av barn. Leverandør kan også levere en kostnadsminimeringsanalyse.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- DMP har tidligere gjort en metodevurdering uten helseøkonomisk analyse av legemiddelet selumetinib (Koselugo), basert på effekt fra en en-armet fase II-studie. Selumetinib ble i januar 2026 besluttet innført til behandling av PN hos pediatriske NF1-pasienter fra 3 år ([ID2021_062](#)) med flere vilkår for behandlingsstart og -stopp. Selumetinib har i etterkant av metodevurderingen fått utvidelse av indikasjonsordlyden til også å omfatte voksne.
- DMP vurderer at relevant komparator for voksne pasienter er standard støttebehandling (BSC). For den pediatriske populasjonen vil behandling med selumetinib være relevant komparator. Det europeiske legemiddelbyrået (EMA) har vurdert at hos pediatriske pasienter i alderen ≥ 3 år anses mirdametinib å kunne møte et udekket medisinsk behov i tilsvarende eller større grad enn selumetinib.
- Anbefaling fra DMP:
 - For voksne pasienter mener DMP 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 (kostnad-nytte-analyse).

- For pediatriske pasienter har DMP opplyst saken i egnethetsvurderingen, og vurderer at en metodevurdering i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker.

Innspill – innspillene er vedlagtInnspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- Norsk nevrologisk forening: 1 innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Ingen nasjonale handlingsprogram eller retningslinjer påvirkes.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret overført til RHF-ene 1.11.2024.

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: 12.12.2025

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Merck AS
1.2 Navn kontaktperson	Kristin Svanqvist
1.3 Stilling kontaktperson	Head of External Affairs, Communications & Market Access
1.4 Telefon	Office phone: +47 67 90 35 90 Mobile: +47 97174533
1.5 E-post	kristin.svanqvist@merckgroup.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?	Ezmekly er indisert som monoterapi til behandling av symptomatiske, inoperable pleksiforme nevrofibromer (PN) hos pediatriske og voksne pasienter (NF1) i alderen 2 år og eldre

Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk. <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>	European Medicine Agency. Summary of product characteristics: Ezmekly, INN-mirdametinib (engelsk) Ezmekly, INN-mirdametinib (norsk) Merck kan levere dokumentasjonspakke for hele indikasjonen, men kan levere dokumentasjon også for behandling av barn – pediatriisk populasjon. Slik vi oppfatter miljøet er det størst medisinsk behov for behandling av barn.
2.3 Handelsnavn	Ezmekly
2.4 Generisk navn/virkestoff	Mirdametinib
2.5 ATC-kode	L01EE05
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i> <i>Skriv kort</i>	Ezmekly 1 mg harde kapsler eller 2 mg harde kapsler Anbefalt dose av Ezmekly er 2 mg/m² kroppsoverflate (BSA) to ganger daglig (omtrent hver 12. time) de første 21 dagene av hver 28-dagers syklus. Maksimal dose er 4 mg to ganger daglig (se tabell 1). For pediatriiske pasienter i alderen 2 til 5 år og for pasienter som ikke kan svelge kapsler hele, er Ezmekly også tilgjengelig som en dispergerbar tablettformulering på 1 mg som kan dispergeres i vann. Anbefalt dose for pasienter med BSA under 0,40 m² har ikke blitt fastslått Behandling med Ezmekly skal fortsette til progresjon av PN eller utvikling av uakseptabel toksisitet
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Mirdametinib er en selektiv, ikke-kompetitiv hemmer av mitogenaktivert proteinkinase 1 og 2 (MEK1/2). Mirdametinib blokkerer MEK-aktivitet og RAS-RAF-MEK signalveien. Derfor blokkerer MEK-hemming proliferasjon og overlevelse av tumorceller hvor RAF-MEK-ERK veien er aktivert.

3 Historikk – virkestoff og indikasjon	
3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?	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>	
3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja ☒ Nei ☐ ID-nummer: ID2021_062 (bare pediatriske populasjon)
3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng? <i>Hvis ja, oppgi referanse</i>	Ja ☐ Nei ☒ 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? <i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i>	Ja ☒ Nei ☐ Dato for MT for første indikasjon: 17.07.2025
4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?	Ja ☐ Nei ☒
4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon? <i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i> <i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i> <i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i>	MT i Norge: Ja ☒ Nei ☐ Prosedyrenummer i EMA: EMA/H/C/006460 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. Hvis metoden har MT: Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: 17.07.2025
4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?	Ja ☒ Nei ☐ Beskrivelse:

<i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i>	Dette legemidlet har blitt godkjent ved såkalt betinget godkjenning, i påvente av ytterligere dokumentasjon for legemidlet. Det europeiske legemiddelkontoret (the European Medicines Agency) vil, minst en gang i året, evaluere ny informasjon om legemidlet og denne preparatomtalen vil bli oppdatert etter behov. In order to confirm the efficacy and safety of mirdametinib in the treatment of symptomatic, inoperable plexiform neurofibromas (PN) in adults and children aged 2 years and older with neurofibromatosis type 1 , the MAH should submit an updated analysis of the study MEK-NF-201 with a data cut-off of 22 December 2028 that will provide an additional 5 years of follow-up. Non-interventional post-authorisation safety study (PASS): In order to confirm the long-term safety of mirdametinib, in the treatment of symptomatic, inoperable plexiform neurofibromas (PN) in adults and children aged 2 years and older with neurofibromatosis type 1 (NF1), the MAH should conduct and submit the results of a study conducted in patients with NF1 who have been prescribed at least one dose of mirdametinib and who are aged 2 and above at the start of mirdametinib Ezmekly, INN-mirdametinib
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»: 25.07.2019

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	Ja ☒ Nei ☐ Kommentar:

tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?	Ja, legemidlet som nå er til vurdering i nye metoder med ID2021_062 (bare pediatriske populasjon)
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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja ☐ Nei ☒ Kommentar: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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: Vi har vært i et innledende dialogmøte med JNHB i oktober 2025. Dette legemidlet er en oral kapsel og følgelig er det ulike beslutningsprosesser i de nordiske land. Dette gjør det ikke aktuelt å ha en utredning i HTA samarbeidet JNHB. I tillegg finnes ingen enighet om behandlingsalternativer på tvers av Norden. Det finnes heller ingen nasjonale retningslinjer å sammenligne, ettersom hver pasient trenger et individuelt tilpasset behandlingsprogram bestemt av et tverrfaglig team bestående av ulike spesialister, inkludert kirurger, nevrologer, genetikere, barneleger og radiologer. Beslutninger om indikasjon for og omfang av kirurgi må tilpasses svulstens utbredelse, lokalisasjon, veksthastighet, radiologiske funn og vurderes i sammenheng med den enkelte pasients generelle helsetilstand.

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>	Den helseøkonomiske analysen som forventes innsendt til Direktoratet for medisinske produkter (DMP), er en kostnads-nytte-analyse der Ezmekly sammenlignes med beste tilgjengelige standardbehandling (BSC). I tillegg vil den budsjettmessige effekten av å anbefale Ezmekly for de aktuelle pasientgruppene bli presentert. En indirekte behandlingssammenligning (ITC) er gjennomført for å vurdere den relative effekten av mirdametinib sammenlignet med BSC, basert på to fase 2-studier. Dersom det er ønskelig kan Merck levere en kostnadsminimeringsanalyse.
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Symptomatiske, pediatriske og voksne pasienter med neurofibromatose type 1 (NF1) med inoperable pleksiforme neurofibromer (PN) i alderen 2 år og eldre.
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>	En indirekte behandlingssammenligning (ITC) er gjennomført for å vurdere den relative effekten av mirdametinib sammenlignet med BSC, basert på to fase 2-studier.
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Ikke klart ennå
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>	Mars 2026

10 Sykdommen og eksisterende behandling

10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon	Plexiforme neurofibromer (PN) er godartede svulster i nerveskjeden som vanligvis utvikler seg tidlig i livet og er vanlige hos personer med NF1. Selv om de er
---	---

<i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i>	godartede, kan de vokse betydelig, infiltrere flere nervegrener og forårsake betydelig sykkelighet—særlig smerte, motorisk svakhet, misdannelse, funksjonstap og, i sjeldne tilfeller, livstruende blødning eller malign transformasjon til maligne perifere nerveskjedetumorer (MPNST). Management of neurofibromatosis type 1-associated plexiform neurofibromas Neuro-Oncology Oxford Academic Mirdametinib Shows Improved ORR Over Time in NF1-Associated Symptomatic Plexiform Neurofibroma OncLive
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Nevrologi
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>	Det finnes ingen standard behandlingsmetode for PN, siden PN som forårsaker morbiditet, eller som vokser og har risiko for å gi morbiditet, bør vurderes for behandling med den modaliteten som anses mest hensiktsmessig basert på lokalisasjon, symptomer og pasientens mål. For det første behandles pasientene med kirurgi dersom det er mulig å fjerne svulsten uten betydelig morbiditet. Dessverre er dette utfordrende i de fleste tilfeller, ettersom PN ofte er innvevd i nerven. Dersom kirurgi ikke er et alternativ, vil behandlingen være best supportive care (BSC). BSC kan inkludere symptomatisk behandling som smertestillende medikamenter, men det finnes ingen NF1- eller PN-spesifikke studier som har undersøkt bruk av tradisjonelle farmakologiske midler mot nevropatisk smerte, slik som GABAerge medikamenter, antidepressiva, opioidanalgetika, antiinflammatoriske legemidler og cannabinoide. Erfaring viser at ikke alle oppnår tilstrekkelig smertelindring. noac146.pdf
10.5 Prognose	Sykdomsprognosen avhenger av svulstbyrde og utvikling, og kan være progressiv, noe som fører til omtrent 15 år kortere forventet levetid for pasienter

<i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	med NF1 sammenlignet med befolkningen for øvrig, hovedsakelig på grunn av utvikling av maligne perifere nerveskjedetumorer (MPNST). De største retrospektive seriene antyder at fullstendig fjerning av svulsten kun kan oppnås i 15 % av tilfellene, mens PN vokser ut igjen hos 43 % av dem som har gjennomgått delvis eller subtotal reseksjon, og permanente sekveler (for det meste nevrologiske) forekommer hos 5–18 % av pasientene. I tillegg oppstår MPNST vanligvis i eksisterende PN og er ikke alltid lett å skille fra godartede lesjoner. Risikoen for at svulsten vokser ut igjen etter kirurgi påvirkes av alder og lokalisasjon av PN. Retrospektive studier antyder at svulstkontroll er vanskeligst hos små barn og hos dem med svulster i hode, nakke og truncus. En studie fra 2011 anslår median overlevelse til å være 71,5 år, mens en svensk studie fant at gjennomsnittsalderen var 62 år. En studie fra 2012 viste at barn med NF1 og symptomatiske PN har en signifikant høyere dødelighet (3,2 %) sammenlignet med barn uten NF1 eller med asymptomatiske PN (0,5 %). Selumetinib (Koselugo) - Neurofibromer noac146.pdf Mortality in neurofibromatosis 1: in North West England: an assessment of actuarial survival in a region of the UK since 1989 - PubMed Pediatric Plexiform Neurofibromas: Impact on Morbidity and Mortality in Neurofibromatosis Type 1 - The Journal of Pediatrics
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Monoterapi
10.7 Pasientgrunnlag	Antall pediatriske: 18-21 (id2021_062_selumetinib_koselugo_pleksiforme-

Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse. Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen. * Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives	neurofibromer-subgruppe---hurtig-metodevurdering---kun-offentlig-versjon.pdf) Antall voksne: ikke klart ennå
--	--

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke	A Phase 2b Trial of the MEK 1/2 Inhibitor (MEKi) PD-0325901 in Adult and Pediatric Patients With Neurofibromatosis Type 1 (NF1)-Associated Inoperable Plexiform Neurofibromas (PNs) That Are Causing Significant Morbidity NCT03962543	A Phase 2 Trial of the MEK Inhibitor PD-0325901 in Adolescents and Adults With NF1-Associated Morbid Plexiform Neurofibromas NCT02096471	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.2 Studietype og -design	Phase 2b, multicenter, open label	Phase 2b, single center, open label	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	Investigates the treatment of symptomatic inoperable neurofibromatosis type-1 (NF1)- associated plexiform neurofibroma	Investigates the response rate based on volumetric magnetic resonance imaging analysis	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.4 Populasjon	A total of 114 patients were recruited for the study. Whereas 58 were	A total of 19 patients were recruited for the study.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	adults and 56 were children Inclusion Criteria: • Participant has documented NF1 mutation or a diagnosis of neurofibromatosis type 1 (NF1) using National Institute of Health (NIH) Consensus Conference criteria inclusive of the presence of a plexiform neurofibroma (PN). • Participant has a PN that is causing significant morbidity. • Participant has a PN that cannot be completely surgically removed. • Participant has a target tumor that is amenable to volumetric MRI analysis. • Participant is willing to undergo a tumor biopsy pre and post treatment if ≥ 18 years of age. • Participant has adequate organ and bone marrow function. Exclusion Criteria: • Participant has abnormal liver function or history of liver disease. • Participant has lymphoma, leukemia or any malignancy within the past 5 years (except for resected basal/squamous skin carcinomas without metastases within 3 years).	Inclusion Criteria: • All studies to determine eligibility must be performed within 2 weeks prior to enrollment unless otherwise indicated below. All clinical and laboratory data required for eligibility of a subject must be available in the subject's medical or research record. • All subjects must have EITHER the clinical diagnosis of NF1 using the NIH Consensus Conference criteria OR have a constitutional NF1 mutation documented in a CLIA/CAP certified lab. • For subjects enrolled for tumor progression, progression is defined as: - o Presence of new plexiform neurofibroma on MRI or CT (documented by comparison with prior MRI or CT), OR - o A measurable increase in plexiform neurofibroma size ($\geq 20\%$ increase in the volume, or a $\geq 13\%$ increase in the product of the two longest perpendicular diameters, or a $\geq 6\%$ increase in the longest diameter) documented by comparison of two scans (MRI or CT) approximately one year or less prior to evaluation for this study. • For subjects enrolled for a "major	
---	--	---	--

	• Participant has breast cancer within 10 years. • Participant has active optic glioma or other low-grade glioma requiring treatment. • Participant has abnormal QT interval corrected or other heart disease within 6 months. • Participant has a history of retinal pathology, risk factors for retinal vein occlusion or has a history of glaucoma. • Participant has known malabsorption syndrome or gastrointestinal conditions that would impair absorption of mirdametinib (PD-0325901). • Participant has received NF1 PN-targeted therapy within 45 days. • Participant previously received or is currently receiving therapy with mirdametinib (PD-0325901) or any other MEK1/2 inhibitor. • Participant has received radiation therapy within 6 months or has received radiation to the orbit at any time. • Participant is unable to undergo or tolerate MRI. • Participant has active bacterial, fungal or viral infection. • Participant has experienced other severe acute or chronic	deformity" or "significantly disfiguring" tumor, eligible tumors will be limited to tumors of the head & neck or those on other areas of the body that are unable to be concealed by standard garments. In order to enroll a plexiform neurofibroma for these indications, the Study Chair or Co-Chair must be contacted to review subject eligibility prior to enrollment. • Measurable disease: Subjects must have measurable plexiform neurofibroma(s) amenable to volumetric MRI analysis. The target lesion must be seen on at least 3 consecutive MRI slices, and the field of view must contain the entire tumor of interest. Tumors must be at least 3 mL in volume (most PNs 3 cm in longest diameter will meet this criteria). If the tumor is <3 cm in longest diameter, the subject may still be eligible. Central review of the MRI of the target plexiform is required prior to enrollment to ensure that the tumor is measurable and amenable to volumetric analysis. After consenting, images will be sent for Central review • Age: Subjects must be ≥ 16 years of	
--	--	--	--

	medical or psychiatric conditions within 1 year.	age at the time of study entry. • Durable Power of Attorney: Adults who are unable to provide informed consent will NOT be enrolled on this study. • Performance Level: Karnofsky greater than or equal to 50% Note: Subjects who are unable to walk because of paralysis, but who are up in a wheelchair, will be considered ambulatory for the purpose of assessing the performance score. • Prior Therapy: Subjects are only eligible if complete resection of a plexiform neurofibroma with acceptable morbidity is not feasible, or if a subject with surgical option refuses surgery. • Subjects who underwent surgery for a progressive plexiform neurofibroma will be eligible to enter the study after the surgery, provided the plexiform neurofibroma was incompletely resected and is evaluable by volumetric analysis. • Subjects may have been previously treated for a plexiform neurofibroma or other tumor/malignancy, but must have fully recovered from the acute toxic effects of all prior chemotherapy or radiotherapy prior to entering this study.	
--	---	---	--

		• Myelosuppressive chemotherapy: Must not have received within 4 weeks of entry onto this study. • Hematopoietic growth factors: At least 7 days since the completion of therapy with a growth factor that supports platelet, red or white cell number or function. • Biologic (anti-neoplastic agent): At least 14 days since the completion of therapy with a biologic agent. These subjects must be discussed with the Study Chair on a case-by-case basis. • Investigational Drugs: Subjects must not have received an investigational drug within 4 weeks. • Steroids: Subjects with endocrine deficiencies are allowed to receive physiologic or stress doses of steroids if necessary. • 6 months from involved field radiation to index plexiform neurofibroma(s); 6 weeks must have elapsed if subject has received radiation to areas outside index plexiform neurofibroma(s). Subjects who have received radiation to the orbit at any time are excluded. • Surgery: At least 2 weeks since undergoing any major	
--	--	---	--

		surgery and must be recovered from effects of surgery. • Organ Function Requirements - o Adequate Bone Marrow Function - o Adequate Renal Function - o Adequate Liver Function Exclusion Criteria: • Chronic treatment with systemic steroids or another immunosuppressive agent. Subjects with endocrine deficiencies are allowed to receive physiologic or stress doses of steroids if necessary. • Evidence of an active optic glioma or other low-grade glioma, requiring treatment with chemotherapy or radiation therapy. Subjects not requiring treatment are eligible for this protocol. • Patients with malignant glioma, malignant peripheral nerve sheath tumor, or other malignancy requiring treatment in the last 12 months. • Subjects who have received radiation to the orbit at any time previously • Subjects with glaucoma, intraocular pressure >21 mmHg, or any other significant abnormality on ophthalmic examination (performed by an ophthalmologist).	
--	--	--	--

		• Ophthalmologic al findings secondary to long-standing Optic Pathway Glioma such as optic nerve pallor or strabismus will NOT be considered significant for the purposes of the study. • Tumor not able to be reliably evaluated by volumetric analysis. • Other concurrent severe and/or uncontrolled medical disease, which could compromise participation in the study (e.g. uncontrolled diabetes, uncontrolled hypertension, severe infection, severe malnutrition, chronic liver or renal disease, active upper GI tract ulceration, congestive heart failure, etc.) • Subjects who have an uncontrolled infection. • Impairment of gastrointestinal function or gastrointestinal disease that may significantly alter the absorption of PD-0325901 (e.g. ulcerative disease, uncontrolled nausea, vomiting, diarrhea, malabsorption syndrome or small bowel resection). A nasogastric tube (NG tube) or gastric tube (G tube) is allowed. • Women who are pregnant or breast feeding. • Males or females of reproductive potential	
--	--	--	--

		may not participate unless they have agreed to use an effective contraceptive method during the period they are receiving the study drug and for 3 months thereafter. Abstinence is an acceptable method of birth control. Women of childbearing potential will be given a pregnancy test within 7 days prior to administration of PD-0325901 and must have a negative urine or serum pregnancy test. • History of noncompliance to medical regimens. • Subjects unwilling to or unable to comply with the protocol, or who in the opinion of the investigator may not be able to comply with the safety monitoring requirements of the study. • Prior treatment with a MEK inhibitor of any kind	
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	All participants will receive mirdametininb (PD-0325901) at a dose of 2 mg/m² twice daily (maximum dose of 4 mg twice daily), calculated based on body surface area. Dose will be administered in a 3-week on, 1-week off schedule.	Subjects will receive PD-0325901 by mouth on a bid dosing schedule of 2 mg/m²/dose with a maximum dose of 4 mg bid. Each course is 4 weeks duration, and subjects will receive drug on a 3 week on/1 week off schedule. Subjects may receive additional courses beyond course 8 only if there is at least 15% reduction in volume of the target tumor. Subjects who have a	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

		20% or greater reduction in target tumor volume at the end of 12 courses can continue on therapy for up to an additional year (maximum of 24 total courses). However, subjects who do not achieve at least 15% reduction in volume of the target tumor after 8 courses (~8 months) will be considered treatment failures and taken off study.	
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	N/A	N/A	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Primary efficacy endpoints: Confirmed Objective Response Rate at the End of the Treatment Phase. Secondary efficacy endpoints: - Percentage of Patients With Treatment-Emergent Adverse Events. - Duration of Response (DOR) for Participants Who Meet Criteria for Confirmed Objective Response. - Change From Baseline on Quality of Life (QOL) as Measured by the Pediatric Quality of Life Inventory (PedsQL) at Cycle 13, Acute Version. - Change From Baseline in Pain as	Primary efficacy endpoints: Percent of Participants With a 20% or More Change in Target Tumor Volume Secondary efficacy endpoints: - Evaluable Participants Treated With PD-0325901 - Toxicity of PD-0325901 - The Objective Response Rate of up to 2 Non-Target Plexiform Neurofibromas to PD-0325901 - Area Under the Curve for the Parent Compound - Quality of Life Using the Pain Subscale of the NRS-11 and PedsQL™ NF1 for Subjects Receiving PD-	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	Measured by the Numeric Rating Scale-11 (NRS-11) at Cycle 13. • Change From Baseline in Pain as Measured by the Pain Interference Index (PII) at Cycle 13. • Progression Free survival	0325901 Using Age-based Assessments • Area Under the Curve for the Metabolite Compound • Mean Half-Life for the PD-0325901 Concentrations	
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.9 Oppfølgingstid <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>	24 months + long term follow up	24 monts	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Pågående, resultater tilgjengelig	Avsluttet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Moertel et al. (2024). A Pivotal, Phase IIb Trial of Mirdametinib in Adults and Children With Symptomatic Neurofibromatosis Type 1-Associated Plexiform Neurofibroma. ReNeu: A Pivotal, Phase IIb Trial of Mirdametinib in Adults and Children With Symptomatic Neurofibromatosis Type 1-Associated Plexiform Neurofibroma Journal of Clinical Oncology	Weiss et al (2021). A Neurofibromatosis Clinical Trials Consortium Phase II Trial of the MEK Inhibitor Mirdametinib f(PD-0325901) in Adolescents and Adults With NF1-Related Plexiform Neurofibromas	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? <i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i>	Ja ☐ Nei ☐ 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? <i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i> <i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)</i>	Ja ☒ Nei ☐ Hilde Dahl, Barneklubben OUS - Bakgrunn
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? <i>Hvis ja, begrunn kort.</i> <i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i> 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

Egnethetsvurdering	
ID-nummer	ID2025_106
Handelsnavn (virkestoff)	Ezmekly (mirdametinib)
Virkningsmekanisme	MEK-hemmer, reduserer aktivitet i RAS-RAF-MEK-signalveien og dermed proliferasjon og overlevelse av celler hvor signalveien er aktivert
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder et nytt virkestoff. Legemidlet fikk betinget markedsføringstillatelse (MT) 17. juli 2025.
Aktuell indikasjon	Behandling av symptomatiske, inoperable pleksiforme neurofibromer (PN) hos pediatriske og voksne pasienter med neurofibromatose type 1 (NF1) i alderen 2 år og eldre
Dosering	Finnes som kapsler og dispergerbare tabletter. Anbefalt dose er 2 mg/m ² kroppsoverflate (BSA) to ganger daglig de første 21 dagene av hver 28-dagers syklus. Maksimal dose er 4 mg to ganger daglig. Behandlingen skal fortsette til progresjon av PN eller uakseptabel toksisitet.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Merck AS
Bakgrunn	Pasienter med den genetiske sykdommen neurofibromatose type 1 (NF1) kan utvikle pleksiforme neurofibromer (PN), dvs. svulster langs nervekjeder. De er godartede, men kan bli store og avhengig av lokasjon forårsake deformiteter, funksjonstap, smerter og true vitale organer inkludert luftveier og store blodkar. I sjeldne tilfeller ses også transformasjon til maligne tumorer kalt <i>malignant peripheral nerve sheath tumors</i>. PN oppstår oftest i barnealder og vekst avtar typisk i voksen alder. Pasienter med NF1 har forkortet levetid, anslagsvis redusert med mellom 8 og 15 år sammenlignet med den generelle befolkningen. Det er anslått at det er rundt 20 barn med symptomatiske, inoperable PN i Norge i dag (1), i tillegg til et ukjent antall voksne. Dagens behandling består av kirurgi samt støttende tiltak for å opprettholde funksjonsnivå og livskvalitet, inkludert fysioterapi og smertestillende behandling. Kirurgi er ofte ikke mulig på grunn av risiko for skade på omkringliggende vev. Ofte vokser også PN tilbake igjen etter kirurgi. DMP har tidligere gjort en metodevurdering uten helseøkonomisk analyse av legemiddelet selumetinib (Koselugo), basert på effekt fra en enarmet fase II-studie (SPRINT). Selumetinib ble i januar 2026 besluttet innført til behandling av PN hos pediatriske NF1-pasienter fra 3 år (ID2021_062) med flere vilkår for behandlingsstart og -stopp. Selumetinib skal kun brukes hos pasienter med alvorlige symptomer og stor forventet nytteverdi. Hovedstudien for markedsføringstillatelsen til mirdametinib var en enarmet fase IIb-studie (NCT03962543, MEK-NF-201) som inkluderte 114 pasienter (58 voksne og 56 barn) med inoperabel PN som medførte signifikant morbiditet. Primærendepunktet var objektiv responsrate (andel pasienter med minst 20 % volumreduksjon i mål-PN i løpet av 24 måneder). Studien viste responsrate på 41 % hos voksne og 52 % hos barn (2). Data etter 5-års oppfølging fra studien

	skal leveres i juni 2029 som del av betingelsene for markedsføringstillatelsen. På tidspunktet for metodevurderingen (ID2021_062) var selumetinib kun indisert til pediatriske pasienter. Selumetinib fikk i januar 2026 en utvidelse av indikasjonsordlyden til å også omfatte voksne pasienter. Indikasjonsutvidelsen var basert på en dobbeltblindet, randomisert fase III-studie av selumetinib versus placebo hos voksne pasienter med NF1 som har symptomatiske inoperable PN (3). Både mirdametinib og selumetinib er MEK-hemmere, og har i dag omtrent tilsvarende indikasjonsordlyd; - Mirdametinib som monoterapi er indisert til behandling av symptomatiske, inoperable pleksiforme neurofibromer (PN) hos pediatriske og voksne pasienter med neurofibromatose type 1 (NF1) i alderen 2 år og eldre. - Selumetinib som monoterapi er indisert til behandling av symptomatiske, inoperable pleksiforme neurofibromer (PN) hos voksne og pediatriske pasienter med neurofibromatose type 1 (NF1) i alderen 3 år og eldre.
Preliminær PICO¹	P: I tråd med godkjent indikasjon I: Mirdametinib brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtale. C: Dagens standardbehandling: 1. Voksne pasienter: standard støttebehandling (BSC), som fysioterapi og smertestillende behandling. 2. Pediatriske pasienter: selumetinib i kombinasjon med BSC. O: Responsrate, varighet av respons, overlevelse, helserelatert livskvalitet og ressursbruk
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Det er ifølge innspill fra fagmiljøet et stort behov for behandlingsalternativer for PN. For pediatriske pasienter er selumetinib relevant komparator. Mirdametinib er ikke sammenlignet direkte med selumetinib i en klinisk studie. Det europeiske legemiddelbyrået (EMA) har vurdert at hos pediatriske pasienter i alderen ≥ 3 år anses mirdametinib å kunne møte et udekket medisinsk behov i tilsvarende eller større grad enn selumetinib (4). EMA viser til resultater fra de kliniske studiene for henholdsvis mirdametinib (MEK-NF-201) og selumetinib (SPRINT) på objektiv responsrate, varighet av respons og bivirkninger. For voksne pasienter er standard støttebehandling (BSC) relevant komparator. Merck skriver i sin anmodning at en kostnad-nytte-analyse hvor mirdametinib sammenlignes med BSC vil være basert på en indirekte sammenligning (ITC). Det vil trolig være stor usikkerhet i en slik analyse siden effektdata for mirdametinib vil være basert på en enarmet studie med kort observasjonstid. For selumetinib finnes det resultater sammenlignet med placebo fra en dobbeltblindet, randomisert fase III-studie hos voksne pasienter med NF1 som har symptomatiske inoperable PN.

¹ Pasientpopulasjon, intervensjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering

Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	For voksne pasienter mener DMP 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 (kostnad-nytte-analyse). For pediatriske pasienter har DMP opplyst saken i egnethetsvurderingen, og vurderer at en metodevurdering i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker.
---	--

Kilder:

1. Direktoratet for medisinske produkter. 2023. Metodevurdering av selumetinib (Koselugo). [koselugo_pleksiforme-neurofibromer-subgruppe_2023.pdf](#)
2. Moertel CL et al. 2024. ReNeu: A Pivotal, Phase IIb Trial of Mirdametinib in Adults and Children With Symptomatic Neurofibromatosis Type 1-Associated Plexiform Neurofibroma
3. EPAR – Assessment report, EMA. [Koselugo, INN-selumetinib](#)
4. EPAR – Assessment report, EMA. [Ezmekly, INN-mirdametinib](#)

Versjonslogg*	
Dato	Hva
03.03.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP
13.03.2026	Oppdatert 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.	

Innspill til Nye metoder fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2025_106

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	For NF1 pasienter med pleksiforme neurofibrom finnes det ingen medikamentell behandling utover smertestillende. Kirurgi er svært sjeldent indisert da risikoen for neurologisk skade er stor. I enkelte tilfeller utføres kirurgisk debulking, men da med risiko for permanent neurologisk skade/annen vevsskade og tilbakefall. Det finnes ingen komparator for voksne pasienter, men selumetinib er lignende preparat for barn (ID2021_062)
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Der er utvilsomt et behov for en medikamentell behandlig av pleksiforme neurofibrom. Per i dag står vi så godt som helt uten adekvat behandling for disse. Det vil være det naturlige valget ved inoperable pleksiforme neurofibrom, og kan også komme som et tillegg for tumorreduksjon før eventuell kirurgisk behandling.

	Medikamentet vil få en helt sentral og revolusjonerende rolle i forhold til mangelen på behandlingsalternativer i dag.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	NF1 har en estimert prevalens på ca 1 på 3-4000 og pleksiforme nevrofibrom er tilstede hos ca 25-30%.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Ingen

7. Avsender av faglig innspill

Fagmedisinsk forening	Norsk nevrologisk forening
Navn, stilling og arbeidsplass	Kristin Varhaug, nevrologisk avdeling, Haukeland Universitetssykehus
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Saksnummer 039-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2025_107 Nirogacestat (Ogsiveo) som monoterapi til behandling av voksne pasienter med progredierende desmoide tumorer som krever systemisk behandling

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren som har markedsføringstillatelse (MT): Merck AS.
- Anmodningen gjelder et nytt virkestoff.
- Om sykdommen: Desmoide svulster er bløtvevssvulster som ikke har metastatisk potensial, men som er lokalt aggressive og invasive, noe som kan føre til betydelig sykkelighet.
- Dagens behandling: For øyeblikket finnes det ingen godkjente behandlinger, og retningslinjene for håndtering varierer basert på tumorens lokalisasjon, symptomer og sykdomsprogresjon.
- Innplassering i behandlingsalgoritmen: Antas å bli førstevalg systemisk behandling.
- Pasientgrunnlag: Leverandør estimerer at det i Norge er to til fire nye tilfeller av desmoide tumorer per million innbyggere per år. Andelen som krever systemisk behandling, er trolig liten.
- Tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) i Norge for indikasjonen: 14.08.2025
- Forventet tidspunkt for levering av dokumentasjon til DMP: Mars 2026.
- Leverandør foreslår en kostnad-per-QALY analyse basert på en «partitioned survival model».

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Medisinske fagekspertene opplyser om at det per i dag ikke finnes forhåndsgodkjente systemiske behandlingsregimer for DT i Norge. Følgende preparater brukes som klinisk tilgjengelig standard behandling: liposomalt doksorubicin, metotreksat/vinorelbin, pazopanib og sorafenib.
- Vurdering fra DMP: DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk.
- Anbefaling fra DMP: Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse i form av en kostnad-nytte-analyse.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: 1 innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- Ingen innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Ingen nasjonale handlingsprogram eller retningslinjer påvirkes.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret overført til RHF-ene 1.6.2024

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: 12.12.2025

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Merck AS
1.2 Navn kontaktperson	Kristin Svanqvist
1.3 Stilling kontaktperson	Head of External Affairs, Communications & Market Access
1.4 Telefon	Office phone: +47 67 90 35 90 Mobile: +47 97174533
1.5 E-post	kristin.svanqvist@merckgroup.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?	Monoterapi til behandling av voksne pasienter med progredierende desmoide tumorer som krever systemisk behandling

<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	Ogsiveo
2.4 Generisk navn/virkestoff	Nirogacestat
2.5 ATC-kode	L01XX81
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingslengde</i> <i>Skriv kort</i>	Anbefalt dose er 150 mg Ogsiveo to ganger daglig, én dose om morgenen og én dose om kvelden. Denne dosen skal ikke overskrides. Behandlingsvarighet: Ogsiveo skal fortsettes til sykdomsprogresjon eller uakseptabel toksisitet. Ogsiveo er til oral bruk. Tablettene kan tas med eller uten mat. Tablettene skal ikke deles, tygges eller knuses, da det per i dag ikke finnes data som støtter andre administrasjonsmetoder.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Nirogacestat er en reversibel og ikke-kompetitiv hemmer av gamma-sekretase som blokkerer proteolytisk aktivering av Notch-reseptoren.

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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja ☐ Nei ☒ ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng? <i>Hvis ja, oppgi referanse</i>	Ja ☐ Nei ☒ 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? <i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i>	Ja ☒ Nei ☐ Dato for MT for første indikasjon: 14.08.2025
4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?	Ja ☐ Nei ☒
4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon? <i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i> <i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i> <i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i>	MT i Norge: Ja ☒ Nei ☐ Prosedyrenummer i EMA: EMA/H/C/006071 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. Hvis metoden har MT: Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.
4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon? <i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i>	Ja ☐ Nei ☒ 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»: 17.10.2019
--	--

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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja ☐ Nei ☒ Kommentar: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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: Vi har hatt en initiell samtale med JNHB i oktober 2025. Utfordringene er flere som blant annet at legemidlet er en oral formulering. Eksempelvis er beslutningssystemene forskjellige i de nordiske landene, og det vil være behov for doble søknader til flere av landene. I tillegg finnes det ingen nordisk konsensus om behandling av desmoide tumorer noe som trolig gjør dette mer krevende og mindre egnet.

--	--

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>	Kostnad-per-QALY analyse basert på en «partitioned survival model».
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Voksne pasienter med progredierende desmoidtumorer som trenger systemisk behandling
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>	H2H studie mot BSC (NCT03785964) og ITC
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Ikke klart ennå
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>	Mars 2026

10 Sykdommen og eksisterende behandling	
10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon <i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptomtilde, eventuelt inkl. referanser</i>	Desmoide svulster (DT) er bløtvevssvulster som ikke har metastatisk potensial. Imidlertid er DT lokalt aggressive og invasive, noe som kan føre til betydelig sykkelighet, men sjelden død.
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Kreftsykdommer
10.3 Kreftområde <i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i>	Velg kreftområde fra menyen: Bein- og bløtvevskreft
10.4 Dagens behandling <i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i>	Håndtering av DT-pasienter som trenger systemisk behandling er utfordrende på grunn av deres varierte presentasjoner og uforutsigbare sykdomsforløp, hvor spontan regresjon forekommer hos 20–30 % av pasientene over tid. For øyeblikket finnes det ingen godkjente behandlinger, og retningslinjene for håndtering varierer basert på tumorens lokalisasjon, symptomer og sykdomsprogresjon. (Ogsiveo EPAR European Medicines Agency (EMA)) De gjeldende norske retningslinjene anbefaler å behandle kun når det er helt nødvendig. Tumorveksten kan spontant stoppe opp, og svulsten kan bli mindre eller gå helt tilbake uten noen form for behandling. Derfor observeres først det naturlige forløpet. Kirurgi gjøres bare ved sterke symptomer og der svulsten kan fjernes uten store skadevirkninger av operasjonen. Hvis det er fare for varig funksjonstap eller livsviktige funksjoner er truet, er behandling med cellegift førstevalg. Både kirurgi og medikamentell behandling skal gjøres ved eller i nært samarbeid med sarkomsenter. Oppfølging er individuell, med aktiv observasjon (fibromatose – Store medisinske leksikon).
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	DT kan være lokalt aggressive og invasive. Komprimering av vitale strukturer forårsaket av desmoidtumor kan føre til sterke smerter, funksjonsnedsettelse, nerveskade samt

	tarmobstruksjon eller perforasjon. I tillegg kan tumorspesifikke symptomer ha negativ innvirkning på skole, arbeid og psykososial funksjon. Smerte er knyttet til sykdomsprogresjon og kan resultere i opioidavhengighet eller utilstrekkelig smertebehandling på grunn av frykt for å utvikle slik avhengighet
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Førstevalg systemisk behandling
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>	I Norge er det to til fire nye tilfeller av desmoide tumorer per million innbyggere per år, vanligst hos unge voksne (under 40 år) og sjelden hos barn før pubertet og hos eldre. (fibromatose – Store medisinske leksikon). Andelen som krever systemisk behandling er per nå uklart men antagligvis liten.

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	Phase II Trial of the Gamma-Secretase Inhibitor PF-03084014 in Adults With Desmoid Tumors/ Aggressive Fibromatosis NCT01981551	A Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Phase 3 Trial of Nirogacestat Versus Placebo in Adult Patients With Progressing Desmoid Tumors/Aggressive Fibromatosis (DT/AF) NCT03785964.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.2 Studietype og -design	Phase II open-label single center	Multicenter phase 3, double-blind,	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

		randomized, placebo-controlled,	
11.3 Formål	Primary: Determine the response rate (Complete Response (CR)+Partial Response (PR)) of PF-03084014 in patients with desmoid tumors/aggressive fibromatosis Secondary: Assess symptom measures at baseline and on study; perform genotyping for germline and somatic mutations in adenomatous polyposis coli gene (APC) and catenin-beta 1 (CTNNB1) genes; correlate clinical response to therapy with genotyping data; and assess modulation of the Notch pathway by evaluating notch response genes in tumor biopsies at baseline and after drug administration	Assess the efficacy and safety of nirogacestat in a phase 3, randomized, placebo-controlled trial involving patients with progressing desmoid tumors.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.4 Populasjon Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier	A total of 17 patients were included. Eligibility criteria: Age greater than or equal to 18; histologically confirmed desmoid tumor not amenable to curative resection or definitive radiation therapy that has progressed after receiving at least one	A total of 142 patients were included, of whom 70 patients were assigned to receive nirogacestat and 72 to receive placebo Eligibility criteria: Patients 18 years of age or older with a histologically confirmed diagnosis of progressing	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	line of standard treatment; adequate organ function • Willingness to provide blood samples and 10 unstained slides or a tumor block for genetic research studies	desmoid tumors (defined as $\geq 20\%$ progression according to the Response Evaluation Criteria in Solid Tumors [RECIST], version 1.1, within 12 months before screening). Eligible patients either had not received previous treatment for progressing desmoid tumors that were not amenable to surgery or had refractory or recurrent desmoid tumors after at least one line of therapy.	
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Study drug will be administered orally at 150 mg twice a day in 21-day cycles	Oral nirogacestat (150 mg) twice daily, taken continuously in 28-day cycles Patients continued to receive nirogacestat (or placebo) until one of the following events or circumstances occurred, as defined by the trial protocol (available with the full text of this article at NEJM.org): death, trial completion, imaging-based or investigator-determined clinical progression, an intolerable adverse event, circumstances that prevented the patient from adhering to the trial protocol, or patient or investigator request for discontinuation. Dose reduction to 100 mg twice daily was mandated by the protocol for the management of	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

		selected, persistent adverse events of grade 3 or higher (diarrhea, nausea, vomiting, skin toxic effects, hypophosphatemia, and hematologic or nonhematologic toxic effects) and was optional for grade 2 ovarian dysfunction. After imaging-based progression or completion of the primary analysis, the trial-group assignment was revealed to the patient. If eligible, patients were given the option to enroll in an open-label extension phase.	
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	N/A	Placebo	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Primary efficacy end points: Determine the response rate (Complete Response (CR)+Partial Response (PR)) of PF-03084014 in patients with desmoid tumors/aggressive fibromatosis Secondary endpoints: - o Assess symptom measures at baseline and on study; - o perform genotyping for germline and somatic mutations in adenomatous polyposis coli gene	• Primary efficacy end points: Progression-free survival (PFS), defined as the time from randomization until the date of imaging-based or clinical progression or death. • Secondary efficacy end points: - o Confirmed objective response (defined as complete response or partial response according to RECIST, version 1.1) and - o the change from baseline at cycle 10 in	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	(APC) and catenin-beta 1 (CTNNB1) genes; - o correlate clinical response to therapy with genotyping data; - o and assess modulation of the Notch pathway by evaluating notch response genes in tumor biopsies at baseline and after drug administration	the following patient reported outcomes: ② the Brief Pain Inventory– Short Form (BPI-SF) average worst pain intensity score, ② the Gounder–Desmoid Tumor Research Foundation Desmoid Symptom/Impact Scale (GODDESS)2 Desmoid Tumor Symptom Scale (DTSS) total symptom score, ② the GODDESS Desmoid Tumor Impact Scale (DTIS) physical functioning domain score ② scores on the European Organisation for Research and Treatment of Cancer Quality of Life Questionnaire–Core 30 (EORTC QLQ-C30) scales for global health status– quality of life, physical functioning, and role functioning	
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.		Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.9 Oppfølgingstid <i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos Direktoratet for</i>	Median follow-up time was > 25 months	The overall median follow-up for progression-free survival was 15.9 months	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<i>medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i>			
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Avsluttet	Avsluttet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Kummar et al. (2017) Clinical Activity of the γ -Secretase Inhibitor PF-03084014 in Adults With Desmoid Tumors (Aggressive Fibromatosis).	Ratan R, Kasper B, Alcindor T, Schoffski P, van der Graaf WTA, Federman N, Bui NQ, D'Amato G, Riedel RF, Attia S, Chawla S, Lim A, Tumminello B, Oton AB, Chu Y, Zhou S, Gounder M. Efficacy and Safety of Long-Term Continuous Nirogacestat Treatment in Adults With Desmoid Tumors: Results From the DeFi Trial. J Clin Oncol. 2025 Oct 20;JCO2500582. doi: 10.1200/JCO-25-00582. Online ahead of print. Gounder MM, Atkinson TM, Bell T, Daskalopoulou C, Griffiths P, Martindale M, Smith LM, Lim A. GOunder/Desmoid Tumor Research Foundation DEsmoid Symptom/Impact Scale (GODDESS(c)): psychometric properties and clinically meaningful thresholds as assessed in the Phase 3 DeFi randomized controlled clinical trial. Qual Life	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

		Res. 2023 Oct;32(10):2861-2873. doi: 10.1007/s11136-023-03445-7. Epub 2023 Jun 22. Gounder M, Ratan R, Alcindor T, Schoffski P, van der Graaf WT, Wilky BA, Riedel RF, Lim A, Smith LM, Moody S, Attia S, Chawla S, D'Amato G, Federman N, Merriam P, Van Tine BA, Vincenzi B, Benson C, Bui NQ, Chugh R, Tinoco G, Charlson J, Dileo P, Hartner L, Lapeire L, Mazzeo F, Palmerini E, Reichardt P, Stacchiotti S, Bailey HH, Burgess MA, Cote GM, Davis LE, Deshpande H, Gelderblom H, Grignani G, Loggers E, Philip T, Pressey JG, Kummar S, Kasper B. Nirogacestat, a gamma-Secretase Inhibitor for Desmoid Tumors. N Engl J Med. 2023 Mar 9;388(10):898-912. doi: 10.1056/NEJMoa2210140.	
--	--	---	--

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 ☐ A Study of a New Drug, Nirogacestat, for Treating Desmoid Tumors That Cannot be Removed by Surgery a. NCT04195399 b. Phase 2 trial c. Estimated study completion date: 2025-09-30 Evaluation of the Response and Non-response of Nirogacestat in Desmoid Tumors- Clinical Study a. NCT05879146

	b. Phase 2 trial c. Estimated study completion date: 2028-01-31 Study of Cryoablation and Nirogacestat for Desmoid Tumor a. NCT05949099 b. Phase 2 trial c. Estimated study completion date: 2028-02-01 A Study of Nirogacestat in Japanese Adults with Desmoid Tumors/ Aggressive Fibromatosis (DT/ AF) a. NCT07170644 b. Phase 2 trial c. Estimated study completion date: 2030-12-31 Nirogacestat in Premenopausal Females with Desmoid Tumor/ Aggressive Fibromatosis (DT/ AF) a. NCT07176689 b. Phase 4 c. Estimated study completion date: 2031-03-30
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? <i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i>	Ja ☐ Nei ☐ 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? <i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i> <i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)</i>	Ja ☒ Nei ☐ Dr.Med Ivar Hompland, Sarkomsenteret Radiumhospitalet, Oslo Universitetssykehus Ivar har beskrevet dagens behandlingspraksis både medikamentelt og ikke-medikamentelt og medisinsk behov for denne pasientgruppen
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? <i>Hvis ja, begrunn kort.</i> <i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i> 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?	

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2025_107
Handelsnavn (virkestoff)	Ogsiveo (nirogacestat)
Virkningsmekanisme	Nirogacestat er en reversibel og ikke-kompetitiv hemmer av gamma-sekretase som blokkerer proteolytisk aktivering av Notch-reseptoren. Ved feilregulering kan Notch-reseptoren aktivere signalveier som bidrar til tumorvekst.
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder et nytt virkestoff. Legemidlet har markedsføringstillatelse i Norge fra 14.08.2025 ¹ , evalueringsrapport fra EU (EPAR) ² .
Aktuell indikasjon	Monoterapi til behandling av voksne pasienter med progredierende desmoide tumorer som krever systemisk behandling.
Dosering	Peroral administrasjon. Anbefalt dose er 150 mg to ganger daglig, én dose om morgenen og én dose om kvelden til sykdomsprogresjon eller uakseptabel toksisitet.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Merck AS
Bakgrunn	Desmoide tumorer (DT), også kjent som aggressiv fibromatose (AF), er sjeldne, lokalt aggressive, langsomt voksende bløtvevssvulster uten metastatisk potensiale. Svulstene kan forårsake sterke smerter, funksjonsnedsettelse, nerveskader, samt tarmobstruksjon eller perforasjon ved å infiltrere eller utøve trykk på vitale strukturer. Det kliniske forløpet av DT kan være heterogent og sykdomsforløpet kan både preges av tumorvekst, proliferasjon og sykdomsprogresjon, men også av stabilisering av sykdommen og spontan remisjon². Behandling av DT vil variere fra pasient til pasient, og vil være avhengig av størrelse, lokasjon og morbiditet assosiert med svulsten. Det foreligger retningslinjer for behandling av intraabdominal/mesenterial desmoid fibromatose i handlingsprogrammet for tynntarmskreft³. Medisinske fageksperter opplyser om at det per i dag ikke finnes forhåndsgodkjente systemiske behandlingsregimer for DT i Norge. Følgende preparater brukes som klinisk tilgjengelig standard behandling: liposomalt doksorubicin, metotreksat/vinorelbin, pazopanib og sorafenib. I noen tilfeller kan radioterapi benyttes. Medisinske fageksperter fremholder at det foreligger et stort medisinsk behov for effektiv behandling av disse pasientene. Det foreligger resultater fra en randomisert kontrollert studie, NIR-DT-301, hvor nirogacestat sammenliknes med placebo. Studien har progresjonsfri overlevelse som primært endepunkt, sekundære

¹ <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ogsiveo#authorisation-details>

² https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/ogsiveo-epar-public-assessment-report_en.pdf

³ <https://www.helsedirektoratet.no/retningslinjer/tynntarmskreft-handlingsprogram/andre-tynntarmssvulster/intraabdominal-mesenterial-desmoid-fibromatose#behandling>

	endepunkt inneholdt blant annet responsrater og helserelatert livskvalitet ⁴. Leverandør planlegger å sende inn en kostnad-per-QALY analyse basert på en «partitioned survival model» hvor dokumentasjonen som skal ligge til grunn er resultater fra NIR-DT-301 og en ITC.
Preliminær PICO⁵	P: I tråd med endelig godkjent indikasjon. I: Nirogacestat brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtale. C: Dagens standardbehandling. Det foreligger retningslinjer for behandling av intraabdominal/mesenterial desmoid fibromatose i handlingsprogrammet for tynntarmskreft³. O: Overlevelse, helserelatert livskvalitet, ressursbruk
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	DMP mener at NIR-DT-301studien er egnet som dokumentasjonsgrunnlag for en helseøkonomisk analyse med en kostnad-nytte-analyse. Leverandør opplyser om at det også vil ligge til grunn en indirekte sammenligning i det planlagte dokumentasjonsgrunnlaget, uten at det fremgår konkret hva denne skal informere om/ hvilke studier som skal inkluderes. DMP bemerker at komparator i studien er placebo, mens indikasjonen er «monoterapi til behandling av voksne pasienter med progredierende desmoide tumorer som krever systemisk behandling». DMP antar at disse pasientene per i dag behandles med systemisk behandling i norsk klinisk praksis. Fra handlingsprogrammet fremgår det følgende: <i>Det hersker internasjonal enighet om at DF, uansett lokalisasjon, initialt bør observeres ubehandlet med mindre det foreligger umiddelbar fare for varig funksjonstap. Med en slik tilnærming vil over halvparten av pasientene med intraabdominal DF unngå kirurgi eller annen behandling. Hvis det oppstår behandlingsindikasjon (smerte, truende funksjonstap), er kjemoterapi førstevalget»³.</i>
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 med en kostnad-nytte-analyse.

⁴ https://www.nejm.org/doi/10.1056/NEJMoa2210140?url_ver=Z39.88-2003&rfr_id=ori:rid:crossref.org&rfr_dat=cr_pub%20%20pubmed

⁵ Pasientpopulasjon, intervensjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering

Versjonslogg*

Dato	Hva
03.03.2026	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.	

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2025_107

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Anbefalinger for behandling av aggressiv fibromatose inkluderer aktivt oppfølging, lokoregional behandling og systemisk terapi. Per i dag finnes ikke forhåndsgodkjente systemiske behandlingsregimer for desmoid tumor i Norge. Følgende preparater brukes som klinisk tilgjengelig standard behandling: liposomalt doksorubicin, metotreksat/vinorelbin, pazopanib og sorafenib. De to siste har overlappende virkningsmekanisme. Respons rate av disse preparater varierer i forskjellige studier. I noen tilfeller kan radioterapi til 56 Gy/28 fraksjoner mot tumor benyttes. Sykdommen kan ramme unge mennesker, hvor man ønsker å unngå eller utsette radioterapi for en godartet tilstand grunnet risiko for sekundær, stråleindusert malignitet.
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?	Ja, det er et stort klinisk behov for effektiv behandling av disse pasientene. Sykdommen kan ha fluktuerende forløp, er lokalt invassivt og i kan den påvirke livskvalitet, arbeidsevne og forårsake alvorlige komplikasjoner, særlig ved

Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	lesjoner lokalisert intratorakalt, intraabdominalt eller i hode-hals området. Denne metoden vil dekke et behandlingsbehov for pasienter som har begrenset effektivt behandlingstilbud i øyeblikket.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Det er en sjelden tilstand med forekomst 4-6 tilfeller/år/million med høyest forekomst i alder 30-40 år.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Pasienter med desmoid svulster er ofte symptomatiske med kroniske smerter (63 %), søvnvansker (73 %). Valg av aktiv behandling er avhengig av tumor lokalisasjon, symptomer og risikovurdering. Denne tilstanden er lokalt aggressiv og kan være livstruende dersom lokalisert i nærheten av vitale strukturer.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Ingen

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	Haukeland Universitetssykehus
Avdeling	Kreftklinikken
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Dorota Golpen, overlege

Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Saksnummer 040-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2025_104 Rilzabrutinib (Wayrilz) til behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) hos voksne pasienter som er refraktære overfor annen behandling.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet, er leverandøren som har søkt om markedsføringstillatelse (MT): Sanofi.
- Anmodningen gjelder et nytt virkestoff; rilzabrutinib, som er en BTK-hemmer (Brutons tyrosinkinase-hemmer).
- Leverandøren er kjent med at Nye metoder har behandlet følgende legemiddel/virkestoff til samme indikasjon: [ID2019_041](#) Fostamatinib (Tavlesse).
- Forventet tidspunkt for MT for den aktuelle indikasjonen i Norge: desember 2025.
- Legemiddelet har «orphan drug designation» hos EMA (det europeiske legemiddelbyrået).
- Dagens behandling: førstelinjebehandling med kortikosteroider, andrelinjebehandling med trombopoietinreseptoragonister (TPO-RA) og tredjelinjebehandling med rituksimab. Fostamatinib (SYK-hemmer, spleen tyrosine kinase-hemmer) er innført til voksne pasienter som er refraktære overfor annen behandling.
- Plass i behandlingen: Rilzabrutinib forventes å vurderes for bruk hos pasienter som ikke har oppnådd tilstrekkelig respons med dagens behandlinger, og kan dermed representere et tillegg til dagens praksis utover tredjelinjenivå.
- Pasientgrunnlag: 1- 4 nye tilfeller av immun trombocytopeni per 100 000 voksne per år.
- Type helseøkonomisk analyse: kostnads-nytte-analyse.
- Forventet tidspunkt for levering av dokumentasjon til DMP: april 2026.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (vedlagt):

- Fikk MT i Europa 22.12.2025
- Vurdering fra DMP: Sanofi plasserer rilzabrutinib som en sistelinjebehandling og foreslår en kostnad-nytte-analyse i sin anmodning. En indirekte behandlingssammenligning (ITC) skal etablere relativ effekt ifølge anmodningen, men Sanofi opplyser ikke om hva som er planlagt komparator.
- Rilzabrutinib og fostamatinib har tilsvarende indikasjonsordlyd og DMP vurderer at rilzabrutinib kan være et alternativ til fostamatinib. Basert på opplysninger i anmodningen, finnes det ingen direkte studie av rilzabrutinib sammenlignet med fostamatinib. Det vil derfor være nødvendig med ITC for å etablere relativ effekt mot fostamatinib.
- Anbefaling fra DMP: 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. En kostnad-nytte-analyse er aktuelt dersom en forskjell i effekt og/eller sikkerhet sammenlignet med fostamatinib kan dokumenteres. En kostnadminimeringsanalyse er aktuelt dersom sammenlignbar effekt og sikkerhet mellom rilzabrutinib og fostamatinib kan dokumenteres.
- DMP oppfordrer til at leverandør avtaler et formøte med DMP før dokumentasjon sendes inn. Hensikten med formøtet er å veilede firma i forhold til nødvendig dokumentasjon for relativ effekt sammenlignet med fostamatinib, samt hvilken dokumentasjon som bør inngå i en eventuell kostnad-nytte-analyse.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.

- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Ingen nasjonale faglige retningslinjer vil bli påvirket.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret ble plassert hos RHF-ene 01.04.2025.

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: 10.12.2025

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Sanofi
1.2 Navn kontaktperson	Kirstin Mesteig
1.3 Stilling kontaktperson	Head of Market Access and Public Affairs
1.4 Telefon	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.5 E-post	Kirstin.mesteig@sanofi.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.7 Telefon og e-post	+

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?	Behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) hos voksne pasienter som er refraktære overfor annen behandling

<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	Wayrilz®
2.4 Generisk navn/virkestoff	Rilzabrutinib
2.5 ATC-kode	B02BX Reference: https://atcddd.fhi.no/atc_ddd_index/
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingslengde</i> <i>Skriv kort</i>	Rilzabrutinib is orally administrated with a 400 mg tablet BID Rilzabrutinib can be taken at approximately the same time each day with or without food Length of treatment is until progression of disease
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Rilzabrutinib (Wayrilz®) is an oral, reversible, potent, covalent, Bruton's tyrosine kinase (BTK) inhibitor that contains both covalent and non-covalent regions and was designed for the treatment of immune-medicated diseases The covalent binding of rilzabrutinib contributes to its long BTK-target engagement occupancy and durable inhibition with limited drug exposure, clinical advantage that, due to its reversibility, is accompanied by rapid systemic clearance, which combined with its binding specificity reduces the potential for off-target toxic effects BTK-inhibition results in the down regulation of various immune cell activities including proliferation, differentiation, maturation, survival, cytokine production, and up-regulation of apoptosis. It is a key therapeutic target in immune-mediated diseases due to its role in B-cell differentiation and development, antibody production, and Fcγ receptor (FcγR)-mediated

	phagocytosis and its direct regulation of innate immunity and inflammatory pathways Rilzabrutinib mediates its therapeutics effects for ITP through multiple mechanisms of action: 1) inhibition of B-cell activation and 2) interruption of antibody-coated cell phagocytosis by FcγR in spleen and liver. In in-vitro testing, Rilzabrutinib reduced autoantibody signaling mediated through the FcγR pathway, blocked B-cell activation. In addition, Rilzabrutinib may potentially play a role in amelioration of chronic inflammation associated with ITP. References: Sanofi, "Data on file. Proposed rilzabrutinib USPI.." D. J. Kuter <i>et al.</i>, "Rilzabrutinib, an Oral BTK Inhibitor, in Immune Thrombocytopenia," <i>New England Journal of Medicine</i>, vol. 386, no. 15, pp. 1421-1431, 2022/04/14 2022, doi: 10.1056/NEJMoa2110297.
--	--

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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja ☒ Nei ☐ ID-nummer: ID2019_041
3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng? <i>Hvis ja, oppgi referanse</i>	Ja ☐ Nei ☒ 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? <i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i>	Ja ☐ Nei ☒ Dato for MT for første indikasjon: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.
4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?	Ja ☐ Nei ☒

4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon? <i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i> <i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i> <i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i>	MT i Norge: Ja ☐ Nei ☒ Prosedyrenummer i EMA: EMA/H/C/006425 Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): 16 October 2025 Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): December/2025. Hvis metoden har MT: Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.
4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon? <i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i>	Ja ☐ Nei ☒ 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»: 04.06.2020

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: Rilzabrutinib is a reversible covalent Bruton's tyrosine kinase (BTK) inhibitor, and there are currently no approved medicinal products for ITP with this mechanism of action.
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: Rilzabrutinib is not considered comparable to any methods previously introduced by Nye Metoder for ITP. BTK inhibition constitutes a new therapeutic modality, and existing treatments (TPO-RAs and the SYK inhibitor fostamatinib) differ in mechanism of action, clinical profile, and safety characteristics. Rilzabrutinib should therefore be regarded as a distinct and novel treatment option.
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja ☐ Nei ☒ Kommentar: There are currently no tenders in Norway that are relevant for rilzabrutinib. The Tender 2699I ITP concerns only thrombopoietin receptor agonists (TPO-RAs).

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: Due to differences in clinical practice across the Nordic countries and different internal timelines for submission of reimbursement dossier in the Nordic countries, is it not relevant to have a joint Nordic assessment.

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)	
8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av	Ja ☐ Nei ☒

relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)? <i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i>	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>	Cost utility analysis QALYs enable comparability between different interventions and different diseases. A cost utility analysis enables consistent assessments.
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Adult ITP patients who are refractory to other treatments
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>	ITC as no H2H study is available
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	45 Million NOK
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>	April 2026

10 Sykdommen og eksisterende behandling	
10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon	ITP is a rare autoimmune disorder characterized by low platelet counts that results in an increased risk of severe bleeding episodes and thromboembolic events

<i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i>	- ITP arises from complex immune dysregulation involving aberrant activation and impaired regulation of both innate and adaptive immune pathways, contribution to platelet destruction and impaired thrombopoiesis. - ITP may be classified as primary or secondary to other medical conditions present at diagnosis. The disease duration determines the classification for ITP as newly diagnosed, persistent or chronic References: Audia S, Mahévas M, Nivet M, Ouandji S, Ciudad M, Bonnotte B. Immune Thrombocytopenia: Recent Advances in Pathogenesis and Treatment. Hemasphere. 2021 Jun;5(6):e574 Kuter DJ, Bussel JB, Ghanima W, Cooper N, Gernsheimer, T, Lambert MP, et.al. Rituximab versus placebo in adults and adolescents with persistent or chronic immune thrombocytopenia: LUNA 3 phase III study. Therapeutic Advances in Hematology. 2023; 14:20406207231205431
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Blodsykdommer
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>	The purpose of the treatment is to increase the level of platelets to stop or prevent bleeding. The first choice among the available treatments is glucocorticoids, which are effective in about 75% of patients. In patients with severe thrombocytopenia, intravenous treatment with immunoglobulins may be considered. The second choice is usually surgical removal of the spleen. Treatment options when the first or second choice is not suitable or does not produce the desired effect include fostamatinib, romiplostim, eltrombopag, rituximab, or immunosuppressive therapy with chemotherapy. References:

	T4.4.2.1 Immunologisk nedbrytning av blodplater, Norsk legemiddelhåndbok [revidert 28.08.2024]. Tilgjengelig fra: https://www.legemiddelhandboka.no/legacy/chapter/T4.4.2.1
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Overall prognosis for adults with ITP in Norway is good, especially given access to modern therapy (TPO-RAs and fostamatinib). Most patients avoid life-threatening bleeding and many achieve stable long-term remission. However, on a population level, adults with chronic ITP still show some excess mortality compared with the general population. References: Mannering, N., Hansen, D.L., Pottegård, A. and Frederiksen, H. Survival in adult patients with chronic primary and secondary immune thrombocytopenia: A population-based stud. 2022. https://www.legeforeningen.no/contentassets/032228f21383459987f94f80615ea957/07-10-11-nasjonale-retningslinjer-for-itp-010111615720813.pdf https://www.oslo-universitetssykehus.no/behandlinger/immunologisk-trombocytopeni-itp-behandling
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	According to Sykehusinnkjøp's pricing note, current clinical practice in Norway consists of first-line treatment with corticosteroids, second-line therapy with thrombopoietin receptor agonists (TPO-RAs), and third-line use of rituximab. On this basis, Beslutningsforum has decided to introduce fostamatinib for adult patients with ITP who are refractory to previous treatment. Rilzabrutinib is therefore expected to be considered for use in patients who have not achieved adequate response with these established therapies, representing an additional option beyond current third-line practice

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>	Immune thrombocytopenia is an autoimmune disease and is the most common cause of low platelet count (thrombocytes). The main function of platelets is to ensure that blood can clot, and at low levels, patients usually experience small bruises on the skin. In severe cases, internal bleeding can occur, which may be life-threatening. In children, the condition is often short-lived and temporary, but in adults, a chronic course is more commonly seen, defined as lasting more than 12 months. It is estimated that 1–4 new cases of immune thrombocytopenia occur per 100,000 adults per year. Reference: Norsk Helseinformatik [revidert 10.06.2020]. Tilgjengelig fra: https://nhi.no/sykdommer/blod/blodningssykdommer/primar-immun-trombocytopeni

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	LUNA2 (Part A and Part B) - Part A of LUNA 2 is a dose-finding study of rilzabrutinib in patients with refractory or relapsed ITP with no available approved therapeutic options - Part B of LUNA2 in an open-label study of rilzabrutinib in patients with	LUNA3 PRN1008-018 (EFC17093) NCT04562766 Link: https://clinicaltrials.gov/study/NCT04562766?id=NCT04562766&rank=1	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	replaced ITP with an insufficient response to prior therapies using a dose of 400 mg BID NCT03395210 Link: https://clinicaltrials.gov/study/NCT03395210?id=NCT03395210&rank=1		
11.2 Studietype og -design	Phase I/II study - Phase A is a dose-finding study - Phase B is an open-label study	Ongoing, pivotal Phase III, multicenter, randomized, double-blinded, placebo-controlled, parallel-group study with an open-label extension to evaluate the efficacy and safety of oral Rilzabrutinib in adults and adolescents with persistent or chronic ITP	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	Investigating the safety, pharmacokinetics, and clinical activity of Rilzabrutinib in adult patients with relapsed ITP.	to evaluate the efficacy and safety of oral Rilzabrutinib in adults and adolescents with persistent or chronic ITP	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	LUNA2 – Part A: Patients with ITP who are refractory or relapsed with no available and approved therapeutic options, with a platelet count <30,000/ μL on two counts no sooner than 7 days apart in the 15 days before treatment begins Inclusion criteria:	Patients who had a response (achievement of platelet count $\geq 50,000/\mu$ L) to IVIg/anti-D or CSs that was not sustained and who have documented intolerance, insufficient response or any contraindication to any appropriate courses of standard of care ITP therapy	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	- Male or female patients, aged 18-80 years old - Immune-related ITP (both primary and secondary) Exclusion criteria: - Pregnant or lactating women - Current drug or alcohol abuse - History of solid organ transplant - Positive screening for HIV, hepatitis B, or hepatitis C LUNA2 – Part B: Patients with ITP who have relapsed or have an insufficient response to prior therapies. Eligible patients will have a platelet count $<30,000/\mu\text{L}$ on two occasions no less than 7 days apart, within 15 days before treatment begins, and a platelet count of $\leq 35,000/\mu\text{L}$ on Study Day 1. Inclusion criteria: - Male or female patients, aged 18-80 years old - Immune-related ITP (both primary and secondary) Exclusion criteria: - Pregnant or lactating women - Current drug or alcohol abuse - History of solid organ transplant Positive screening for HIV, hepatitis B, or hepatitis C	Inclusion criteria: - Patients will be male and female with primary ITP with duration of >6 months in pediatric participants aged 12 to <18 (pediatric participants aged 10 to <12 years will be enrolled in the EU [EEA countries] only) and duration of >3 months in ages 18 years and above - Patients who had a response (achievement of platelet count $\geq 50,000/\mu\text{L}$) to IVIg/anti-D or CSs that was not sustained and who have documented intolerance, insufficient response or any contra-indication to any appropriate courses of standard of care ITP therapy - An average of 2 platelet counts at least 5 days apart of $<30,000/\mu\text{L}$ during the screening period and no single platelet count $>35,000/\mu\text{L}$, within 14 days prior to the first	
--	--	---	--

		dose of study drug - Pediatric patients must additionally be determined to need treatment for ITP as per clinical assessment by the investigator - Adequate hematologic, hepatic, and renal function (absolute neutrophil count $\geq 1.5 \times 10^9/L$, AST/ALT $\leq 1.5 \times$ upper limit of normal [ULM], albumin ≥ 3 g/dL, total bilirubin $\leq 1.5 \times$ ULN [unless the patient has documented Gilbert syndrome], glomerular filtration rate >50 [Cockcroft and Gault method for adult and Bedside Schwartz Equation for pediatric participants]) - Hemoglobin >9 g/dL within 1 week prior to Study Day 1 - All contraceptive use by men and women should be consistent with local regulations regarding the methods of	
--	--	---	--

		contraception or those participating in clinical studies - Patients must be able to provide written informed consent or informed assent with corresponding informed consent obtained from the patient's guardian and agree to the schedule of assessments Exclusion criteria: - Patients with secondary ITP - Pregnant or lactating women - History (within 5 years of Study Day 1) or current, active malignancy requiring or likely to require chemotherapeutic or surgical treatment during the study, except for non-melanoma skin cancer - Transfusion with blood, blood products, plasmapheresis, or use of any other rescue medications with the intent to increase platelet count within 14 days before Study Day 1	
--	--	--	--

		- Change in CS and/or TRO-RA dose within 14 days prior to Study Day 1 (more than 10% variation from current dose) - Immunosuppressant drugs other than CSs within 5 times the elimination half-life of the drug or 14 days of Study Day 1, whichever is longer - Treatment with rituximab or splenectomy within the 3 months prior to Study Day 1 - Patients treated with rituximab will have normal B-cell counts prior to enrollment - Has received any investigational drug within the 30 days before receiving the first dose of study medication, or at least 5 times elimination half-life of the drug (whichever is longer); patients should not be using an investigational device at the time of dosing - Patients who previously received treatment with Bruton's	
--	--	--	--

		Tyrosine Kinase (BTK) inhibitors (expect rilzabrutinib) within 30 days before the first dose of study drug are not eligible - Patients who previously received rilzabrutinib at any time are not eligible - History of solid organ transplant - Myelodysplastic syndrome - Live vaccine within 28 days prior to Study day 1 or plan to receive one during the study - Planned surgery in the time frame of the dosing period	
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Part A: N/A Part B: Orally administered rilzabrutinib 400 mg BID. 28-day screening period, 24 weeks of active treatment and 4 weeks of safety follow-up = a total duration of 32 weeks	Rilzabrutinib 400 mg BID for 24 weeks across the study periods	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11.6 Komparator (n)	N/A	Placebo	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
<i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>			
11.7 Endepunkter	Part A: N/A	N/A	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
<i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Part B: Primary endpoints: Efficacy - Proportion of participants able to achieve platelet counts $\geq 50,000/\mu\text{L}$ on at least week 8 out of the last 12 weeks of the 24-week treatment period without the use of rescue medication after 10 weeks of active treatment (durable response) Safety: - The incidence, severity and relationship of TEAEs, including clinically significant changes in physical examination, laboratory tests, ECG, and vital signs - TEAEs in the post treatment follow-up period		

	and their possible relationship to prior rilzabrutinib treatment Secondary endpoints: Efficacy: - Number of weeks with platelet count $\geq 50,000$ OR $\geq 30,000/\mu\text{L}$ and doubling the basaeline in the absence of rescue therapy (platelet counts were censored for 4 weeks after the use of rescue medication, if given) - Proportion of all treated participants able to achieve 2 or more consecutive platelet counts, separated by at least 5 days of $\geq 50,000/\mu\text{L}$ AND an increase of platelet count of $\geq 20,000/\mu\text{L}$ from baseline without use of rescue medication on the 4 weeks prior to the latest elevated platelet count - Number of weeks with platelet counts $\geq 30,000/\mu\text{L}$ and doubling fom baseline over the		
--	---	--	--

	24-week treatment period (platelet counts were censored for 4 weeks after the use of rescue medication, if given) - Proportion of participants receiving rescue medication - Change from baseline in IBLs		
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	N/A	N/A	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.9 Oppfølgingstid <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>	N/R	N/R	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Part A: Study start date: 22nd of March 2018 Study completion date: 04th of May 2021 Part B: Study start date: 22nd of March 2018 Stuy completion date: 03rd of March 2023	Study start date: 14th of December 2020 Primary completion date: 15th of January 2025 Study completion date (estimated): 26th of August 2026	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publisasjon</i>	Part A: Kuter DJ, Efraim M, Mayer J, Trnėnė M, McDonald V, Bird R, et al. Rilzabrutinib, an Oral BTK Inhibitor, in Immune Thrombocytopenia. New England Journal of Medicine. 2022 Kuter DJ, Mayer J, Efraim M, Bogdanov LH, Baker RI, Kaplan ZS, et al. Long-term treatment with rilzabrutinib in patients with immune thrombocytopenia. Blood Adv. 2024 Part B: Cooper N, Jansen AJG, Bird R, Mayer J, Sholzberg M, Tarantino MD, et al. Initial Report of Part B Phase 1/2 Efficacy and Safety Results for Bruton Tyrosine Kinase Inhibitor Rilzabrutinib in Patients with Replapsed Immune Thrombocytopenia. Blood. 2023	Kuter DJ, Ghanima W, Cooper N, Liebman HA, Zhang L, Hu Y, et al. Safety and efficacy of rilzabrutinib vs placebo in adults with immune thrombocytopenia: the phase 3 LUNA3 study. Blood. 2025 Lin J, Radhakrishnan J. What Are Baskets, Umbrellas, and Platforms Doing in Nephrology Clinical Trials? J Am Soc Nephrol. 2025 Kuter DJ, Bussel JB, Ghanima W, Cooper N, Gernsheimer T, Lambert MP, Liebman HA, Tarantino MD, Lee M, Guo H, Daak A. Rilzabrutinib versus placebo in adults and adolescents with persistent or chronic immune thrombocytopenia: LUNA 3 phase III study. Ther Adv Hematol. 2023	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 ☐ LUNA4 Study start date 21nd of July 2025 Study completion ate is 30nd of December 2028
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja ☒ Nei ☐ https://clinicaltrials.gov/search?intr=Rilzabrutinib

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? <i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i>	Ja ☒ Nei ☐ 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? <i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i>	Ja ☒ Nei ☐ Professor MD Waleed Ghanima, Head of Research and Consultant Haematologist, Østfold Hospital Norway and Professor in the Institute of Clinical Medicine at the University of Oslo, Norway.
--	---

<i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fagekspert i Nye metoder)</i>	Professor Waleed has supported as chair in ITP AdBs and will support in 2026 with disseminate of LUNA3 data at national/local heamatology congress.
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? <i>Hvis ja, begrunn kort.</i> <i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i> <i>Nærmere informasjon og skjema:</i> 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

Egnethetsvurdering	
ID-nummer	ID2025_104
Handelsnavn (virkestoff)	Wayrilz (rilzabrutinib)
Virkningsmekanisme	Rilzabrutinib er en selektiv, kovalent, reversibel BTK-hemmer som binder seg til og blokkerer enzymet Brutons tyrosinkinase (BTK). Ved immun trombocytopeni (ITP) utøver rilzabrutinib sin terapeutiske effekt ved å hemme B-celleaktivering, avbryte FcγR-mediert fagocytose og potensielt forbedre kronisk inflammasjon assosiert med ITP.
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder et nytt virkestoff. Legemidlet fikk markedsføringstillatelse (MT) i Europa 22.12.2025.
Aktuell indikasjon	Til behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni hos voksne pasienter som er refraktære overfor annen behandling.
Dosering	Filmdrasjert tablett, oral formulering, 400 mg to ganger daglig. Behandlingen er langvarig.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Sanofi
Bakgrunn	Primær immun trombocytopeni (ITP) er en autoimmun sykdom som gir lavt antall trombocytter og økt blødningsrisiko (1). Sekundær ITP kan utløses av infeksjoner, medikamenter og lymfoproliferative sykdommer (1). Sykdommen oppdages ofte tilfeldig, evt. på bakgrunn av spontane hudblødninger eller metro-menoragi. Diagnosen stilles ved trombocytter $< 100 \times 10^9/L$ uten andre hematologiske avvik, og eksklusjon av andre årsaker til trombocytopeni (1). ITP kan opptre som en kortvarig og forbigående tilstand, eller den kan ha et langvarig forløp. ITP med varighet over 12 måneder omtales som kronisk ITP (cITP). Barn har ofte spontan helbredelse, mens voksne oftest har et kronisk forløp (1). Basert på nordiske studier, har DMP tidligere estimert en forekomst på ca. 80 nye pasienter per år, og ca. 400-450 pasienter totalt i Norge i 2022 (2). Dagens behandling Ifølge NEL består behandling i norsk klinisk praksis av kortikosteroider i førstelinje (1). Andrelinje består av trombopoietinreseptoragonister (TPO-RA), rituksimab, cytostatika eller immunsuppressiva, og splenektomi (1). Splenektomi utføres dersom trombocytopenien er langvarig, behandlingsresistent og strengt nødvendig, ettersom remisjoner forekommer også etter mange års sykdomsvarighet (1). Ved alvorlig blødning (akutt form) gis høydose immunglobulin eller prednisolon (1). Ifølge Norsk legemiddelhåndbok (3) er førstevalg kortikosteroider, og andrevalg TPO-RA (romiplostim, eltrobopag eller avatrombopag), tyrosinkinasehemmere (fostamatinib), rituksimab eller splenektomi. Ifølge UpToDate (4) benyttes fostamatinib, spesielt til pasienter som ønsker å unngå immunsuppresjon i form av rituksimab eller splenektomi.

	Rituximab benyttes off-label. Av TPO-RA er avatrombopag (ID2020_043) metodevurdert og innført, og eltrombopag (ID2022_079) innført. Det foreligger et anbud i regi av Sykehusinnkjøp HF for TPO-RA-behandlinger (6). Fostamatinib (ID2019_041) er metodevurdert og besluttet innført i 2022, og har tilsvarende indikasjonsordlyd som rilzabrutinib. Rilzabrutinib og fostamatinib er begge tyrosinkinasehemmere som virker nedstrøms ved å hemme signaltransduksjon. Fostamatinib blokkerer milttyrosinkinase (SYK), mens rilzabrutinib hemmer BTK. Kliniske studier av rilzabrutinib Effekt og sikkerhet av rilzabrutinib er studert i to gjennomførte, og en pågående, kliniske studier: LUNA 2 (NCT03395210): åpen fase 2, dosefinnende studie. LUNA 3 (NCT04562766): randomisert, placebokontrollert, dobbeltblindet fase 3 studie: Pasientene ble randomisert 2:1 til rilzabrutinib (n=133) og placebo (n=69). Det var tillatt med samtidig bruk av kortikosteroider og TPO-RA i begge armer. Primærendepunkt var andel pasienter med stabil blodplaterespons med blodplatetall over det sikre nivået for blødning på $50 \times 10^9/L$. Sekundære endepunkter var andre mål for effekt, sikkerhet, og livskvalitet (ITP Patient Assessment Questionnaire [ITP-PAQ] og med Kids' ITP Tools [ITP-KIT]). Antall pasienter i LUNA 3 som var tidligere behandlet med fostamatinib var 24/202 (12%) (5). LUNA 4 (NCT07007962): pågående, åpen, enarmet studie av effekt og sikkerhet hos voksne pasienter med ITP med utilstrekkelig effekt på førstelinjebehandling.
Preliminær PICO¹	P: I tråd med endelig godkjent indikasjon. I: Rilzabrutinib brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtale (tablett á 400 mg to ganger daglig). C: Dagens standardbehandling (fostamatinib i dosering fra 100 mg/dag til 150 mg 2 ganger/dag (2)). O: Stabil blodplaterespons, antall uker med blodplaterespons, tid til redningsterapi, helserelatert livskvalitet og ressursbruk.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Sanofi plasserer rilzabrutinib som en sistelinjebehandling og foreslår en kostnad-nytte-analyse i sin anmodning. En indirekte behandlingssammenligning (ITC) skal etablere relativ effekt ifølge anmodningen, men Sanofi opplyser ikke om hva som er planlagt komparator.

¹ Pasientpopulasjon, intervensjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering

	Rilzabrutinib og fostamatinib har tilsvarende indikasjonsordlyd og DMP vurderer at rilzabrutinib kan være et alternativ til fostamatinib. Basert på opplysninger i anmodningen, finnes det ingen direkte studie av rilzabrutinib sammenlignet med fostamatinib. Det vil derfor være nødvendig med ITC for å etablere relativ effekt mot fostamatinib. Det har ikke kommet innspill fra fagmiljøet til anmodningen.
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. En kostnad-nytte-analyse er aktuelt dersom en forskjell i effekt og/eller sikkerhet sammenlignet med fostamatinib kan dokumenteres. En kostnadsminimeringsanalyse er aktuelt dersom sammenlignbar effekt og sikkerhet mellom rilzabrutinib og fostamatinib kan dokumenteres. DMP oppfordrer til at leverandør avtaler et formøte med DMP før dokumentasjon sendes inn. Hensikten med formøtet er å veilede firma i forhold til nødvendig dokumentasjon for relativ effekt sammenlignet med fostamatinib, samt hvilken dokumentasjon som bør inngå i en eventuell kostnad-nytte-analyse.
Referanser	1) Primær immun trombocytopeni (ITP) - NEL - Norsk Elektronisk Legehåndbok 2) Metodevurdering ID2019_041 fostamatinib (Tavlesse) ved ITP. 3) T4.4.2.1 Immunologisk nedbrytning av blodplater Legemiddelhåndboka 4) Second-line and subsequent therapies for immune thrombocytopenia (ITP) in adults - UpToDate 5) https://www.ema.europa.eu/no/documents/product-information/wayrilz-epar-product-information_no.pdf 6) 24991 ITP - anbefaling-immunologisk-trombocytopeni.pdf

Versjonslogg*

Dato	Hva
03.03.2026	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.

Saksnummer 041-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2026_011 Nivolumab (Opdivo) i kombinasjon med doxorubicin, vinblastine og dacarbazine (AVD) for voksne og ungdommer på 12 år og eldre med tidligere ubehandlet stadium III eller IV klassisk Hodgkins lymfom.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering, er leverandøren som har søkt om markedsføringstillatelse (MT): Bristol Myers Squibb (BMS).
- Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse. Legemiddelet er tidligere vurdert og innført for en rekke indikasjoner.
- Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme: PD-(L)1-hemmer.
- Kommentar til anbud: Onkologianbudet.
- Pasientgrunnlag: Ifølge leverandør estimerer norske klinikere at rundt 80 pasienter i aldersgruppen 18-60 år behandles for avansert HL (Hodgins lymfom) årlig.
- Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA: Q2 2026 (ca. mai).
- Forventet tidspunkt for MT i Norge: Q3 2026 (ca. august).

Kommentar fra sekretariatet

- Leverandøren har registrert legemidlet i ordningen «Forenklet vurdering av PD-(L)1 legemidler».

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: 09.02.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Bristol Myers Squibb
1.2 Navn kontaktperson	Linn Kleven
1.3 Stilling kontaktperson	Market Access Manager
1.4 Telefon	+47 97 65 13 40
1.5 E-post	linn.kleven@bms.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?	NO: OPDIVO i kombinasjon med doxorubicin, vinblastine og dacarbazine (AVD) er indikert for voksne og ungdommer på 12 år og eldre med tidligere ubehandlet stadium III eller IV klassisk Hodgkins lymfom.

<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>	<i>ENG: OPDIVO in combination with doxorubicin, vinblastine and dacarbazine (AVD) is indicated for adults and adolescents 12 years of age and older with previously untreated Stage III or IV classical Hodgkin lymphoma</i>
2.3 Handelsnavn	Opdivo
2.4 Generisk navn/virkestoff	Nivolumab
2.5 ATC-kode	L01FF01
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingsslengde</i> <i>Skriv kort</i>	Nivolumab + AVD Nivolumab 3 mg/kg for barn fra 12 til <18 år (max 240 mg). + AVD (Doxorubicin, vinblastine og dacarbazine) Nivolumab 240 mg for voksne Forventet behandlingsslengde: behandling dag 1 og 15, hver 28. dag i 6 sykluser.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Nivolumab er et fullstendig human IgG4 monoklonal antistoff som retter seg mot PD-1-reseptorens immunsjekkpunktvei. Nivolumab blokkerer signaleringen gjennom PD-1-reseptoren. Nivolumab er et humant monoklonalt antistoff som binder seg til programmert celledød-1 (PD-1)- reseptor og blokkerer dens interaksjon med PD-L1 og PD-L2. PD-1-reseptoren er en negativ regulator av T-celleaktivitet som har vist seg å være involvert i kontrollen av T-celle-immunrespons. Bindingen av PD-1 til ligandene PD-L1 og PD-L2, som er uttrykt på antigenpresenterende celler, og som kan være uttrykt på tumorer eller andre celler i tumorens mikromiljø, medfører hemming av T-celleproliferasjon og cytokin-sekresjon. Nivolumab potenciserer T-cellerespons, inkludert antitumorrespons, ved å blokkere binding av PD-1 til PD-L1 og PD-L2-ligander.

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: ID2025_030; ID 2025_032 ID2014_036; ID2015_047/ID2017_012; ID2015_053/ID2021_113; ID2016_092; ID2016_030; ID2016_070; ID2016_075; ID2016_095; ID2017_012; ID2017_115; ID2018_006; ID2019_022; ID2020_105; ID2020_103; ID2021_040; ID2021_041; ID2023_055; ID2021_081; ID2024_031; ID2022_071; ID2021_136
3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja ☒ Nei ☐ ID-nummer: ID2025_052
3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng? <i>Hvis ja, oppgi referanse</i>	Ja ☐ Nei ☒ 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? <i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i>	Ja ☒ Nei ☐ Dato for MT for første indikasjon: 19.06.2015
4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?	Ja ☒ Nei ☐
4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon? <i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i> <i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i> <i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i>	MT i Norge: Ja ☐ Nei ☒ Prosedyrenummer i EMA: EMA/VR/0000304938 Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Q2 2026 (ca mai) Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år):

	Q3 2026 (ca august)
	Hvis metoden har MT: Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.
4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon? <i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i>	Ja ☐ Nei ☒ 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»: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.

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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja ☒ Nei ☐ Kommentar: Onkologianbudet 2507
---	---

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: Forenklet vurdering av PD-(L)-1 hemmer legemiddel

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>	Ingen. Legemiddelet er med i ordningen forenklet vurdering av PD-(L)1 legemidler.
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Ingen helseøkonomisk analyse.
9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.)	Legemiddelet er med i ordningen forenklet vurdering av PD-(L)1 legemidler.

<i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i>	
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Et årlig legemiddelbudsjett for behandling av 80 pasienter i 1.linje med avansert HL, estimeres til å være ca 36,8 millioner kroner. Beregningene er basert på AUP eks mva. Dette er uten rabatt og de beregnede budsjettkonsekvensene vil derfor bli betydelig lavere.
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>	Siden Opdivo inngår i det forenklede løpet med PD-L1-hemmer, ser BMS ikke behov for å levere ytterligere dokumentasjon. En eventuell prisbekreftelse til SHI kan sendes samme dag den forespørres.

10 Sykdommen og eksisterende behandling	
10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon <i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptom bilde, eventuelt inkl. referanser</i>	Hodgkin lymfom er en malign sykdom som oppstår ved ukontrollert vekst av lymfeceller. Tilstanden kan være begrenset til én eller noen få lymfeknuter, eller den kan være mer utbredt med spredning til flere områder i kroppen. Sykdommen forekommer hyppigst hos personer mellom 15–34 år og hos personer over 50 år. Risikoen er økt hos pasienter med nedsatt immunforsvar, slik som ved HIV-infeksjon, etter organtransplantasjon eller ved autoimmune sykdommer. Referanse: Hodgkin lymfom - NHI.no
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Kreftsykdommer
10.3 Kreftområde <i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i>	Velg kreftområde fra menyen: Blod- beinmargs- og lymfekreft

10.4 Dagens behandling <i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i>	Valg av behandling avhenger av sykdommens stadium. Standard behandling består av kombinasjonskjemoterapi, eventuelt i kombinasjon med strålebehandling. Behandlingen ved stadium IIB, III og IV er basert på kjemoterapi, eventuelt supplert med mindre strålefeldt. Referanse: Hodgkin lymfom - NHI.no, Behandling av klassisk Hodgkin lymfom - Helsedirektoratet
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Prognosen er generelt god. For pasienter diagnostisert i perioden 2019–2023 var om lag 90 % i live fem år etter diagnosen. Selv ved avansert sykdom oppnår mange pasienter langvarig overlevelse med moderne behandling. Referanse: Hodgkin lymfom - NHI.no I 2024 var en relativ overlevelse etter fem år for Hodgkins lymfom på 88,6% for den totale pasientgruppen. Referanse: arsrapport-2024-nasjonalt-kvalitetsregister-for-lymfoide-maligniteter.pdf
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Basert på studiedataene, vil N-AVD være første valget for cHL pasienter (12 år og eldre) med stadie III og IV.
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>	Insidensen av Hodgkin lymfom har vært stabil de siste 15 årene og prognosen er god, men eldre pasienter har vesentlig dårligere overlevelse enn de yngre. I 2024 ble det registrert 142 nye pasienter over 18 år med Hodgkin lymfom hos Kreftregisteret. arsrapport-2024-nasjonalt-kvalitetsregister-for-lymfoide-maligniteter.pdf

<i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i>	Det er en relativt stabil insidens i perioden 2002-2024 av Hodgkin lymfom. Per 100 000 personer per år, er det ca. 2.5 personer som får diagnosen Hodgkin lymfom. Lymfom - FHI I Norge får årlig cirka 200 barn kreft, og hos rundt 2,5 barn per 100 000 oppdages lymfom. 27 barn og unge (0-17 år) fikk diagnosen lymfom i 2024. Hos barn er non-Hodgkin lymfom vanligere enn Hodgkin lymfom, men forekomsten av Hodgkin lymfomer øker i tenårene. Hodgkin lymfom er den vanligste krefttypen i aldersgruppen 15 til 19 år. Lymfekreft hos barn - NHI.no Norske klinikere estimerer at rundt 80 pasienter i aldersgruppen 18-60 år behandles for avansert HL årlig.
---	---

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	CA2098UT (SWOG S1826-studien) NCT03907488 Study Details NCT03907488 Immunotherapy (Nivolumab or Brentuximab Vedotin) Plus Combination Chemotherapy in Treating Patients With Newly Diagnosed Stage III-IV Classic Hodgkin Lymphoma ClinicalTrials.gov	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.2 Studietype og -design	SWOG S1826 er en fase 3, multisenter, åpen, randomisert studie med pasienter på minst 12 år med nylig diagnostisert Hodgkins lymfom i stadium III eller IV.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	Pasientene randomisert 1:1 og stratifisert etter alder (12–17, 18–60, >60 år), International Prognostic Score (0–3 vs. 4–7) og intensjon om bruk av strålebehandling ved endt behandling. Pasientene ble tilfeldig tildelt å motta brentuksimab vedotin med doksorubicin, vinkblastin og dakarbazin (BV+AVD) eller nivolumab med doksorubicin, vinkblastin og dakarbazin (N+AVD).		
11.3 Formål	Primær endepunkt: Å sammenligne progresjonsfri overlevelse (PFS) hos pasienter med nylig diagnostisert avansert stadium av klassisk Hodgkin-lymfom som er randomisert til N-AVD (nivolumab, doxorubicinhydroklorid [doxorubicin], vinblastinsulfat [vinblastin], dakarbazin) versus den som oppnås med BV-AVD (brentuximab vedotin, doxorubicin, vinblastin, dakarbazin). Study Details NCT03907488 Immunotherapy (Nivolumab or Brentuximab Vedotin) Plus Combination	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	Chemotherapy in Treating Patients With Newly Diagnosed Stage III-IV Classic Hodgkin Lymphoma ClinicalTrials.gov		
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	Viktige inklusjonskriterier: - Nyoppdaget stadium III-IV cHL - Alder > 12 år - Zubrod PS 0-2 (Lansky-skala når alder ≤ 17 år) med tilstrekkelig hematologisk og organsfunksjon - Kontrollert HIV-infeksjon Viktige eksklusjonskriterier: - Forhåndseksisterende interstitiell lungesykdom - Grad ≥ 2 perifer nevropati - Aktiv autoimmun sykdom	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>	Intervensjon: NIVO-AVD Dosering Nivolumab: 3 mg/kg IV for barn 12 år til <18 år (max 240 mg) Dosering Nivolumab (voksne): 240 mg Administrert dag 1 og 15 hver 28-dagers syklus (totalt 6 sykluser) Dosering AVD: doxorubicin 25 mg/m²,	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	vinblastin 6 mg/m² og dacarbazin 375 mg/m². Gis samme dag som Nivolumab (dag 1 og 15). Behandlingsvarighet: 28 dager × 6 sykluser (totalt 12 behandlingsdager per pasient), dersom sykdommen ikke utvikler seg eller hvis toksisiteten ikke er uakseptabel.		
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Komparator: Bv-AVD Dosering Brentuximab vedotin (BV): 1.2 mg/kg (dag 1 og 15) Dosering AVD: Samme AVD-doser som ved intervensjon. Behandlingsvarighet: 28 dager × 6 sykluser (totalt 12 behandlingsdager per pasient), dersom sykdommen ikke utvikler seg eller hvis toksisiteten ikke er uakseptabel. Profylaktisk G-CSF var obligatorisk for pasienter i BV-AVD-armen, i tråd med gjeldende	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	anbefalinger for dette regimet		
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Primært endepunkt: PFS (Progresjonsfri overlevelse) Sekundære endepunkter: AEs, OS, EFS, EOT CMR-rate AEs – Adverse Events OS – Overall Survival EFS – Event-Free Survival EOT CMR rate – End-of-Treatment Complete Metabolic Response rate	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	Tre års oppfølging av Nivolumab-AVD versus Brentuximab Vedotin-AVD hos ungdom med avansert stadium klassisk Hodgkin-lymfom, S1826. Blant 994 inkluderte pasienter var 24 % (n = 240) i alderen 12-17 år.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	Den treårige progresjonsfrie overlevelsen (PFS) var betydelig høyere i N-AVD-gruppen (93 % [95 % KI, 87 til 96]) sammenlignet med BV-AVD-gruppen (82 % [95 % KI, 73 til 88]; hazard ratio, 0,37 [95 % KI, 0,17 til 0,80]). Referanse: Three-Year Follow-Up of Nivolumab-AVD Versus Brentuximab Vedotin-AVD in Adolescents With Advanced-Stage Classic Hodgkin Lymphoma on S1826 - PubMed		
11.9 Oppfølgingstid <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>	Median oppfølgingstid som ble presentert i tre-års oppfølgingsdata, var 3,1 år. Referanse: Three-Year Follow-Up of Nivolumab-AVD Versus Brentuximab Vedotin-AVD in Adolescents With Advanced-Stage Classic Hodgkin Lymphoma on S1826 - PubMed	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Study Completion (Estimate) 2026-03-28 Study Details NCT03907488 Immunotherapy	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	(Nivolumab or Brentuximab Vedotin) Plus Combination Chemotherapy in Treating Patients With Newly Diagnosed Stage III-IV Classic Hodgkin Lymphoma ClinicalTrials.gov		
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	“Nivolumab + AVD in Advanced-Stage Classic Hodgkin’s Lymphoma”, Herrera A.F et.al. Publisert i The New England Journal of Medicine, 16. oktober 2024. Nivolumab+AVD in Advanced-Stage Classic Hodgkin’s Lymphoma New England Journal of Medicine	“Three-Year Follow-Up of Nivolumab-AVD Versus Brentuximab Vedotin–AVD in Adolescents With AdvancedStage Classic Hodgkin Lymphoma on S1826”, Castellino S.M et.al. Publisert i Journal of Clinical Oncology, 9.januar 2026. Three-Year Follow-Up of Nivolumab-AVD Versus Brentuximab Vedotin- AVD in Adolescents With Advanced-Stage Classic Hodgkin Lymphoma on S1826 - PubMed	

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 ☐ Ikke relevant.
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja ☐ Nei ☐ Ikke relevant

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? <i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i>	Ja ☐ Nei ☐ 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? <i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i> <i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)</i>	Ja ☐ Nei ☒
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? <i>Hvis ja, begrunn kort.</i> <i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i> 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

Saksnummer 042-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2022_100 Lanadelumab (Takhzyro) til rutinemessig forebygging av residiverende anfall av arvet angioødem hos pasienter som er 12 år eller eldre. Anmodningen gjelder indikasjonsutvidelse til bruk også hos pasienter som er 2-11 år.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren som har markedsføringstillatelsen (MT): Takeda AS.
- Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse til å omfatte aldersgruppen 2–11 år, med ny styrke.
- Tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) i Norge for indikasjonen: 13.02.2026.
- Legemiddelet er tidligere vurdert og innført i Nye metoder for aldersgruppen fra 12 år (ID2022_100).
- Pasientgrunnlag: Leverandør estimerer at metoden kan være aktuell for 1-2 pasienter per år.
- Anbud: 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.
- Leverandør skriver at de er kjent med at flere andre legemidler er innført og inkludert i HAE-anbudet for samme pasientpopulasjon: Orladeyo ([ID2021_048](#)), Andembry ([ID2024_064](#)). Videre er Donidalorsen under metodevurdering ([ID2025_061](#)).
- Det er i dag kun Cinryze (C1-esterasehemmer-konsentrat) som har en indikasjon for forebyggende behandling av barn fra 2 år. Cinryze administreres intravenøst meden Takhzyro er den eneste subkutane behandlingen.
- Forventet tidspunkt for levering av dokumentasjon: Pristilbud kan leveres til Sykehusinnkjøp snarest etter oppdrag fra Bestillerforum.
- Leverandør foreslår en forenklet vurdering med prisnotat fra Sykehusinnkjøp.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering

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 behandlingsslengde</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

<i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>		skrive inn tekst.	skrive inn tekst.
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publisering</i>	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? <i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i> <i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)</i>	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? <i>Hvis ja, begrunn kort.</i> <i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i> <i>Nærmere informasjon og skjema:</i> 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

Saksnummer 043-26 Oppsummering fra sekretariatet

Forslag: ID2025_109 DynamX koronarstent (implantat) til perkutan koronar intervensjon (PCI)

Kort om metoden fra forslaget:

- Forslagstiller arbeider ved Universitetssykehuset Nord-Norge.
- Forslaget handler om DynamX som er en ny koronar stentteknologi.
- Forslagstiller skriver at bakgrunnen for forslaget er:
 - o Stenten kan gi bedre langtidsresultater etter PCI-behandling sammenlignet med konvensjonelle medikamentstenter med mulig redusert risiko for nytt hjerteinfarkt og behov for ny revaskularisering.
 - o Det er behov for en vurdering da stenten koster >20x mer sammenlignet med de billigste stentene på markedet.
 - o Det er ikke gjort kost-/nytteanalyser per i dag, og stenten er allerede i distribusjon i Norge. Ved betydelig bruk av denne vil kostnader ved PCI øke betraktelig. Det bør foreligge et bedre beslutningsgrunnlag før stenten tas i bruk.
- Dagens behandling: 3. generasjons medikamentelle koronarstenter, kjent langtidsrisiko for stentrelatert komplikasjon er ca. 2-3% per år.
- Pasientgrunnlag: Potensielt flere titalls prosent av alle PCI-behandlinger – tilsvarende opp til 10.000 pasienter årlig.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (vedlagt):

- Ny medikamentstent (drug-eluting stent; DES) brukt i PCI prosedyrer.
- Hensikten med utstyret er å bevare blodårenes naturlige bevegelighet og funksjon etter PCI og unngå avstivning av årene.
- Det finnes få studier som dokumenterer klinisk effekt for metoden, men de viser til bedre langtidsresultater (lavere risiko for nytt hjerteinfarkt og ny revaskularisering) etter PCI sammenlignet med konvensjonelle DES.
- Det utføres årlig rundt 12 000 PCI-behandlinger i Norge.
- Utstyret er allerede kjøpt inn lokalt og brukt av noen norske sykehus som utfører PCI.
- CE-merking: Klass III CE -merking siden september 2019; ikke FDA-godkjent ennå.
- Dersom det ønskes en nasjonal vurdering av metoden, er det mest hensiktsmessig med en metodevurdering basert på innsendt dokumentasjon fra produsenten. Begrunnelse:
 - o Det foreligger dokumentasjon, bl.a. i form av to RCT er, hvorav én stor RCT fra Sverige som sammenligner DynamX med DES.
 - o Det finnes kun én produsent for utstyret.
 - o Metoden er under innføring i norsk klinisk praksis uten at den er vurdert opp mot prioriteringskriteriene.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra leverandør:

- 1 innspill.

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: 1 innspill.

- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: 1 innspill.
- Helse Vest RHF: 1 innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- Ingen innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Ingen nasjonale faglige retningslinjer vil bli påvirket.

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	Eivind Øygard Fosse
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Universitetssykehuset Nord-Norge
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	eivind.fosse@unn.no , 77626518
Dato for innsending av forslag	16.12.25

Opplysninger om metoden som foreslås

1. Forslagstillers tittel på forslaget:*

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

DynamX – ny koronar stentteknologi

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

DynamX – stent produsert av Elixir og som distribueres av Brage Medical i Norge. Selve stentteknologien forklares ikke inngående her. Stenten har vist bedre langtidsresultat etter PCI-behandling sammenlignet med konvensjonelle medikamentstenter, selv om begrenset oppfølgingstid i studier (<2 år).

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

Stenten har potensiale for lavere langtidsrisiko (nytt hjerteinfarkt, ny revaskularisering) sammenlignet med konvensjonelle stenter. Imidlertid er prisen >20x sammenlignet med de billigste stentene på markedet i dag. Det er ikke gjort kost-/nytteanalyser. Stenten er allerede i distribusjon i Norge – ved betydelig bruk av denne vil kostnader ved PCI øke betraktelig. Det bør foreligge et bedre beslutningsgrunnlag før stenten tas i bruk.

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.*

Hvorvidt DynamX-stenten har kost-/nytteverdi sammenlignet med konvensjonelle koronarstenter i bruk.

*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.

4. 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?)

3. generasjons medikamentelle koronarstenter, kjent langtidsrisiko for stentrelatert komplikasjon er ca. 2-3% per år.

5. 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:

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

Legemiddel

☐

Medisinsk utstyr som er CE-merket* ☒

*Angi klassifisering og bruksområde:

Koronar stent

Medisinsk utstyr som ikke er CE-merket ☐

Prosedyre ☐

Screening ☐

Høyspesialiserte tjenester/nasjonale tilbud ☐

Organisatorisk oppsett av helsetjenesten ☐

Annet (beskriv) ☐

7. Finansieringsansvar Ja Nei

Har spesialisthelsetjenesten et finansieringsansvar for metoden i dag? ☒ ☐

Vil spesialisthelsetjenesten kunne få finansieringsansvar for metoden? ☐ ☐

Eventuelle kommentarer:

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

☐ ☒

Angi eventuelt hvilke og kommenter eventuelt behov for endringer:

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

☐ ☒

Angi eventuelt 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?))

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

Klinisk effekt ☒

Sikkerhet/bivirkninger ☐

Kostnader/ressursbruk ☒

Kostnadseffektivitet	☐
Organisatoriske konsekvenser	☐
Etiske	☐
Juridiske	☐

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

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

Alvorlig – kan gi betydeligprognosetap

Forventet effekt

Reduserer langtidsrisiko for stentrelatert komplikasjon.

Sikkerhet og bivirkninger

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Potensielt flere titalls prosent av alle PCI-behandlinger – tilsvarende opp til 10.000 pasienter årlig.

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Betydelig – stenten koster >20x kostnad for vanligste stenter i bruk i dag.

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

Se [Clinical Evidence — Elixir Medical - Elixir Medical](#) for oversikt

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

Elixir Medical – produsent. Distributør i Norge er Brage Medical.

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

Allerede i bruk.

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

17. 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.)

Ingen.



Egnethetsvurdering

1. Status og oppsummering

ID2025_109 DynamX koronarstent (implantat)

1.1 Oppsummering

Innsendt metodeforslag fra Universitetssykehuset Nord-Norge. Metoden omhandler bruk av DynamX (sirolimus-eluting bioadaptor), som er en ny type medikamentstent (*drug-eluting stent*; DES) brukt i PCI prosedyrer. Hensikten med utstyret er å bevare blodårenes naturlige bevegelighet og funksjon etter PCI og unngå avstivning av åren. Det finnes få studier som dokumenterer klinisk effekt for metoden, men de viser til bedre langtidsresultater (lavere risiko for nytt hjerteinfarkt og ny revaskularisering) etter PCI sammenlignet med konvensjonelle DES. Utstyret er CE-merket og allerede kjøpt inn lokalt og brukt av noen norske sykehus som utfører PCI. Ifølge forslagstilleren er prisen for denne stenten betraktelig (>20 ganger) høyere enn for de billigste stenter som brukes i norske sykehus. Det utføres årlig rundt 12 000 PCI-behandlinger i Norge, ved økt bruk av kostbare stenter, kan budsjettmessige konsekvenser for prosedyren bli betraktelige, uten at deres kostnadseffektivitet er vurdert.

Populasjon: pasienter med koronarsykdom med indikasjon til behandlig med PCI (perkutan koronar intervensjon)

Komparator: 3. generasjons DES, (medikamentstenter), som everolimus, zotarolimus

Intervensjon: DynamX bioadaptor (sirolimus-eluting bioadaptor)

Utfall: pulsering i enheten, sent lumentap, lesjonsvikt ved 12 mnd, ressurssbruk

Forslag til fagekspert: intervensjonskardiologer

1.2 Metodetype

Medisinsk utstyr, diagnostikk og tester

1.3 Fagområde

Hjerte- og karsykdommer

1.4 Tagger/søkeord

- ☐ Tilhørende diagnostikk ☐ Medisinsk stråling
☐ Genterapi ☐ Vaksine
☐ Kunstig intelligens

1.5 Status for godkjenning

- ☐ Markedsføringstillatelse
☐ FDA godkjenning
☒ CE-merking
Kommentar: Klass III CE - merking siden september 2019; ikke FDA-godkjent ennå

1.6 Finansieringsansvar

- ☒ Spesialisthelsetjenesten
☐ Folketrygd
☐ Kommune
☐ Annet

1.7 Status for bruk

- ☐ Under utvikling ☒ Brukes i Norge
☒ Under innføring ☒ Brukes i EU/EØS
☐ Revurdering ☐ Ny/endret indikasjon
☐ Ny/endret metode
Kommentar: Flere sykehus kjøper inn lokalt, en ny nasjonal anskaffelse er planlagt i 2026

1.8 Bestillingsanbefaling

1: ☐ Fullstendig metodevurdering

- ☐ Effekt ☐ Helseøkonomi ☐ Etikk
☐ Sikkerhet ☐ Organisasjon ☐ Jus

2: ☒ Metodevurdering med innsendt dokumentasjon fra produsent/leverandør

3: ☐ Metodevurdering uten innsendt dokumentasjon, med forenklet metodisk tilnærming

- A: ☐ Effekt, sikkerhet og helseøkonomi
B: ☐ Effekt og sikkerhet
C: ☐ Helseøkonomi
D: ☐ Kartleggingsoversikt

Kommentar: Dersom det ønskes en nasjonal vurdering av metoden, er det mest hensiktsmessig med en metodevurdering basert på innsendt dokumentasjon fra produsenten.

2. Punktoppsummering

ID2025_109 DynamX koronarstent (implantat)

2.1 Om metoden

- DynamX er en moderne koronarimplantat teknologi brukt ved PCI, som bygger på et konsept der metallbindinger er biodegraderbare og løses opp over tid. De holdes sammen av en tynn bioresorberbar polymer, som gradvis forsvinner og utløser "uncaging"-prosessen. Det bioresorberbare topplaget frigjør sirolimus i løpet av ca. 3 måneder.
- Denne virkningsmekanismen gjør at blodåren kan gjenvinne naturlig bevegelse, vasomotorikk og adaptiv remodellering. Implantatet gir fortsatt dynamisk støtte, men uten å stive av karet slik tradisjonelle stenter gjør.
- Dette kan være med på å redusere risiko for begrenset karbevegelse, stentfrakturer, restenose og forbedre langtidsresultater.

2.2 Om dokumentasjonsgrunnlaget

- Dokumentasjonsgrunnlaget består av enkle primærstudier: 2 RCTer og noen ikke-kontrollerte studier
- Det foreligger to randomiserte kontrollerte studier:
 - 1) BIOADAPTOR RCT (n = 445) er første randomiserte kontrollerte studie som sammenlignet DynamX bioadapter med DES (Resolute Onyx), med resultater tilgjengelig for 12 måneder og 2 år.
 - 2) INFINITY-SWEDEHEART (N=2399), RCT fra Sverige som sammenlignet PCI med DynamX (n = 1201) mot moderne DES (Resolute Onyx og Onyx Trustar) (n = 1198). Primært endepunkt: Target lesion failure etter 12 måneder – et sammensatt mål av kardiovaskulær død, karspesifikt hjerteinfarkt og iskemidrevet reintervensjon i samme lesjon. • Resultatene tyder på at bioadapteren kan redusere vedvarende stentrelaterte hendelser og gi bedre langtidsutfall etter PCI.

2.3 Om helseøkonomi

- Vi har ikke identifisert noen tidligere økonomiske evalueringer av DynamX.
- Vi har ikke heller funnet prislister som kunne indiker kostnadsnivåene for utstyret.
- Ifølge forslagsstillere er DynamX ca. 20 ganger mer kostbar enn konvensjonelle legemiddelstenter (drug-eluting stent: DES).

2.4 Om bestillingsanbefaling

- Dersom det ønskes en nasjonal vurdering av metoden, er det mest hensiktsmessig med en metodevurdering basert på innsendt dokumentasjon fra produsenten.
- Begrunnelse:
 - Det foreligger dokumentasjon, bl.a. i form av to RCT er, hvorav én stor RCT fra Sverige som sammenligner DynamX med DES
 - Det finnes kun én produsent for utstyret
 - Metoden er under innføring i norsk klinisk praksis uten at den er vurdert opp mot prioriteringskriteriene

3. Beskrivelse av metoden

ID2025_109 DynamX koronarstent (implantat)

Generisk navn	Drug-eluting bioadaptor, Sirolimus-eluting bioadaptor, bioadaptor implant
Produktnavn	DynamX bioadaptor
Produsenter	Elixir Medical (Ca, USA), distribueres av Brage Medical i Norge

3.1 Beskrivelse av metoden

Status og prinsipp for metode	Den foreslåtte metoden omhandler DynamX™-bioadapter, som er en moderne koronarimplantatteknologi som brukes ved perkutan koronar intervensjon (PCI). Implantatet fungerer som en vanlig legemiddelstent (drug-eluting stent: DES) ved implantasjon, med tilsvarende akutt ytelse. I tillegg bruker det et konsept med bindinger i metallstrukturen som er biodegraderbare og som går i oppløsning over tid. DynamX-bioadapter implantatet består av tynne, spiralformede tråder av kobolt-krom (71 µm) som er låst i hverandre og gir dynamisk støtte til arterien. Hele strukturen holdes sammen av en tynn bioresorberbar polymer, som gradvis absorberes i løpet av 6 måneder og utløser "uncaging"-prosessen. Når polymeren er borte, kan de koblede metallstrendene åpne seg, slik at karet gjenvinner naturlig bevegelse og funksjon, samtidig som implantatet fortsatt gir dynamisk støtte. Det bioresorberbare topplaget kontrollerer også frigjøring av legemidlet sirolimus i løpet av 3 måneder. Denne adaptive virkningsmekanismen er ment å redusere risikoen for stentfrakturer og forbedre langtidsresultater [1]. Enheten implanteres ved hjelp av et ballongbasert kateter på lesjonsstedet.
Potensiell nytte	Vedvarende og ikke-avtakende forekomst av komplikasjoner etter PCI er fortsatt en utfordring. DynamX™ sirolimus-eluerende bioadaptor er utviklet for å løse flere av svakhetene ved dagens PCI-utstyr, spesielt begrenset karbevegelse og risiko for restenose som fortsatt kan forekomme med moderne DES. Implantatet er en ny type medikamentstent som forsøker å løse dette ved å gjenopprette blodårenes naturlige bevegelse og funksjon. Den gjør dette ved å la åren igjen få pulserende bevegelse, vasomotorikk og evne til å tilpasse seg, samtidig som implantatet kan "lås opp" og gi dynamisk støtte uten å stive av karet slik tradisjonelle stenter gjør [1].
Sikkerhetsaspekter og risikoforhold	PCI er en relativt trygg behandling. Alvorlige komplikasjoner forekommer hos mindre enn én prosent av pasientene. Vanligste komplikasjon er blødning der kateteret er ført inn. Alvorlige komplikasjoner forekommer hvis koronararterien lukkes eller forblir lukket etter behandlingen.
Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag	Koronarsykdom er en samlebetegnelse for tilstander forårsaket av innsnevring eller blokkeringer i hjertets kransårer (koronararterier), vanligvis på grunn av åreforkalkning (aterosklerose), som reduserer blodtilførselen til hjertemuskelen. Dette kan føre til symptomer som brystmerter (angina pectoris), kortpustethet, og kan kulminere i alvorlige hendelser som hjerteinfarkt, hvor en del av hjertemuskelen dør. Symptomer inkluderer brystmerter, ofte klemmende/pressende, som kan stråle ut i armer, kjeve eller rygg, spesielt ved anstrengelse. Ved akutt koronarsyndrom kan en rift i et plakk utløse en blodpropp som helt tetter åren, noe som leder til hjerteinfarkt. Risikofaktorer inkluderer høy alder, arv, røyking, høyt blodtrykk, høyt kolesterol, diabetes, overvekt og fysisk inaktivitet [2]. Tilstanden kan behandles med livsstilsbehandling, medisinsk behandling, men når symptomene er betydelige og innsnevring i blodkar utgjør høy risiko for hjerteinfarkt eller hjerteinfarkt oppstår, behandles sykdommen med invasive behandlinger: koronarkirurgi og en mindre invasiv PCI (perkutan koronar intervensjon).

	PCI er en behandling som inkluderer undersøkelse av arteriene (kronarangiografi) og åpning av disse dersom de er tilstoppet. Undersøkelsen og behandlingen foregår under røntgengjennomlysning. Pasienten får lokalbedøvelse i håndledd eller lyske før et kateter føres inn i en arterie. Under røntgengjennomlysning føres kateteret til kransarteriene, og kontrastmiddel sprøytes inn for å avbilde blodårene. Hvis det finnes en forsnevring, føres en tynn ledesonde forbi området. Deretter føres inn et ballongkateter, som blåses opp med høyt trykk for å utvide det trange partiet. Kransarteriene som behandles er vanligvis 2,5–3,5 mm i diameter. Inngrepet varer som regel under én time [2]. Over 95 % får satt inn én eller flere stenter for å holde arterien åpen etter utblokking. Det utføres årlig rundt 12 000 PCI-behandlinger i Norge. Behandlingen med PCI utføres bare på de største sykehusene.
Dagens behandling	Behandlingen med PCI er tilegnelig i rundt 40 år siden, da startet man med PCI ved å bruke ubelagte ballonger for å utvide trange områder i kransarteriene. Denne metoden hadde begrensninger, blant annet at blodårene trakk seg sammen igjen og at det var høy risiko for at forsnevringen kom tilbake. Dette førte til utviklingen av «bare metal stents» (BMS), som reduserte problemet, men ikke nok. Senere kom legemiddelutskillende stenter (DES), som frigjør medisiner som hindrer ny forsnevring. Disse har gitt betydelig bedre resultater, spesielt de nyere generasjonene som har bedre biokompatibilitet og dermed færre komplikasjoner. En DES er et lite metallrør som plasseres i en innsnevret kransarterie for å holde blodåren åpen. Det spesielle med DES er at de er belagt med et legemiddel som frigjøres gradvis for å hindre at åren tetter seg igjen. Vanligvis laget av kobolt-krom eller platina-krom. Den gir mekanisk støtte og holder åren åpen. Et tynt lag som binder legemiddelet til stenten og styrer hvor raskt det frigjøres. Legemidlene er fra sirolimus-familien (f.eks. zotarolimus, everolimus). Disse hemmer cellevekst og reduserer risikoen for restenose og gir bedre langtidsresultater enn bare metallstenter (BMS) Moderne DES har svært lav risiko for stenttrombose [2]. Ulike generasjoner av koronarstenter: 1. generasjon: tykkere metall, stivere polymerer, høyere risiko for sen trombose 2. og 3. generasjon: tynnere struts, mer biokompatible polymerer, bedre legemidler, lavere komplikasjonsrate Dagens behandling er PCI med DES. Nyere konsepter som DynamX-bioadapteren som forsøker å gjenopprette mer naturlig karbevegelse er også prøvd og kjøpt inn av norske sykehus.
Helseøkonomi	Vi har ikke identifisert noen tidligere økonomiske evalueringer av DynamX. Ingen av de kliniske studiene (som INFINITY-SWEDEHEART) inkluderte helseøkonomiske analyser. Vi har ikke heller funnet prislister som kunne indikerer kostnadsnivåene for utstyret. Ifølge forslagsstillere, er DynamX betydelig mer kostbar enn DES (ca. 20 ganger).

4. Dokumentasjonsgrunnlag

ID2025_109 DynamX koronarstent (implantat)

4.1 Relevante og sentrale kliniske studier

Det foreligger to randomiserte kontrollerte studier (RCT):

- 1) BIOADAPTOR RCT (n=445) er den første RCT, der DynamX var sammenlignet med DES (Resolute Onyx), resultatene foreligger for 12-måneder [3] og to år [4]. PCI med DynamX hadde ikke dårligere prosedyreresultater eller 12-måneders kliniske utfall enn DES (Resolute Onyx). Den viste bedre sen lumen-diameter og bedre karbevegelse (cyclic pulsatility) enn en moderne DES [3].
- 2) INFINITY-SWEDEHEART (n=2399) en enkelt-blindet RCT fra Sverige som sammenlignet PCI med DynamX (n=1201) med moderne DES (Resolute Onyx and Onyx Trustar, Medtronic) (n=1198). Det primære utfallsmålet var «target lesion failure» etter 12 måneder. Dette er et sammensatt mål som inkluderer kardiovaskulær død, hjerteinfarkt i det aktuelle blodkaret og iskemidrevet reintervensjon i samme lesjon. Analysen ble gjort i ITT-populasjonen, altså alle som ble randomisert, uavhengig av hvilken behandling de faktisk mottok, så lenge de enten hadde hatt en hendelse innen 12 måneder eller fullført oppfølgingen i samme periode. Blant pasienter med koronar hjertesykdom, også de med akutt koronarsyndrom, var behandling med bioadapter ikke dårligere enn moderne medikamentstentene. Resultatene tyder på at bioadapteren kan redusere vedvarende stentrelaterte hendelser og gi bedre behandlingsutfall etter PCI. Videre planlagt oppfølging vil bidra til å styrke den kliniske betydningen av funnene utøver ett år [1].

I tillegg foreligger det også minst en ikke-kontrollert studie (n=50) som rapporterer kliniske utfall ved 12 måneder [5] og 24 måneder [6].

4.2 Pågående kliniske studier

Populasjon (n=antall deltakere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfallsmål	Studienummer	Tidsperspektiv resultater
N=44	novolimus-eluting DynamX bioadapter	Single-arm non- randomised study	Target Lesion (s) Failure	NCT03634020	03/2021 (vi fant ikke publikasjoner)
N=50	Combination Product: DynamX Novolimus Eluting Coronary Bioadapter System	Prospective, non-randomized, multicenter registry	Acute Device Success Number of Participants With Cardiovascular Death, Target Vessel Myocardial Infarction (TV-MI) or Clinically-Driven Target Lesion Revascularization (CD-TLR)	NCT04483791	10/2024 (vi fant ikke publikasjoner)
N=55	DynamX Drug- Eluting Coronary Bioadapter System	Single-arm study	Change in mean in-device lumen area and mean device area	NCT05464147	10/2024 (vi fant ikke publikasjoner)
N=5000	DynamX Coronary Bioadapter System	Registry study	Clinical Device Success Clinical Procedural Success Device Oriented Clinical Endpoint Patient Oriented Clinical Endpoint0	NCT06074549	12/2028

4.3 Metodevurderinger og –varsel

Metodevurdering - nasjonalt/lokalt -	Ingen tidligere nasjonale metodevurderinger av metoden er identifisert.
---	---

Metodevurdering / systematiske oversikt - internasjonalt -	<u>Metodevurderinger</u> Vi har ikke funnet tidligere metodevurderinger som spesifikt omhandler den foreslåtte metoden. Vi har identifisert en Technology appraisal guidance fra NICE (Storbritannia), som omhandler DES for behandling av koronar arteriesykdom, men DynamX inngår <u>ikke</u> som én av stentene som undersøkes. <u>Systematiske oversikter</u> Ingen relevante pågående prosjekter identifisert.
Metodevarsel	Vi har ikke identifisert noen tidligere metodevarsler av metoden.

5. Referanser

1. Erlinge, D., et al., *Bioadaptor implant versus contemporary drug-eluting stent in percutaneous coronary interventions in Sweden (INFINITY-SWEDEHEART): a single-blind, non-inferiority, registry-based, randomised controlled trial*. *Lancet*, 2024. **404**(10464): p. 1750-1759.
2. Norsk Helseinformatikk. *Hjertesykdom - forebygg komplikasjoner!* Norsk Elektronisk Legehåndbok (NEL). 2026 13.02.2026]; Available from: <https://nhi.no/sykdommer/hjertekar/koronarsykdom/hjertesykdom-forebygg-komplikasjoner>.
3. Saito, S., et al., *First randomised controlled trial comparing the sirolimus-eluting bioadaptor with the zotarolimus-eluting drug-eluting stent in patients with de novo coronary artery lesions: 12-month clinical and imaging data from the multi-centre, international, BIODAPTOR-RCT*. *eClinicalMedicine*, 2023. **65**.
4. Saito, S., et al., *Percutaneous Coronary Treatment With Bioadaptor Implant vs Drug-Eluting Stent: 2-Year Outcomes From BIODAPTOR RCT*. *JACC Cardiovasc Interv*, 2025. **18**(8): p. 988-997.
5. Verheye, S., et al., *Twelve-month clinical and imaging outcomes of the uncaging coronary DynamX bioadaptor system*. *EuroIntervention*, 2020. **16**(12): p. e974-e981.
6. Verheye, S., et al., *24-Month Clinical Follow-Up and Mechanistic Insights From Intravascular Imaging Following Coronary Implantation of the Novel DynamX Bioadaptor Platform*. *Cardiovasc Revasc Med*, 2023. **46**: p. 106-112.

6. Versjonslogg

ID2025_109 DynamX koronarstent (implantat)

6.1 Dato	5.2 Endringer gjort i dokument
02.03.2026	Laget egnethetsvurdering
Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.	[Skrive hva som er gjort nytt]
Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.	[Skrive hva som er gjort nytt]

Beskrivelse: Kan skrive inn dato for hver endring i dokumentet.

New Methods: Input on Methods, Assignments and Decisions

Use this form to provide input on methods in New Methods, regardless of where they are in the process. For example, the form should be used if you have input on a method in a request or proposal to be processed in the Bestillerforum for New Methods. It should also be used for input on assignments given by the Bestillerforum, and for input on decisions that have been made.

It is generally desirable that input is received as early as possible in the process, preferably before the method is discussed in the Ordering Forum.

Completed form should be sent to the Secretariat for New Methods; nyemetoder@helse-sorost.no . Please mark the email with "input" and ID number.

Note : Items 1-3 and 11 must be completed by everyone. Other items are completed depending on what the input concerns.

I am aware that the form may be published in its entirety on nyemetoder.no (check box): ☒

If you have information that you believe cannot be published, please contact the secretariat before submitting .

I have completed item 11 "Interests and potential conflicts of interest" (check): ☒

1. Which method applies to the input?	
ID number*:	ID2025_109
Method name:	RE: Proposal for National Method Assessment for DynamX® Sirolimus Eluting Coronary Bioadaptor System SECBC

*ID numbers can be found on the methods page at nyemetoder.no and have the form ID2024_XXX.

2. Information about the person providing input	
Name	Frederick M. Klein-McNeil, DNP, RN, ACNP-BC, CCRN
Any organizational affiliation/workplace/company	Sr. Director Market Access & Reimbursement Elixir Medical Corporation 920 North McCarthy Boulevard Milpitas, CA. 95035
Contact information - email and phone	Fklein-mcneil@elixirmedical.com 1+971-322-6801

3. Input on method, assignment, or decision (answered by everyone) <i>Write briefly and summarize the main point.</i>
The DynamX® Sirolimus Eluting Coronary Bioadaptor System (DynamX® SECBS) is a coronary implant developed to improve outcomes in Coronary Artery Disease treatment vs. current

invasive methods, percutaneous coronary intervention (PCI) or coronary artery bypass graft (CABG) surgery.

The bioadaptor, Implanted in the minimally invasive PCI procedure, has demonstrated in two randomized controlled trials a significant ~50% reduction in adverse event rates (Cardiac Death, Target Vessel MI, Clinically Driven Revascularization) when compared to a current standard-of-care drug-eluting stent. Long-term clinical follow-up is available through 3 years and 4-year outcomes will be reported in May 2026.

The DynamX® bioadaptor has a novel design and mechanism of action designed to restore the diseased vessel to a more normal function, hemodynamic modulation, by returning pulsatility, compliance and plaque regression.

DynamX® Sirolimus-Eluting Coronary Bioadaptor System, has been granted Breakthrough Device Designation by the U.S. Food and Drug Administration (FDA). The breakthrough designation is for a unique indication to improve coronary luminal diameter, restore hemodynamic modulation, and reduce plaque progression in patients with symptomatic ischemic heart disease due to discrete de novo native coronary artery lesions.

More detailed information and input to PICO*

*PICO is a tool for formulating precise questions in method evaluation work. PICO is an abbreviation for Population/Problem – Intervention – Comparison – Outcome. PICO is used to specify which population/problem is to be studied, which intervention(s) (method/treatment) is to be evaluated, which intervention-it is natural to compare with, and which outcomes/endpoints it is-relevant to measure/assess. PICO is important for planning and conducting a method assessment.

4. Do you know if the method is in use in Norway today?

Is the method in use outside of clinical studies today (check if yes): ☐

Since when has it been in use: not used at this time

Where is the method used? Not used at this time in Norway

5. Which patient group in the Norwegian specialist health service is the method relevant for? (PICO)

Briefly describe: The DynamX® SECBS is for use in patients with symptomatic ischemic heart disease, presenting as Chronic Coronary Syndrome or Acute Coronary Syndrome. The major symptoms related to this disease are angina pectoris, decreased exercise tolerance, cardiac

arrhythmia, myocardial infarction, and heart failure. Clinical investigation in multiple clinical trials, including RCTs, and use of drug eluting coronary bioadaptors in Europe, Asia and the Middle East, has shown to restore blood flow by improving coronary luminal diameter, restoring hemodynamic modulation and reducing plaque progression in these patients, thus reducing the incidence of the symptoms and events associated with progressive atherosclerotic disease or stent-related failures.

6. Are you familiar with treatment alternatives to this method and how these work for the patient group today? (PICO)

Briefly describe: Current treatment methods of symptomatic heart disease include use of pharmaceutical agents to control chronic coronary syndrome symptoms or revascularization procedures such as coronary angioplasty (PCI) with stenting or coronary artery bypass grafting surgery of significant obstructive lesions. PCI is the most commonly used method of revascularization. However, long-term clinical data demonstrates annualized 2-3% adverse event rate (cardiovascular death, target vessel MI, repeat revascularization) following PCI attributable to stent failures reaching 15%-20% cumulative event rate within 5 years. This stent-related adverse event rate represents a major healthcare challenge due to the high risk of recurrent complications and reduced quality-of-life.

7. Do you have any input on what would be important for patients who are eligible for treatment with the method? (PIC O)

What can be perceived as an advantage for patients and users with this method compared to current alternatives? What endpoints/results of the treatment are relevant to measure? Briefly describe: The new treatment method is particularly relevant for patients with de novo lesions in left anterior descending artery (LAD). Non-plateauing adverse event rates in patients undergoing PCI for the left anterior descending (LAD) lesions remain a significant clinical challenge with stents, in part, due to large rotational and compressional movement during the cardiac cycle, resulting to high risk of cardiac death, MI and repeat revascularization. Current clinical guidelines suggest heart team discussion to identify either PCI or CABG revascularization method particularly for the treatment of proximal LAD coronary artery stenosis based on higher adverse event risk with PCI compared to bypass surgery. Contrary to stents, the ability of the bioadaptor to restore vessel pulsatility and compliance after unlocking could be particularly beneficial in LAD lesions, potentially reducing biomechanical stresses, late luminal loss and improving long-term vascular adaptation. In fact, a recent randomized imaging study involving coronary CT angiography at 1 and 12 months, showed superior restoration of three-dimensional vessel motion during the cardiac cycle in bioadaptor treated segments compared to DES, providing mechanics insights into the favorable clinical outcomes observed in current clinical trials. The functional benefits have translated into significant >70% reduction in adverse clinical events (cardiac death, target vessel MI, clinically driven revascularization) in LAD and proximal LAD lesions compared to drug-eluting stents. Applying regional prevalence rates to Norway's national procedure volume yields the following estimated impact for proximal LAD (pLAD) lesions: estimated

annual pLAD procedures: 3,600 – 4,300 cases per year. The high incidence of pLAD interventions underscores the necessity for optimized revascularization techniques and long-term follow-up within the Norwegian healthcare system.

8. Specifically for medical devices (to be answered by supplier): CE marking

Is there a CE marking for the area of use described in the method? If so, state the type and date: CE Mark under EU-MDR (November 2025), the DynamX® Sirolimus Eluting Coronary Bioadaptor System is a new implant category and has a unique indication for the reduction of plaque progression versus lack of such indication in other treatment modalities. DynamX is indicated for “improving coronary luminal diameter, restore hemodynamic modulation and reducing plaque progression in patients with symptomatic ischemic heart disease due to discrete *de novo* native coronary artery lesions with reference vessel diameters between 2.0 - 4.0 mm and ≤ 44 mm in length. The bioadaptor is intended as a permanent uncaging implant.”

9. Specifically for pharmaceuticals (to be answered by supplier): Marketing Authorization (MT)

Does the drug have MT for the indication covered by the method? If so, state the time or expected time for MT: not applicable.

10. Other comments

The DynamX® bioadaptor is an innovative device used in Percutaneous Coronary Intervention (PCI) in the treatment of coronary artery disease. Its primary purpose is to restore the patency of the coronary artery and alleviate the symptoms of ischemia. The medical device also allows the natural elasticity of the vessel to be maintained and restored, which promotes greater durability of the revascularization effect. This is different from classic stents, which permanently stiffen the vessel wall, and from other methods – such as bioresorbable stents or drug-coated balloons – which have not yet shown an advantage over drug-releasing stents in randomized clinical trials.

Unlike stents that provide fixated lumen for the vessel wall, following unlocking the bioadaptor provides dynamic support allows to restore the physiological functions of the artery. This allows to regain the pulsation and mobility of the vessel wall, as well as to increase the blood flow during periods of greater demand, e.g. during physical exertion. It also allows the diameter of the vessel to gradually adapt to the changes occurring in the vessel wall, which is conducive to maintaining proper coronary flow in long-term outcomes.

The DynamX® system consists of a metal sirolimus-releasing bioadaptor, coated with a biodegradable polymer, and a delivery system. The implant structure consists of three spiral strands of cobalt-chromium alloy (CoCr), temporarily connected by a biodegradable polymer

coating. Unlocking elements are the connection points of these strands and provide radial strength in the initial implantation phase. The device is inserted on a balloon catheter type rapid exchange, using standard PCI techniques.

In the initial period, the implant acts as a scaffold, moving the atherosclerotic plaque away and re-opening the lumen of the vessel. After about six months, the polymer is reabsorbed and the connecting elements are unlocked and the three helical strands separate, which makes it possible to increase the flexibility of the vessel wall and reduce implant-related stresses and constraints. As a result, the vessel regains its natural mobility, including pulsation and the ability to physiologically expand, while maintaining vasomotor function. Thus, the bioadaptor transforms from a fixed-support structure into a dynamic adaptive vessel support structure.

Implanting a DynamX® bioadaptor does not require additional organizational or hardware resources beyond what is necessary for standard PCI procedures, positively impacting procedure costs compared to use of bioresorbable scaffolds or drug-coated balloons. The implant also does not require special conditions for storage compared to refrigeration requirements for bioresorbable scaffolds. The procedure is technically and organizationally comparable to DES stent implantation offering same acute safety and patient discharge benefits of the minimally invasive revascularization when compared to CABG, while also offering significant and durable reduction in adverse events compared to DES.

11. Interests and any conflicts of interest

Describe your relationships or activities that may influence, be influenced by, or be perceived by others to have significance for the further handling of the method on which input is being provided (for example: financial interests in the case, assignments or other commitments).

Briefly describe: Frederick M. Klein-McNeil, DNP, ACNP-BC, CCRN is an employee of Elixir Medical Corporation and serves as the Sr. Director, Market Access & Reimbursement at Elixir Medical. Elixir Medical Corporation, an innovation focused company based in Milpitas, California, develops advanced technologies to treat coronary and peripheral artery disease. Our transformative technologies are focused on solving unaddressed technology and procedure problems, designed to deliver improved clinical outcomes for millions of patients worldwide. ***Elixir is writing in support of the proposal submitted by the University Hospital of Northern Norway on December 16, 2025.***

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2025_109

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Dagens behandling består av godt dokumenterte 3. generasjons medikamentstenter (everolimus, zotarolimus) med god langtidsprognose og lav forekomst av stent-relaterte komplikasjoner. Disse vil være komparator i en evt. metodevurdering
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	DynamX-bioadaptor stenten har i en større registerbasert randomisert studie, med foreløpig 12 måneders oppfølging vist at DynamX er non-inferior til moderne 3. generasjons DES. (INFINITY-SWEDEHEART; Erlinge D. <i>The Lancet</i>. 2024; DOI: 10.1016/S0140-6736(24)02227-X) En mindre randomisert studie med 2 års oppfølging viser tegn til lavere target vessel failure (TVF; kompositt av kardiovaskulær død, target vessel MI og klinisk drevet target vessel revaskularisering) sammenlignet med moderne DES. Forskjellen var imidlertid kun statistisk signifikant i per-protokoll-analysen, ikke i intention-to-treat. Det var også høyere andel pasienter med diabetes mellitus i DES-armen (26.9% vs 33.9%), samt høyere andel

	postdilatasjon i Bioadaptor armen (81% vs 69%), som er viktige faktorer for langtidsresultatet. (BIOADAPTOR RCT; Saito S. <i>JACC Cardiovasc Interv.</i> 2025 Apr 28;18(8):988–997) Samlet vurderes evidensgrunnlaget for et klinisk behov som begrenset. Det er små tall og langtidsdata utover 2 år mangler. Man har ikke definert pasientgrupper med særskilt nytte og må dermed tilbys til «alle». Gitt anslått pris rundt 20 ganger over dagens stenter, kombinert med forventet høyt number needed to treat (NNT) for å oppnå klinisk gevinst, ansees kostnadseffektiviteten som lav.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Se punkt 2.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Se punkt 2. Før innføring i bred klinisk praksis bør det foreligge randomiserte studier med tilstrekkelig langtidsoppfølging (feks. >5år) som kan vise til klinisk relevant gevinst. Inntil slik dokumentasjon foreligger, bør bruken være restriktiv og fortrinnsvis begrenset til kontrollerte studier eller strukturerte kvalitetsregistre.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Det finnes flere leverandører av moderne, veldokumenterte 3. generasjons medikamenteluerende koronarstenter, som i dag dekker vårt kliniske behov på en god måte.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Ingen kjente interessekonflikter.

7. Avsender av faglig innspill	
Sykehus	St. Olavs hospital HF
Avdeling	Hjerte- og thoraxklinikken
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Sindre Woxholt, invasiv kardiolog Bjørn Inge Våga, Seksjonsoverlege, Invasiv kardiologi Ole Christian Mjølstad, Klinikksjef, Hjerte- og thoraxklinikken
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2025_109

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Dagens behandling er PCI med DES eller DEB. Dette er en etablert metode både for akutt koronarsykdom og kronisk koronarsykdom og hos alle pasienter uavhengig risikoprofil. Komparatorer bør (som i de gjennomførte studier) være: MACE (Mors, behovet for target revaskularisering, Target lesjon relatert infarkt), restenose, bivirkninger, target lesjon remodellering, stentepitalisering.
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Produktet er nytt og viser lovende resultater i de foreliggende (desverte limiterte) studier. Det kan tenkes at produktet er en viktig skritt i retning til forbedret PCI behandling, likt overgangen fra BMS til DES. Denne nye stenten vil implanteres i stedet for en DES, dvs ikke i tillegg. Produktet skal erstatte den «gamle, mer rigide» stenten. Om resultatene av de foreliggende studier kan bekreftes med større populasjoner og over lengre observasjonstid kommer bruket av DES til å erstattes i stor grad av denne typen stent, men

	avhengig av pris og tilgjengelighet velges antakelig lokalisasjon og pasientpopulasjon.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Implementeringen bør pga fortsatt suboptimal dokumentasjon og høy pris av denne devicen foregå under kontrollerte forhold, dvs med en definert pasientpopulasjon, definert koronarlokalisasjon og plaquekarakteristik og under nøye dokumentasjon. Antakelig kan både pasienter med akutt og kronisk koronarsykdom for denne metoden implementeres.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Redusert mortalitete er i de foreliggende studier ikke klart sign. bedre, men flere andre faktorer for failure av dagens implanterte stenter er signifikant bedre eller viser so lovende resultater, at kontrollert utprøving av dette inntil nå meget dyre produkt kan etter min mening rettferdiggjøres.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Elixir medical, Milpitas Ca 95035 USA Produktet selges i Norge av Brage Medical 3057 Solberelva

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Ingen interesskonflikter

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	Akershus univeritetssykehus
Avdeling	Kardiologisk avdeling, seksjon for invasiv kardiologi
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Oliver Meyerderks Seksjonsoverleg seksjon for invasiv kardiologi
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒

Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):



Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2025_107

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Dynam X er en koronarstent med et konsept som er litt nytt med bindinger i metallstrukturen som er biodegraderbare og som går i oppløsning over tid. Dette skal ifølge produsenten gi bedre vasomotilitet og viser lovende resultater mtp TLF (restenose og infarkt). Den største studien er fra Sverige med 2400 pasienter. Det er i min mening ikke nok til å kalle det en ny metode. Det er nytt utstyr til eksisterende metode. Innsalget her bør derfor være gjennom anbudsrunder og HINAS.

	Erfaringsmessig bør nye stentplattformer prøves i industriuavhengige all-comers studier før de erstatter velprøvde DES.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Ingen

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	Haukeland Universitetssykehus
Avdeling	Hjerteklinikken
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Erlend Eriksen, overlege
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Saksnummer 044-26 Oppsummering fra sekretariatet

Forslag: ID2025_079 Tiratrikol (Emcitate) til behandling av perifer tyreotoksikose (unormalt høye nivåer av sirkulerende skjoldbruskhormoner) hos pasienter med MCT8-mangel (Allan-Herndon-Dudley syndrom)

Kort om metoden fra forslaget:

- Forslagsstiller er en fagperson ved barneklubben på Nordlandssykehuset.
- Forslaget gjelder et nytt legemiddel som fikk markedsføringstillatelse i Norge i februar 2025.
- Forslagsstiller viser til at dette skal være det eneste legemidlet for behandling av MCT8-mangel.
- Dagens behandling: støttende tiltak
- Pasientgrunnlag: 1-3 pasienter i Norge
- Legemidlet er svært kostbart, men vil utgjøre en stor forskjell for pasientene med aktuell sykdom.
- Pasientene krever i dag omfattende ressursbruk fra helsetjenesten med sykehusopphold, oppfølging av fysioterapeut, logoped, ernæringsfysiolog, barnelege, nevrolog og endokrinolog, samt hjelpemiddelsentral og behandlingshjelpemidler.

Kommentar fra sekretariatet:

- Sekretariatet informerte leverandør om anmodningsprosessen i Norge da forslaget kom inn, og Sykehusinnkjøp HF har også hatt dialog med dem.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- 1 innspill (Norsk Barnelegeforening).

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	Audhild Prytz
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Nordlandssykehuset, barneklinnikk
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	audhild.prytz@nordlandssykehuset.no / 91851858
Dato for innsending av forslag	23.09.2025

Opplysninger om metoden som foreslås

1. Forslagstillers tittel på forslaget:*

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

Emcitate /Tiratricol

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Behandling av MCT8-mangel med Emcitate/Tiratricol

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

Eneste tilgjengelige medikament for behandling av MCT8-mangel.

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.*

Det er få pasienter det gjelder. Medikamentet er uforholdsmessig kostbart. Det finnes ingen annen tilgjengelig behandling per nå. Uten behandling vil pasienter med MCT8-mangel være pleietrengende. Med behandling vil hjelpebehovet være mindre og utsikter til selvstendig liv bedre.

*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?)

Det finnes ingen annen tilgjengelig behandling for MCT8-mangel. Dagens behandling består av støttende tiltak med fysioterapi, logoped, ernæringsstøtte med PEG.

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:

Medikamentet er i bruk, men ikke i Norge. Det har vært brukt primært i studier så langt.

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:

Det søkes om godkjenning av medikamentet på H-resept.

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?))

Metoden gjelder barnemedisin, nevrologi og endokrinologi. Oppstart behandling vil få konsekvenser for pasienter med MCT8-mangel, pårørende og samfunnet rundt, da pasientene er ressurskrevende.

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

MCT8-mangel er en alvorlig tilstand som gir cerebralhypotyreose og dermed en progressiv hjerneskade som starter allerede i fosterlivet. I tillegg får pasientene alvorlige symptomer fra sin perifere hypertyreose. Pasientene er pleietrengende og kan ikke leve selvstendige liv.

Forventet effekt

Bedring av funksjonsnivå både kognitivt og motorisk, samt minimere symptomer på perifer hypertyreose.

Sikkerhet og bivirkninger

Det er gjort studier som viser at medikamentet er sikkert i bruk og ikke har uakseptable bivirkninger.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

1-3

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Medikamentet er kostbart, men pasienten krever omfattende ressursbruk fra helsetjenesten med sykehusopphold, oppfølging av fysioterapeut, logoped, ernæringsfysiolog, barnelege, nevrolog og endokrinolog, samt hjelpemiddelsentral og behandlingshjelpemidler.

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

<https://www.thelancet.com/journals/landia/article/PIIS2213-8587%2819%2930155-X/fulltext>

<https://academic.oup.com/icem/article/107/3/e1136/6408637>

<https://www.frontiersin.org/journals/pediatrics/articles/10.3389/fped.2024.1444919/full>

<https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC10938514>

<https://etj.bioscientifica.com/view/journals/etj/13/6/ETJ-24-0286.xml>

https://www.egetis.com/mfn_news/european-commission-approves-egetis-emcitate-tiratricol-as-the-first-and-only-treatment-for-patients-with-mct8-deficiency/

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/40549098/>

<https://www.medscape.com/viewarticle/emcitate-recommended-peripheral-thyrotoxicosis-ahds-2024a1000n4u?form=fpf>

<https://www.ema.europa.eu/en/news/first-treatment-peripheral-thyrotoxicosis-patients-allan-herndon-dudley-syndrome>

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

Egetis Therapeutics

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

Markedsføringstillatelse i Norge fra februar 2025

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

Medikamentet er svært kostbart, men vil utgjøre en stor forskjell for pasientene med aktuelle sykdom. Det er i henviste artikler presisert viktigheten av å komme i gang tidlig med behandling.

18. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv forslagsstillers 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.)

Ingen økonomiske interesser. Forslagsstiller er behandler for pasient med sykdommen.

Innspill til Nye metoder fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2025_079

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Tiratrikol (Emcitate) er eit lækjemiddel brukt mot MCT8-svikt. MCT8 er viktig for å transportere T3 over blod-hjerne-barrieren, og svikt i MCT8-transporteren vil dermed gi sentral (cerebral) hypotyreose med redusert psykomotorisk utvikling, dystoni, spastisitet og forseinka myelinisering. Det blir kjenneteikna av høg T3 i blod. Dette kallast Allan–Herndon–Dudleys syndrom. Dette er et særskjeldan syndrom som få barneendokrinologar har røynsle med. Kasuistikkar skildrar betring, (1,2) men det er usikkert kor god effekt denne behandlinga har, kanskje fordi ein som regel kjem for seint til. (3) Det er lite klinisk erfaring med dette syndromet i Noreg. 1. Strømme et al: Mutated Thyroid Hormone Transporter OATP1C1 Associates with Severe Brain Hypometabolism and Juvenile Neurodegeneration, Thyroid 2018 2. Dubinski et al: MCT8 Deficiency in Infancy: Opportunities for Early Diagnosis and Screening, Int J Neonatal Screen. 2025

	3. Markova et al: Toward a treatment for thyroid hormone transporter MCT8 deficiency – achievements and challenges, European Thyroid Journal 2024
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Det er behov for metoden. Det er usikkert kor god effekt det har, spesielt sidan dette ikkje oppdagast tidleg nok. Det vil gjelde veldig få pasientar i Noreg.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Veldig liten populasjon.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Nei
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Ingen interessekonflikter

7. Avsender av faglig innspill

Fagmedisinsk forening

Interessegruppa for endokrinologi, Norsk Barnelegeforeining

Navn, stilling og arbeidsplass	Kasper Schei, Konst. Overlege St Olavs hospital
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Saksnummer 045-26 Oppsummering fra sekretariatet

Forslag: ID2021_123 Temperaturregulert laminær luftstrøm (TLA-behandling) behandling av alvorlige allergiske sykdommer som alvorlig allergisk astma og atopisk dermatitt (eksempel på produkt Airsonett Air 4)

Tidligere saksbehandling i Nye metoder:

- Forslagstiller sendte inn forslag om metoden første gang i 2021.
- Det ble vurdert at det var behov for ytterligere avklaringer av finansieringsansvaret for metoden som er til hjemmebruk.
- Saken ble diskutert i interregionalt fagdirektørmøte i 2023 hvor beslutningen ble som følger: Metoden er verken tatt inn eller avvist som behandling. Den er ikke vurdert. Dersom noen sykehus tar metoden i bruk, vil de få finansieringsansvaret.
- Produsent sender inn nytt forslag om metoden januar 2026.

Kort om metoden fra forslaget:

- Metoden handler om temperaturregulert laminær luftstrøm (TLA-behandling) med Airsonett Air4 for behandling av alvorlige allergiske sykdommer som alvorlig allergisk astma og atopisk dermatitt.
- Reduksjon av allergeneksponering er en sentral del av behandlingen. Airsonett TLA-behandling er utviklet for å redusere allergeneksponeringen med opptil 99,5 % ved bruk gjennom natten.
- TLA har ikke vært tilgjengelig for norske pasienter per nå.
- TLA er en tilleggsbehandling som skal brukes sammen med basisbehandling i form av eksempelvis inhalasjonsterapi, antihistamin etc. TLA skal legges til dagens behandling, og den er interaksjonsfri.
- Forslagstiller skriver at flere fagdirektører ved ulike helseforetak etterlyser en nasjonal metodevurdering etter at flere klinikere har søkt fagdirektører om individuell godkjenning på enkeltpasienter.
- Metoden er forsøksvis prøvd ut hos en del avtalespesialister i ulike deler av landet.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (vedlagt):

- Produktet har to funksjoner:
 - o Rense luften for partikler og allergener.
 - o Kjøle ned den rensede luften og styre den i en laminær luftstrøm mot brukeren/pasienten. Dette fortrenger varm og partikkelrik luft fra pustesonen til den som befinner seg under den laminære luftstrømmen.
- Utstyret brukes i pasientens hjem, og kan være et supplement til standard medikamentell basisbehandling ved alvorlig og ukontrollert allergisk sykdom, og hevdes bidra til bedre symptomkontroll, færre forverring/utbrudd, bedre nattesøvn og høyere livskvalitet.
- Metoden er CE-merket (risikoklasse I).
- Så vidt DMP erfarer, er dokumentasjonsgrunnlaget det samme som i 2021.
- Utstyret kan leies eller kjøpes og kostnaden er avhengig av type avtale, varighet og andre betingelser. DMP har ikke funnet offentlige listepreiser for Airsonett i Norge. Det er oppgitt at utstyret har en forventet levetid på 5 år når det brukes hver natt i 8-10 timer.

- Dersom metoden anses relevant for Nye Metoder, virker det mest hensiktsmessig med en metodevurdering med innsendt dokumentasjon. Oppdraget kan eventuelt avgrenses til allergisk astma hvor dokumentasjonsgrunnlaget er bedre enn for atopisk eksem.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: 1 innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- 1 innspill (Norsk Forening for Lungemedisin).

Innspill fra klinikere og andre:

- 3 innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Ingen nasjonale faglige retningslinjer vil bli påvirket.

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	Sigurd Binnie
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Airsonett AB
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	sigurd.binnie@airsonett.eu
Dato for innsending av forslag	12.01.2026

Opplysninger om metoden som foreslås

1. Forslagsstillers tittel på forslaget:*

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

TLA-behandling med Airsonett Air4 for behandling av alvorlige allergiske sykdommer som alvorlig allergisk astma og atopisk dermatitt

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Alvorlig allergisk astma og alvorlig atopisk dermatitt er en krevende tilstander å behandle. Å redusere allergen-eksponering er en sentral del av behandlingen. Airsonett TLA behandling har som formål å redusere allergen-eksponering med 99,5% ved bruk gjennom natten. TLA har ikke vært tilgjengelig for norske pasienter frem til nå, produsenten er nå representert i Norge og det er et ønske om å gjøre behandlingen tilgjengelig for norske pasienter. Metoden er i bruk i Sverige, hvor den offentlig finansiert og støttet av TLV, Sosialstyrelsen og barnelegeforeningen. Metoden er også vurdert i England og Skottland og funnet å være ikke bare cost-effective, men cost-attractive.

TLA-behandling er har blitt utviklet fra teknologien bak «ren-roms prinsippet» (ref. operasjonssaler), og blitt utviklet til en evidens-basert hjemmebehandling. TLA er en state-of-the-art behandling hvor det ikke finnes sammenliknbare metoder. TLA er en tilleggsbehandling som skal brukes sammen med basisbehandling i form av eksempelvis inhalasjonsterapi, antihistamin etc. TLA skal legges til dagens behandling, og den er interaksjonsfri. TLA er indisert til behandling som tilleggsbehandling på GINA steg 4-5 alvorlighetsgrad ved astma. Den kan benyttes både med og uten biologisk behandling.

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

Fagmiljøet representert ved lungeleger ønsker å ta i bruk behandlingen og eventuelt vurdere å ta den inn i veileder for alvorlig astma. For at slik vurdering kan gjøres er det ønskelig fra NFL (Norsk forening for lungemedisin) sin side at det gjøres en metodevurdering. I tillegg etterlyser flere fagdirektører ved ulike helseforetak en nasjonal metodevurdering etter at flere klinikere har søkt fagdirektører om individuell godkjenning på enkeltpasienter.

TLA-behandling som metode har vært fremmet ved en tidligere anledning for Nye Metoder, men nasjonal metodevurdering ble ikke bestilt. Det var den gang tvil om metoden falt inn under spesialisthelsetjenestens ansvarsområde. Etter noe dialog uttrykte Nye Metoder at metoden likevel kunne havne inn under dette området, og uttalte på sine nettsider av metoden hverken var tatt inn eller avslått. Og at dersom noen sykehus tar metoden i bruk vil de også få finansieringsansvaret. Dette har avstedkommet et vakuum blant beslutningstakere og klinikere, da det ikke foreligger en metodevurdering.

Forslagsstiller har hatt telefonmøte med avdelingsdirektør Dr Martin Lerner i Direktoratet for Medisinske Produkter (DMP) i oktober 2025. Han er velinformert om TLA-behandling, sakens historie og den prosess som metodeforslaget ble gjenstand for ved siste innmelding. Han anbefaler oss som leverandør at det bør fremmes nytt metodeforslag med ovenfor nevnte presisering og forklaring. I henhold til kriteriene for når det skal gjennomføres en nasjonal vurdering i regi av Nye Metoder, så oppfyller TLA alle tre primære seleksjonskriteriene; sykehusfinansiering, CE-merking og mernytte/udekket behov/erstatte metoder. Metoden oppfyller også et av de sekundære seleksjonskriterierene, nemlig budsjettkonsekvens etter tre år. I Sverige benytter ca 900 pasienter TLA-behandling. Norge har om lag halvparten så mange innbyggere og er ellers sammenlignbar med Sverige også hva andre parametere gjelder. Slik som prevalens av allergiske sykdommer, tilgjengelig øvrig behandling og kostnadsnivå. Om man tar utgangspunkt i 450 pasienter i Norge etter tre år, vil budsjettkonsekvens potensielt være over nivået som nevnes i kriteriene for når det **skal** vurderes i Nye Metoder, (ref. foredrag på informasjonsmøte (på Teams) til medlemmer i Melanor/NHO Geneo, den 1.9.2025 av dr. Martin Lerner (DMP), lysbilde nr. 12)

Det foreligger betydelig evidens bak metoden som i mange år har vært del av de svenske retningslinjer for astmabehandling, støttet av både (TLV) Lakemedelsverket, Sosialstyrelsen og den svenske Barnelegeforeningen. Det kan være en ide å jamføre med TLV sine vurderinger av TLA-behandling.

Metoden er også inntatt i EUFOREA i 2025 sine behandlingalgoritmer, (European Forum for Research and Education i Asthma and Allergy).

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.*

Populasjon: Metoden er rettet inn mot astmapasienter med alvorlig allergisk astma på GINA nivå 4-5 hvor pasienten ikke har tilstrekkelig effekt av behandling med ICS/LABA/LAMA og adekvat anti-allergisk behandling med antihistaminer og nasale kortikosteroider. Airsonett TLA kan være et ikke-medikamentelt alternativ til vurdering av oppstart med biologisk behandling.

Intervensjon: Airsonett TLA fungerer ved å eliminere 99,5 av alle partikler over 0,5 mikrometer i pustesonene over pasienten under søvn. Det gjør metoden årsaks-rettet. Retningslinjer for behandling av allergi og astma anbefaler alle allergisanering. Ingen andre metoder kan gjøre det på måten som TLA gjør det.

Comparison: Det finnes ikke i dag alternativer til Airsonett TLA behandling som tilbyr sammenliknbar behandling knyttet til å rette fokus mot årsaken til symptomene. Airsonett TLA er en ikke-invasiv behandling uten farmakologiske bivirkninger og har ingen aldersbegrensninger. Det understrekes at TLA-behandling ikke skal erstatte medikamentell behandling.

Outcome: Astma-eksaserbasjoner

Astmakontroll

Symptomskåre

Søvnkvalitet

Reduksjon av luftveisinflammasjon

*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?)

Det finnes ingen metode som kan sammenliknes med TLA-behandling pr i dag som har samme virkningsmekanisme, som er årsaksaksrettet. Medikamenter som benyttes mot alvorlig allergisk astma og atopisk dermatitt er rettet mot oppstått sykdom, ikke rettet mot årsaken til sykdom.

Metoden vil kunne forskrives som et medisinsk-teknisk hjelpemiddel på linje med for eksempel C-PAP eller LTO2-behandling hjemme. Metoden behøver ikke sykehusoppfølging knyttet til installasjon hos pasient, dette gjøres av pasient/pårørende med support av leverandør ved behov.

TLA-behandling er har blitt utviklet fra teknologien bak «ren-roms prinsippet» (ref. operasjonssaler), og blitt utviklet til en evidens-basert hjemmebehandling. TLA er en state-of-the-art behandling hvor det ikke finnes sammenliknbare metoder. TLA er en tilleggsbehandling som skal brukes sammen med basisbehandling i form av eksempelvis inhalasjonsterapi, antihistamin etc. TLA skal legges til dagens behandling, og den er interaksjonsfri. TLA er indisert til behandling som tilleggsbehandling GINA steg 4-5 alvorlighetsgrad ved astma.

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:

Metoden er forsøksvis prøvd ut hos en del avtalespesialister i ulike deler av landet. Case-rapporter og pasient-case er tilgjengelig hos leverandør.

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

Legemiddel	☐
Medisinsk utstyr som er CE-merket*	☒

*Angi klassifisering og bruksområde:

CE Class 1 – CE Class 1 MDR 2017/745. EU claims: Kontrollerer astmasymptomer, forbedrer søvn, reduserer antall astma-anfall, øker livskvalitet. I tillegg til farmasøytisk behandling kan den også oppnå kontroll på atopisk dermatitt. 510k clear class 2 device (US)

TLA-behandling med Airsonett er registrert i NKKN (Norsk Klassifisering, Koding og Nomenklatur) som er det nasjonale grunnregisteret for medisinsk utstyr. NKKN-koden til Airsonnet Air4 er 28417 og GMDN-term er 43671.

- 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:

Departementet og HDIR har uttalt at metoden vil falle inn under spesialisthelsetjenestens behandlings- og finansieringsansvar. Nye metoder har tidligere uttalt at spesialisthelsetjenesten har finansieringsansvar.

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

Angi eventuelt hvilke og kommenter eventuelt behov for endringer:

NFL (Norsk forening for lungemedisin) ved leder Rune Nielsen (leder frem til november 2025), har uttalt at det er ønskelig med en nasjonal metodevurdering før metoden kan vurderes inntatt i veileder for alvorlig astma.

- | 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?))

Allergiske sykdommer som alvorlig allergisk astma og allergisk dermatitt.

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

Alvorlig ukontrollert allergisk astma, behandlingsnivå 4-5 GINA retningslinjer for astmabehandling. Moderat til alvorlig atopisk dermatitt. TLA er et behandlingstillegg til grunnbehandlingen innenfor begge indikasjoner. TLA sanerer effektivt luftbårne triggere som opprettholder og forverrer inflammasjon, og har solid evidensgrunnlag når det gjelder klinisk effekt.

Forventet effekt

Lavere inflammasjonsmarkører, færre eksaserbasjoner, bedre søvnkvalitet, høyere livskvalitet og bedre symptomkontroll både på astma og atopisk dermatitt.

Sikkerhet og bivirkninger

TLA er interaksjonsfri, og fri for farmakologiske bivirkninger.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Ca 10% av befolkningen har astma. Ca 10-20% av denne gruppen har alvorlig astma og om lag halvparten har sannsynligvis en allergisk drevet sykdom. For barnepopulasjonen med astma har opptil 80% en allergisk komponent i sykdomsbildet.

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Med å gi rett behandling til rett pasient kan man oppnå kostnadsbesparelse ved at en pasient kan behandles med TLA i stedet for å tilbys behandling med mer kostbare og invasive metoder. Det forhindrer ikke bruk av TLA også for pasienter som allerede benytter eksempelvis biologisk behandling. Dersom en slik pasient ikke har oppnådd tilstrekkelig sykdomskontroll kan TLA også for denne pasientgruppen være en adekvat tilleggsbehandling

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

- Airsonett product information and animation Air4 TLA treatment. Film <https://Airsonett.eu/>. Accessed November 2025 and <https://www.youtube.com/watch?v=m9ydnw93OGQ>
 - Boyle RJ, Pedroletti C, Wickman M, et al. Nocturnal temperature controlled laminar airflow for treating atopic asthma: a randomised controlled trial. *Thorax*. 2012;67(3):215-21
 - Pedroletti C, Millinger E, Dahlen B, et al. Clinical effects of purified air administered to the breathing zone in allergic asthma: A double-blind randomized cross-over trial. *Respir Med*. 2009;103(9):1313-9
 - Chauhan A et al. Effect of nocturnal Temperature-controlled Laminar Airflow on the reduction of severe exacerbations in patients with severe allergic asthma: a metaanalysis. *Europ Clinical Resp Journal*: Mars 10 8:1 2021
 - Schauer U, et al. Improved asthma control in patients with severe, persistent allergic asthma after 12 months of nightly temperature-controlled laminar airflow: an observational study with retrospective comparisons. *Eur Clin Respir J*. 2015;2
 - Wang C, Lo C, Kuo H. A nocturnal temperature controlled laminar airflow device (TLA) maintains good control of severe allergic asthma (SAA) after withdrawal of Omalizumab. Abstract 10036; ERS 2017. 2017
 - Gore. C Temperature-controlled laminar airflow (TLA) device in the treatment of children with severe atopic eczema: Open-label, proof-of-concept study. *Clin Exp Allergy*. 2018 May;48(5):594-603
 - Gore R et al Effect of a novel temperature-controlled laminar airflow device on personal breathing zone aeroallergen exposure. wileyonlinelibrary.com/journal/ina 2015 Feb;25 (1):36-44
 - Bakshi, D Analyses of changes in airborne pollutant levels in response to nocturnal temperature controlled laminar airflow treatment. Abstract EACCI congress 2012
 - Kapoor M, Nocturnal temperature-controlled laminar airflow device for adults with severe allergic asthma: the LASER RCT. *Health Technol Assess*. 2019 Jun;23(29):1- 140 PMID: 31232684 PMCID: PMC6612908 DOI: 10.3310/hta23290
- Utfyllende litteratur som gjelder dokumentasjon fås ved henvendelse til leverandør.

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

Airsonett AB, Kelliehousevegen 31, 26274 Angelholm, Sverige

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

CE Class 1 – MDD 93/42/EEC

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

Sitater fra internasjonale opinionsledere, pediatrik allergolog dr Robert Boyle og lungelege/allergolog dr Leif Bjerner, samt sitat fra mor til en pasient på 8 år.

TLA - Improves Quality of Life

“We have demonstrated that nocturnal control of aeroallergen exposure can improve quality of life and reduce airway inflammation in adults and children with atopic asthma, without significant adverse effects,” says Dr Robert Boyle, Imperial Collage and St. Mary’s NHS trust, London, United Kingdom TLA –

Equal effect as Biologics

“The Airsonett TLA have a dramatic positive effect to people living with severe asthma. The treatment with TLA is equal to far more expensive treatment with biologic drugs” says Leif Bjerner, Professor Dep. of Respiratory and Allergology, University Hospital Lund, Sweden and consultant in internal medicine/pulmonology at Namsos sykehus and fastlege Namdalseid legekantor.

TLA – Changing the Life of a whole family

“The Airsonett Air4 device is the best thing that has happened to our family. Alexander has a chance to be an ordinary child. Friends, school and football, everything is fantastic” says Rebecca Nyberg, mother to Alexander Nyberg, 8 years old

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: Forslagstiller har økonomiske interesser i saken. Forslagstiller har eller har hatt oppdrag i forbindelse med, eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.)

Forslagstiller er produsent av metoden.

Egnethetsvurdering - oppdatering

1. Status og oppsummering

ID2021_123 Temperaturregulert laminær luftstrøm til behandling av allergisk sykdom

1.1 Oppsummering

Forslag innsendt fra Airsonett AB, angående utstyr for behandling av allergisk sykdom med temperaturregulert laminær luftstrøm (TLA-behandling). Metoden ble også foreslått i 2021, med i hovedsak likelydende forslagstekst. Det var den gang behov for å avklare finansieringsansvar, og det ble ikke gitt oppdrag om metodevurdering. Interregionalt fagdirektørmøte besluttet i 2023 at sykehus som tar i bruk metoden vil få finansieringsansvar. Så vidt DMP erfarer, er dokumentasjonsgrunnlaget det samme som i 2021. Utstyret brukes i pasientens hjem, og kan være et supplement til standard medikamentell basisbehandling ved alvorlig og ukontrollert allergisk sykdom, og hevdes bidra til bedre symptomkontroll, færre forverringer/utbrudd, bedre nattesøvn og høyere livskvalitet.

Populasjon: Voksne og barn med alvorlig allergisk astma eller atopisk dermatitt

Komparator: Standard medikamentell behandling + ev. placebo TLA

Intervensjon: Laminær luftstrøm med temperaturkontroll (Airsonett Air4) som tillegg til standard medikamentell behandling.

Utfall: astma-forverringer; astmakontroll; symptomskår, søvnkvalitet, grad av luftveisinflammasjon (forslagsstiller)

Forslag til fagekspert:

1.2 Metodetype

Medisinsk utstyr, diagnostikk og tester

1.3 Fagområde

Lunge- og luftveissykdommer
Velg eventuelt underområde

1.4 Tagger/søkeord

☐ Tilhørende diagnostikk
☐ Genterapi
☐ Medisinsk stråling
☐ Vaksine
☐ Kunstig intelligens

1.5 Status for godkjenning

☐ Markedsføringstillatelse
☒ FDA godkjenning
☒ CE-merking

Kommentar:

CE-merket risikoklasse I (2010), FDA-godkjent klasse II

1.6 Finansieringsansvar

☒ Spesialisthelsetjenesten
☐ Folketrygd
☐ Kommune
☐ Annet

Kommentar:

Interregionalt fagdirektørmøte 22.05.2023: "Dersom noen sykehus tar metoden i bruk, vil de få finansieringsansvaret."

1.7 Status for bruk

☒ Under utvikling
☒ Under innføring
☐ Revurdering
☒ Brukes i Norge
☒ Brukes i EU/EØS
☐ Ny/endret indikasjon
☒ Ny/endret metode

Kommentar:

Ifølge forslagsstiller er metoden prøvd ut av norske avtalespesialister i ulike deler av landet.

1.8 Bestillingsanbefaling

1: ☐ Fullstendig metodevurdering
☐ Effekt
☐ Sikkerhet
☐ Helseøkonomi
☐ Organisasjon
☐ Etikk
☐ Jus

3: ☐ Metodevurdering uten innsendt dokumentasjon, med forenklet metodisk tilnærming:
Velg et element.

2: ☒ Metodevurdering basert på innsendt dokumentasjon fra produsent/leverandør

Kommentar: Dersom metoden anses relevant for Nye Metoder, virker det mest hensiktsmessig med en metodevurdering med innsendt dokumentasjon. Oppdraget kan eventuelt avgrenses til allergisk astma hvor dokumentasjonsgrunnlaget er bedre enn for atopisk eksem.

2. Punktoppsummering

ID2021_123 Temperaturregulert laminær luftstrøm til behandling av allergisk sykdom

2.1 Om metoden

- Forslag innsendt fra Airsonett AS, produsent av Airsonett Air4.
- Produktet har to funksjoner: 1) rense luften for partikler og allergener, og 2) kjøle ned den rensede luften og styre den i en laminær luftstrøm mot brukeren/pasienten. Dette fortrenger varm og partikkelrik luft fra pustesonen til den som befinner seg under den laminære luftstrømmen.
- Airsonett Air4 er tenkt brukt i hjemmet, og plasseres ved sengens hodeende hos barn og voksne med allergisk sykdom, som f.eks. allergisk astma, og atopisk dermatitt, særlig personer med svært alvorlig og ukontrollert sykdom.
- Metoden kan være et supplement til standard medikamentell basisbehandling ved alvorlig og ukontrollert allergisk sykdom.
- Hensikten med metoden er å forebygge sykdomsforverring som astmaanfall og eksemutbrudd, og gi bedre nattesøvn og livskvalitet

2.2 Om dokumentasjonsgrunnlaget

Kildene nedenfor nevner eller omhandler bruk av temperaturregulert laminær luftstrøm.

Retningslinjer

- **Astma:** én retningslinje fra Sverige (oppdatert i 2020)
- **Atopisk eksem:** behandlingsanbefaling (ikke retningslinje) fra Sverige (2023)

Systematiske oversikter og metodevurderinger

- **Astma:**
 - Én metaanalyse (uten litteratursøk, inkludert to RCT) (2021)
 - To metodevurderinger fra Sverige (2013 og 2020)
- **Atopisk eksem:**
 - Én mini-metodevurdering fra Sverige (2019)

Randomiserte kontrollerte studier fra oppsummert forskning og forslagsstillers dokumentasjonsliste

- **Astma:**
 - Tre randomiserte kontrollerte studier (2009, 2012, 2019)
- **Atopisk eksem:**
 - Én pågående(?) randomisert kontrollert studie (estimert avsluttet 2025)
 - Én klinisk studie uten kontrollgruppe (2018)

2.3 Om helseøkonomi

- Vi har ikke identifisert offentlige listepreiser for Airsonett i Norge.
- Utstyret kan enten leies eller kjøpes, og pris vil avhenge av avtaletype, varighet og betingelser.
- NICE sin Medtech Innovation Briefing (MIB) oppgir en månedlig leiekostnad på £174 (ekskl. mva. 2014-pris) for NHS, som inkluderer: administrert tjeneste, utskifting, reparasjoner og teknisk støtte og filterbytte hver 6. måned.

2.4 Om bestillingsanbefaling

- Interregionalt fagdirektørmøte besluttet 2023-05-22 at "*Dersom noen sykehus tar metoden i bruk, vil de få finansieringsansvaret.*"
- Metoden er CE-merket (risikoklasse I)
- Dersom metoden anses relevant for Nye Metoder, virker det mest hensiktsmessig med en metodevurdering med innsendt dokumentasjon. Oppdraget kan eventuelt avgrenses til allergisk astma hvor dokumentasjonsgrunnlaget er bedre enn for atopisk eksem.

3. Beskrivelse av metoden

ID2021_123 Temperaturregulert laminær luftstrøm til behandling av allergisk sykdom

Generisk navn	Temperaturregulert laminær luftstrøm (TLA)
Produktnavn	Airsonett Air4
Produsenter	Airsonett AB

3.1 Beskrivelse av metoden

Status og prinsipp for metode	Produsent av Airsonett Air4, Airsonett AB, har sendt inn (nytt) forslag om nasjonal metodevurdering (1). Metoden ble første gang foreslått i Nye metoder systemet i 2021, men ble ikke vurdert grunnet uklarheter knyttet til finansieringsansvar. Ifølge forslagsstiller har Helsedirektoratet og Helse- og omsorgsdepartementet uttalt at metoden vil falle inn under spesialisthelsetjenestens behandlings- og finansieringsansvar (1). Interregionalt fagdirektørmøte avklarte i mai 2023 at metoden verken er tatt inn eller avvist som behandling og at sykehus som tar metoden i bruk, vil få finansieringsansvaret (2). Produktet plasseres i soverommet hos barn og voksne med allergisk sykdom, som f.eks. astma og atopisk dermatitt. Utstyret er tidligere markedsført som Protexo (3). Airsonett Air4 er CE-merket (2010) (3) og FDA-godkjent (2013) (4). Ved søvn forårsaker kroppsvarme og utpust en oppadgående luftstrøm som konsentrerer partikler, herunder allergener, i pustesonen. Dette kan føre til irritasjon og økt inflammasjon i luftveiene hos personer med f.eks. allergisk astma. Airsonett Air4 består av en luftfiltreringsenhet som plasseres ved siden av sengen, slik at dysen, «hodet» på filtreringssystemet er plassert over pustesonen til den sovende. Romluften filtreres slik at den er 99,5 % fri for partikler $>0,5\mu\text{m}$ og kjøles litt ned i forhold til romtemperaturen. Deretter rettes den temperaturregulerte, laminære (rettlinjet, uten virvler) strømmen av filtrert luft mot pustesonen. Ettersom kald luft er tyngre enn varm luft, vil den filtrerte, nedkjølte luften fortrenge varmere og partikkelrik luft fra pustesonen til den sovende (5). Utstyret måler 119-139 cm i høyde, og «halsen» kan justeres etter høyde på sengen. Filteret må skiftes hver 6. måned (5).
Potensiell nytte	Produktet skal redusere mengden allergener og andre luftbårne triggere i pustesonen mens brukeren oppholder seg i sengen. Eksponering for allergener øker luftveisinflammasjon hos pasienter med allergisk astma. Færre allergenpartikler og dermed mindre inflammasjon kan bidra til bedre symptomkontroll, søvnkvalitet og livskvalitet. Ifølge forslagsstiller/produsent skal TLA-behandling brukes som tillegg til standard medikamentell basisbehandling for barn og voksne med alvorlig ukontrollert allergisk astma eller moderat til alvorlig atopisk dermatitt. Kan brukes med og uten samtidig biologisk behandling (1;5). Hos personer med moderat og alvorlig atopisk eksem og allergi mot innendørsallergener, kan produktet ifølge produsenten bidra til mindre eksemareal, redusert kløe, intensitet og rødhet samt bedre søvn og allmenntilstand (5).
Sikkerhetsaspekter og risikoforhold	Det virker ikke å foreligge interaksjon med annen behandling eller annen risiko knyttet til bruk av produktet.
Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag	Astma er en kronisk sykdom som kjennetegnes av luftveisinflammasjon. Typiske symptomer er varierende grad av anfallsvis tung pust, piping og hoste som skyldes overfølsomme og trange bronkier (luftrør i lungene). Tilstanden henger ofte sammen med atopiske (arvelig overfølsomhet) sykdommer og kan trigges av virusinfeksjoner og ulike

	typer irritanter, f.eks. støv, tobakksrøyk eller luftbårne allergener. Ved allergisk astma reagerer slimhinnene på kontakt med allergener i luften, f.eks. fra husstøvmidd, pelsdyr eller pollen. Slimhinnene blir hoven, irritert og betent, det dannes mer slim og glatt muskulatur rundt bronkiene trekker seg sammen. Et astmaanfall innebærer en plutselig forverring av astmasymptomene. Et akutt astmaanfall kan være livstruende hvis pasientene ikke får riktig behandling (6-8). Ifølge norsk legemiddelhåndbok estimeres forekomst av astma i alderen 5-44 år til 5 % (basert på reseptforskriving, dvs. aktiv sykdom) (9;10). Av disse har 3-4 % alvorlig astma (10). Andel allergidrevet astma er ikke presisert. Forslagsstiller oppgir at forekomsten av astma i Norge er ca. 10% av alle innbyggere, hvorav 10% har alvorlig sykdom, og 50% av disse har allergisk drevet sykdom. Anslagsvis vil dette tilsvare ca. 27 000 personer med alvorlig allergisk astma. TLA-behandling benyttes av ca. 900 pasienter i Sverige. Tilsvarende bruk i Norge vil utgjøre 450 pasienter (1). Atopisk dermatitt (atopisk eksem) er en kronisk inflammatorisk hudsykdom hvor pasientene opplever kløe, tørr hud og rødt utslett (erytem). Det er uklart hva som er de viktigste driverne for betennelsesreaksjonen. Mange har familiemedlemmer med atopisk sykdom, for eksempel astma (11). Tilstanden er utbredt og så mange som 14-20 % av skolebarn og 5-9 % av voksne (tall fra Europa og USA) er rammet. Hos de fleste utvikles symptomene tidlig, men kan også oppstå i voksen alder. Mange vokser det av seg - 60-70 % er symptomfri når de kommer i puberteten (11). Forslagsstiller har ikke anslått andel av personer med atopisk eksem som har moderat eller alvorlig sykdom. En systematisk oversikt antyder at 2-7 % av barn og 3-16 % av voksne med atopisk eksem regnes som alvorlige tilfeller (12).
Dagens behandling	Ved sykdommer som allergisk astma og atopisk dermatitt, anbefales uavhengig av alvorlighetsgrad av tilstanden og så langt det er mulig, å unngå eksponering for tobakksrøyk, støv og andre irritanter. Redusert kontakt med allergener som kjæledyr, husstøvmidd og muggsopp omtales i flere kilder som del av egenbehandling og forebygging av forverring/utbrudd (6;7;13). Effekten av saneringstiltak er imidlertid usikker (6;14). Behandling av astma følger en trappemodell med fem trinn avhengig av sykdommens alvorlighetsgrad. Målsetting på alle trinn i behandlingstrappen er å oppnå symptomkontroll med minst mulig bivirkninger og lavest mulig dose. Behandlingen tilpasses med hensyn til preparat, dose, lokal (inhalasjon) eller systemisk behandling og hvilke legemidler som er tilgjengelig på markedet i det enkelte land. Antiinflammatorisk behandling med inhalasjonssterioider inngår på alle trinn og kombineres med hurtigvirkende (SABA) og langtidsvirkende beta2-agonister (LABA) for å utvide bronkiene (bronkodilatasjon). Behandlingsregime for de ulike trinn i behandlingstrappen er nærmere beskrevet i for eksempel anbefalingene fra Global Initiative for Asthma (GINA) og Norsk legemiddelhåndbok. Ved (svært) alvorlig, ukontrollert astma (GINA 4-5), vurderes regelmessig injeksjonsbehandling med biologiske medikamenter, for eksempel omalizumab (anti-IgE) (7;10;13). Egenbehandling av atopisk eksem dreier seg i stor grad om å forebygge eksemutbrudd. Foruten å unngå triggere som nevnt over, anbefales å unngå såpe og å smøre huden med fuktighetskrem ofte (alltid etter dusjing eller bading). I perioder med eksemutbrudd brukes steroidholdig krem. Hvis topikal kortikosteroidbehandling ikke gir god nok symptomkontroll, brukes topikale kalsinevrinhemmere (f.eks. takrolimus) som supplement. I de tilfeller tilstanden er alvorlig nok til å kreve oppfølging av spesialisthelsetjenesten, kan dessuten

	lysbehandling, systemisk immunmodulerende behandling, biologiske legemidler og JAK-hemmere være aktuelt (11;15).
Helseøkonomi	Utstyret kan leies eller kjøpes og kostnaden er avhengig av type avtale, varighet og andre betingelser. Vi har ikke funnet offentlige listepriser for Airsonett i Norge. Ifølge en omtale av Airsonett i en Medtech Innovation Briefing (NICE 2014), var leiekostnaden for Airsonett til NHS £174 (ekskl. mva.) per måned, på en administrert tjenestebasis som inkluderer teknisk støtte, reparasjoner og utskifting av filtre hver 6. måned. Det er videre oppgitt at utstyret har en forventet levetid på 5 år når det brukes hver natt i 8-10 timer (3).

4. Dokumentasjonsgrunnlag

ID2021_123 Temperaturregulert laminær luftstrøm til behandling av allergisk sykdom

4.1 Relevante og sentrale kliniske studier

Forslagsstiller henviser til flere publikasjoner, som også gjenfinnes på produsentens nettsted (16). De antatt mest sentrale er:

- Tre randomiserte kontrollerte studier (RCT) som har undersøkt temperaturregulert laminær luftstrøm ved allergisk astma sammenliknet med standard behandling og placebo TLA-behandling (17-19). Det er kun i én av RCT-ene (18) at deltakerne hadde alvorlig allergisk astma, GINA 4-5, som er indikasjonen foreslått av forslagsstiller. Behandling med omalizumab, siste 4 mnd. før randomisering var eksklusjonskriterium i studien.
- Én klinisk studie uten kontrollgruppe, undersøkte temperaturregulert laminær luftstrøm ved atopisk eksem (20).

Videre har DMP identifisert to RCT-er, som foreløpig ikke virker å ha publisert resultater (se 4.2).

- I den ene, NCT03480815, avslutter voksne med allergisk astma behandling med omalizumab ved studiestart. Den ene gruppen får TLA-behandling, den andre ikke. Utfallsmål er tid til første astmaforverring. Forslagsstiller henviser til et konferanseabstrakt, Wang 2018 (21), som antas omhandle den aktuelle studien. Vi kan ikke finne at resultatene er publisert i artikkelform.
- Populasjonen i den andre studien, NCT03795506, er barn med moderat til alvorlig atopisk eksem.

4.2 Pågående kliniske studier

Populasjon (n=antall deltakere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfallsmål	Studienummer	Tidsperspektiv resultater
Allergisk astma, 20-80 år, tidl. behandlet med omalizumab >4 mnd. n=24	Nattlig temperaturregulert laminær luftstrøm	Standard behandling	Tid til første astmaforverring	NCT03480815 201600573A3	Status: Completed Study completion 2020-06-30
Atopisk eksem, 4-16 år, n=96	Nattlig temperaturregulert laminær luftstrøm	Nattlig sham laminær luftstrøm	Endring i alvorlighet eksem etter 12 uker	NCT03795506	Status: «Unknown» Study completion 2025-05-31

4.3 Metodevurderinger og –varsel

Metodevurdering - nasjonalt/lokalt -	DMP har ikke identifisert norske metodevurderinger som omhandler bruk av temperaturregulert laminær luftstrøm til behandling av alvorlig allergisk astma eller atopisk dermatitt.
Metodevurdering / systematiske oversikt - internasjonalt -	National Institute for Health and Care Excellence (NICE, UK) har oppdatert sine retningslinjer for både astma (22) og atopisk eksem (23) i hhv. 2024 og 2025. Bortsett fra det, har DMP ikke identifisert relevant oppsummert forskning publisert etter FHIs egnetthetsvurdering i 2021. <u>Retningslinjer - astma</u> Det eksisterer en rekke retningslinjer vedrørende behandling av astma, blant annet fra Storbritannia (NICE) nevnt ovenfor, Danmark (24), og Sverige (25). Av disse er det kun den svenske retningslinjen fra Socialstyrelsen (2020), som spesifikt nevner temperaturregulert laminær luftstrøm til bruk hos voksne og barn med alvorlig og ukontrollert astma. TLA-behandling kan brukes, prioritert 5 på en skala fra 1 til 10 (25). I de andre retningslinjene nevnes muligheter for å bedre innemiljø ved å redusere allergener, men på grunn av begrenset evidens for effekt på relevante utfallsmål, gis det generelt sett liten/ingen anbefaling av slike tiltak (22;24). <u>Retningslinjer – atopisk dermatitt</u> Verken FHI eller DMP har identifisert retningslinjer som omtaler TLA-behandling. Svenske Läke medelsverket nevner metoden i behandlingsanbefaling for atopisk eksem utgitt 2023

	(14). (Lite evidens, anbefales ikke.) Retninglinjer fra NICE 2025 (23), felleseuropeiske 2018 (26) og amerikanske retningslinjer 2014 (27) nevner alle luftbårne allergener som triggerfaktorer, men gir ingen/få konkrete anbefalinger om tiltak og nevner ikke TLA-behandling. <u>Systematiske oversikter og metodevurderinger - astma</u> NICE i Storbritannia publiserte i 2014 en såkalt Medtech Innovation Briefing (MIB) om Airsonett temperaturregulert laminær luftstrøm brukt til pasienter med vedvarende allergisk astma (3). (MIB er en korte oppsummeringer av dokumentasjonsgrunnlaget for ulike typer medisinsk utstyr.) Publikasjonen oppsummerer to RCT-er: Pedroletti 2009 (19) og Boyle 2012 (17). FHI identifiserte i 2021 to metodevurderinger fra Sverige. Den første, utgitt av Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket i 2013, inkluderte de samme to studiene som NICE i 2014. Den andre svenske metodevurderingen, fra HTA-enheten CAMTÖ 2020 (28), inkluderte også Kapoor 2019, og er den eneste forskningsoppsummeringen vi har identifisert som har inkludert alle de tre RCT-ene vi kjenner til. Forslagsstiller henviser til én metaanalyse, Chauhan et al 2021 (29), av resultater fra to RCTer (Kapoor 2019 og Boyle 2012). Meta-analysen er også sitert i FHIs egnethetsvurdering fra 2021. <u>Systematiske oversikter og metodevurderinger – atopisk dermatitt</u> Når det gjelder atopisk dermatitt, identifiserte FHI i 2021 en svensk metodevurdering fra 2019 som undersøker effekt av laminær luftstrøm ved Airsonett (30). Metodevurderingen inkluderte to studier, Gore 2018 (uten kontrollgruppe, n=15) og Theodosiou 2018 (kasuistikk).
Metodevarsel	FHI utarbeidet i 2021 en egnethetsvurdering tilhørende det opprinnelige metodeforslaget (31). DMPs egnethetsvurdering 2026 er en oppdatering av FHIs fra 2021. DMP har ikke identifisert ytterligere metodevarsel som omhandler bruk av temperaturregulert laminær luftstrøm til behandling av alvorlig allergisk astma eller atopisk dermatitt.

5. Referanser

1. Binnie S. TLA-behandling med Airsonett Air4 for behandling av alvorlige allergiske sykdommer som alvorlig allergisk astma og atopisk dermatitt [Forslag ID2021_123]. Oslo: Nye metoder; 2026. Tilgjengelig fra: <https://www.nyemetoder.no/metoder/temperaturregulert-laminer-luftstrom/>
2. Nye metoder. ID2021_123 Temperaturregulert laminær luftstrøm (TLA-behandling) [nettdokument]. Oslo: Nye metoder [oppdatert 2026-01-13; lest 2026-02-17]. Tilgjengelig fra: <https://www.nyemetoder.no/metoder/temperaturregulert-laminer-luftstrom/>
3. National Institute for Health and Care Excellence. The Airsonett temperature-controlled laminar airflow device for persistent allergic asthma [nettdokument]. UK: National Institute for Health and Care Excellence; 2014. Medical Innovation Briefing (MIB8). Tilgjengelig fra: <https://www.nice.org.uk/advice/mib8>
4. Airsonett Air4 (510(k) Premarket Notification K130702) [Internet]. U.S. Food & Drug Administration. 2013. Tilgjengelig fra: <https://www.accessdata.fda.gov/scripts/cdrh/cfdocs/cfpmn/pmn.cfm?ID=K130702>
5. Airsonett. Airsonett® Air4: Pasientinformasjon: Effektiv behandling av allergiske sykdommer som astma og eksem. Ängelholm: Airsonett AB; 2023. Tilgjengelig fra: <https://airsonett.eu/airsonett-patient-brochures/>
6. Langhammer A. Astma. I: Jost P, red. Norsk Elektronisk Legehåndbok [Trondheim: Norsk Helseinformatikk AS [oppdatert 2025-12-17; lest 2026-02-13]. Tilgjengelig fra: <https://legehandboka.no/premium/handboken/kliniske-kapitler/lunger/tilstander-og-sykdommer/obstruktive-sykdommer/astma>
7. Husebø GR. T10.2.1 Astma. I: Norsk legemiddelhandbok [Oslo: Foreningen for utgivelse av Norsk legemiddelhandbok [oppdatert 2023-09-18; lest 2026-02-17]. Tilgjengelig fra: https://www.legemiddelhandboka.no/T10.2.1/Nedre_luftveissykdommer
8. Husebø GR. T10.2.2 Akutt astmaanfall. I: Norsk legemiddelhandbok [Oslo: Foreningen for utgivelse av Norsk legemiddelhandbok [oppdatert 2023-09-18; lest 2026-02-17]. Tilgjengelig fra: https://www.legemiddelhandboka.no/T10.2.2/Akutt_astmaanfall
9. Granum BB, Nystad W. Astma og allergi. I: Folkehelse rapporten [nettdokument]. Oslo: Folkehelseinstituttet [oppdatert 2022-07-01; lest 2026-02-17]. Tilgjengelig fra: <https://www.fhi.no/he/fr/folkehelse rapporten/ikke-smittsomme/astma-allergi/#forekomst-av-astma-og-allergi>
10. Aarli BB. T10.2.3 Alvorlig astma. I: Norsk legemiddelhandbok [Oslo: Foreningen for utgivelse av Norsk legemiddelhandbok [oppdatert 2025-08-25; lest 2026-02-17]. Tilgjengelig fra: https://www.legemiddelhandboka.no/T10.2.3/Alvorlig_astma
11. Øyane N. Atopisk eksem. I: Norsk elektronisk legehåndbok [nettdokument]. Trondheim: Norsk Helseinformatikk AS [oppdatert 2025-01-16; lest 2026-02-17]. Tilgjengelig fra: <https://legehandboka.no/premium/handboken/kliniske-kapitler/hud/tilstander-og-sykdommer/skjellende-hudlidelser/atopisk-eksem>
12. Miglavaca CB, Lazzarini R, Stein C, Escher GN, de Gaspari CN, Dos Santos HWG, et al. Prevalence of Atopic Dermatitis: A Systematic Review and Meta-Analysis. *Dermatitis* 2025;36(6):575-82. DOI: 10.1089/derm.2024.0165
13. Global Initiative for Asthma. Difficult-to-Treat & Severe Asthma in adolescent and adult patients: Diagnosis and Management. Fontana, WI: Global Initiative for Asthma; 2025. Tilgjengelig fra: <https://ginasthma.org/2025-gina-severe-asthma-guide/>
14. Läkemedelsverket. Atopisk dermatit: Behandlingsrekommendation juni 2023. Uppsala: Läkemedelsverket; 2023. Tilgjengelig fra: <https://www.lakemedelsverket.se/sv/behandling-och-forskrivning/behandlingsrekommendationer/sok-behandlingsrekommendationer/atopisk-dermatit>
15. T16.2.2 Atopisk eksem. I: Norsk legemiddelhandbok [Oslo: Foreningen for utgivelse av Norsk legemiddelhandbok [oppdatert 2026-01-26; lest 2026-02-17]. Tilgjengelig fra: https://www.legemiddelhandboka.no/T16.2.2/Atopisk_eksem
16. Airsonett. Clinical data [nettdokument]. Ängelholm: Airsonett AB [lest 2026-02-17]. Tilgjengelig fra: <https://airsonett.eu/clinical-data/>
17. Boyle RJ, Pedroletti C, Wickman M, Bjermer L, Valovirta E, Dahl R, et al. Nocturnal temperature controlled laminar airflow for treating atopic asthma: a randomised controlled trial. *Thorax* 2012;67(3):215-21. DOI: 10.1136/thoraxjnl-2011-200665
18. Kapoor M, Storrar W, Balls L, Brown TP, Mansur A, Hedley E, et al. Nocturnal temperature-controlled laminar airflow device for adults with severe allergic asthma: the LASER RCT. *Health Technol Assess* 2019;23(29):1-140. DOI: 10.3310/hta23290
19. Pedroletti C, Millinger E, Dahlen B, Soderman P, Zetterstrom O. Clinical effects of purified air administered to the breathing zone in allergic asthma: A double-blind randomized cross-over trial. *Respir Med* 2009;103(9):1313-9. DOI: 10.1016/j.rmed.2009.03.020
20. Gore C, Gore RB, Fontanella S, Haider S, Custovic A. Temperature-controlled laminar airflow (TLA) device in the treatment of children with severe atopic eczema: Open-label, proof-of-concept study. *Clin Exp Allergy* 2018;48(5):594-603. DOI: 10.1111/cea.13105
21. Wang C, Lo C, Kuo H. A nocturnal temperature controlled laminar flow device (TLA) maintains good control of severe allergic asthma (SAA) after withdrawal of Omalizumab therapy. *Eur Respir J* 2018;52(suppl. 62):PA1694. DOI: 10.1183/13993003.congress-2018.PA1694
22. National Institute for Health and Care Excellence. Asthma: diagnosis, monitoring and chronic asthma management (BTS, NICE, SIGN) [nettdokument]. UK: National Institute for Health and Care Excellence; 2024. NICE Guideline (NG245). Tilgjengelig fra: <https://www.nice.org.uk/guidance/ng245/>

23. National Institute for Health and Care Excellence. Atopic eczema in under 12s: diagnosis and management [nettdokument]. UK: National Institute for Health and Care Excellence; 2025. Clinical Guideline (CG57). Tilgjengelig fra: <https://www.nice.org.uk/guidance/cg57/>
24. Sundhedsstyrelsen. National klinisk retningslinje for non-farmakologisk behandling af astma hos børn og unge. København S: Sundhedsstyrelsen; 2018. Tilgjengelig fra: <https://www.sst.dk/udgivelser/2015/nkr-non-farmakologisk-behandling-af-astma-hos-boern-og-unge>
25. Socialstyrelsen. Nationella riktlinjer för vård vid astma och KOL: Stöd för styrning och ledning. Stockholm: Socialstyrelsen; 2020. Tilgjengelig fra: <https://www.socialstyrelsen.se/publikationer/nationella-riktlinjer-for-vard-vid-astma-och-kol-stod-for-styrning-och-ledning-2020-12-7135/>
26. Wollenberg A, Barbarot S, Bieber T, Christen-Zaech S, Deleuran M, Fink-Wagner A, et al. Consensus-based European guidelines for treatment of atopic eczema (atopic dermatitis) in adults and children: part I. J Eur Acad Dermatol Venereol 2018;32(5):657-82. DOI: 10.1111/jdv.14891
27. Sidbury R, Tom WL, Bergman JN, Cooper KD, Silverman RA, Berger TG, et al. Guidelines of care for the management of atopic dermatitis: Section 4. Prevention of disease flares and use of adjunctive therapies and approaches. J Am Acad Dermatol 2014;71(6):1218-33. DOI: 10.1016/j.jaad.2014.08.038
28. Sztaniszláv K, Westerdahl E, Ahlzén R, Nousios P. Temperaturreglerat laminärt luftflöde som tilläggsbehandling vid allergisk astma. Örebro: HTA-enheten, Camtö; 2020. HTA-rapport 2020:32. Tilgjengelig fra: <https://www.regionorebrolan.se/contentassets/dd4b989da339498194da3180e205cff1/rapporter-2020/2020.32-temperaturreglerat-laminart-luftflode-som-tillaggsbehandling-vid-allergisk-astma-.pdf>
29. Chauhan AJ, Brown TP, Storrar W, Bjermer L, Eriksson G, Radner F, et al. Effect of nocturnal Temperature-controlled Laminar Airflow on the reduction of severe exacerbations in patients with severe allergic asthma: a meta-analysis. Eur Clin Respir J 2021;8(1):1894658. DOI: 10.1080/20018525.2021.1894658
30. Tedroff KL, C. Airsonett vid svårt atopiskt eksem, Mini HTA. Stockholm: Metodrådet, Region Stockholm-Gotland; 2019. HTA 2019:50. Tilgjengelig fra: https://www.chis.regionstockholm.se/48fe6f/globalassets/verksamheter/chis/hta/rapporter/airsonett-vid-svart-atopiskt-eksem-hta-ytrande-2019_50.pdf
31. Folkehelseinstituttet. ID2021_123 Temperaturregulert laminær luftstrøm til behandling av allergisk sykdom. Oslo: MedNytt; 2021. Tilgjengelig fra: <https://www.mednytt.no/metodevarsler/2021/temperaturregulert-laminar-luftstrom-til-behandling-av-allergisk-sykdom/>

6. Versjonslogg

ID2021_123 Temperaturregulert laminær luftstrøm til behandling av allergisk sykdom

6.1 Dato	5.2 Endringer gjort i dokument
02.03.2026	Oppdatert egnethetsvurdering fra 2021
Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.	[Skrive hva som er gjort nytt]
Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.	[Skrive hva som er gjort nytt]

Beskrivelse: Kan skrive inn dato for hver endring i dokumentet.

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2021_123

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Konvensjonell astmabehandling er inhalerte kortikosteroider daglig, evt. i kombinasjon med hurtig/ langtidsvirkende beta2agonister (formeterol/LABA). Aktuell tilleggsbehandling er leukotrienantagonister, LAMA (antikolinergika) og biologiske medikamenter (anti IgE, anti L5, anti IL4/13, anti TSLP as.). Perorale kortikosteroider ved forverrelser. Komparator: ICS/LABA, med tilleggsbehandling angitt over.
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Behovet er evt. begrenset til pasienter med allergisk drevet alvorlig astma som ikke får effekt av dagens medikamentelle behandling. Hvis TLA er like effektiv og/ eller rimeligere enn biologisk behandling kan det være formålstjenlig, men sammenlignende studier ser ikke ut til å være gjort. Foreløpig synes dokumentasjonen ikke fullstendig tilstede for å erstatte dagens godkjente og tilgjengelige behandling. De fleste av studiene er gjort før biologisk behandling ble etablert internasjonalt. TLA vil vel kun brukes i pasientens eget hjem, og flere av studienes validitet i «real-life» kan det stilles spørsmål ved. I motsetning til

	biologiske medikamenter beskjedent (men noe) dokumentasjon på forverrelse av astma (da hos de mest symptomatiske) og reduksjon av behov for kortikosteroid-behandling.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Vanlige tall for andelen alvorlig astma er rundt 5% av totalantallet med astma, ikke 10-20%. At allergi er en sykdomsdriver hos 50% av voksne er usikkert, antakelig for høyt tall. Barnepopulasjonen skal jeg ikke uttale meg om.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Symptomreduksjonen ved TLA var i Thoraxartikkelen ikke signifikant hos voksne, og kun virksom (signifikant) ved høy grad av inflammasjon (NO > 45 ppb), som avgrenser populasjonen evt. aktuell for behandlingen ytterligere. • Boyle RJ, Pedroletti C, Wickman M, et al. Nocturnal temperature controlled laminar airflow for treating atopic asthma: a randomised controlled trial. Thorax. 2012;67(3):215-21
5. For metoder som ikke er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Nei

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Er i rådgivningsgruppen for Sykehusinnkjøp på området alvorlig astma/ biologiske medikamenter. Vært PI for biologiske medikamentstudier mot astma på avdelingen, men uten egen økonomisk vinning.

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	Haukeland universitetssjukehus
Avdeling	Lungeavdelingen

Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Sverre Lehmann Spes. i indremedisin og lungemedisin, direktør lungeavdelingen
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Innspill til Nye metoder fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2021_123

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Dagens etablerte beh. Er inhalasjonsmedisiner og antihistamin ved allergisk astma, evt omalizumab og biologisk behandling mot T2 høy astma, og steroidholdigie kremer mot allergisk dermatitt Disse er ofte utilstrekkelige, har bivirkninger , spes. kortikosteroider i inhalasjoner og kremer, og biologiske medisiner er invasive (injeksjoner), og kostbare. Ofte utilstrekkelig effekt, variabel compliance . Både barn, ungdom og voksne med helårsallergi, ofte atopisk triade, har ofte dårlig nattesøvn, uro, kløe og ledsagende konsentrasjonsproblemer på dagtid. Tross råd om å fjerne pelsdyr fra hjemmene, er det tidvis vanskelig gjennomførbart, ikke minst for barn med flere hjem, hvilket noen ganger medfører problemer med å tilbringe tid med begge foreldre.
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?	Ja. Det er et lav-terskel tilbud, gir økt sannsynlighet for god compliance, raskt mulig å evaluere om effekt. Som supplement til inhalasjonsbehandling, og et godt alternativ til biologisk behandling, som er invasivt, kostbart

Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Spesiet egnet for barn og unge med husstøvmidd- og dyrehårsallergi, bl.a. i hjem med dyrehår
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Se til Sverige; opptil 450 personer?
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Ingen bivirkninger
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Kun kjent med en leverandør av dette utstyret i Norge

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Ingen interessekonflikter. Har hatt flere pasienter som har brukt TLA-beh. med Airsonett Air4

7. Avsender av faglig innspill

Fagmedisinsk forening	Norsk Forening for Lungemedisin
Navn, stilling og arbeidsplass	Heidi C B Rolke, MD, PhD. Avtalespesialist i indremedisin og lungesykdommer, samt allergi
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Nye metoder: Innspill til metoder, oppdrag og beslutninger

Bruk dette skjemaet for å gi innspill til metoder i Nye metoder uansett hvor de befinner seg i prosessen. Skjemaet skal for eksempel brukes hvis du har innspill til en metode i en anmodning eller et forslag som skal behandles i Bestillerforum for nye metoder. Det skal også brukes for innspill til oppdrag som er gitt av Bestillerforum, og for innspill til beslutninger som er tatt.

Det er generelt ønskelig at innspill kommer inn så tidlig som mulig i prosessen, gjerne før metoden behandles i Bestillerforum.

Utfylt skjema sendes til Sekretariatet for Nye metoder; nyemetoder@helse-sorost.no. Merk e-posten med "innspill" og ID-nummer.

Merk: Punkt 1-3 og 11 skal fylles ut av alle. Øvrige punkter fylles ut avhengig av hva innspillet gjelder.

Jeg er klar over at skjemaet kan bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av): ☒
Har du informasjon du mener ikke kan offentliggjøres, ta kontakt med sekretariatet før innsending.

Jeg har fylt ut punkt 11 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av): ☒

1.Hvilken metode gjelder innspillet?	
ID-nummer*:	ID2021_123
Metodens navn:	Temperaturregulert laminær luftstrøm (TLA-behandling)

*ID-nummer finner du på metodesiden på nyemetoder.no og har formen ID2024_XXX.

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Frode Gallefoss
Eventuell organisasjonstilhørighet/arbeidsplass/firma	Lungeseksjonen, Sørlandet Sykehus Kristiansand
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	frode.gallefoss@sshf.no Mobil 90665717

3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) <i>Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.</i>
Temperaturkontrollert laminær luftstrøm (TLA) er en ikke-farmakologisk tilleggsbehandling ved allergisk astma. TLA (f.eks. Airsonett® Air4) filtrerer og kjøler luft som slippes ned over pasientens hode under søvn. Den avkjølte luften synker og fortrenger partikkel- og allergenrik luft fra den sonen som den sovende puster i. Dette reduserer eksponeringen for allergener nærmest 100% gjennom natten og kan dermed dempe allergisk betinget luftveisinflammasjon og bedre astmakontroll. TLA er en dokumentert, kostnadseffektiv og bivirkningsfri tilleggsbehandling som bør kunne prøves ut hos pasienter med alvorlig allergisk astma hvor annen etablert behandling ikke gir

nødvendig sykdomskontroll. TLA behandling støttes av svenske myndigheter (inkludert i Läkemedelsverkets behandlingsrekommendationer for astma hos barn og voksne (2023) og anbefalt i Socialstyrelsens og BLFA (svensk barneallergologisk forening) og harmonerer med det WHO støttede GINAs (Global Initiative for Asthma) prinsipper om individualisert behandling og reduksjon av allergeneksponering. Sverige og Storbritannia dekker TLA gjennom sine offentlige helsesystemer, og metoden fremstår som et relevant tiltak å vurdere også i Norge.

TLA bør vurderes av 'Nye Metoder' av minst 4 grunner:

1. Bedre kontroll hos pasienter med ukontrollert/alvorlig, persisterende allergisk astma. Pasienter med mangelfull kontroll til tross for høydose ICS, LABA, OCS og/eller biologiske legemidler er en gruppe med høy morbiditet og helseutgifter
2. Reduserte eksaserbasjoner og forbedret livskvalitet
Studier viser færre alvorlige eksaserbasjoner og bedre livskvalitet hos pasienter med mer symptomatisk og alvorlig allergisk astma
3. Kostnadseffektivitet
Økonomiske analyser fra Storbritannia viser at TLA kan være kostnadseffektivt – og i noen tilfeller kostnadsbesparende – sammenlignet med høykostnads farmakologiske behandlinger
4. Ingen farmakologiske bivirkninger
TLA er et ikke-invasivt, ikke-farmakologisk tiltak uten medikamentbivirkninger

Mer detaljert informasjon og innspill til PICO*

*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 å er relevant å måle/vurdere. PICO er viktig for planlegging og gjennomføring av en metodevurdering.

4. Kjenner du til om metoden er i bruk i Norge i dag?

Er metoden i bruk utenom kliniske studier i dag (kryss av hvis ja): ☒

Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk: 2022

Hvor er eventuelt metoden i bruk: Utprøving hos enkelte klinikker

5. Hvilken pasientgruppe i den norske spesialisthelsetjenesten er metoden aktuell for? (PICO)

Beskriv kortfattet: Pasienter med alvorlig allergisk astma og/eller atopisk dermatitt med luftbåren helårsallergi som ikke har symptomkontroll til tross for standardbehandling.

6. Er du kjent med behandlingsalternativer til denne metoden og hvordan disse fungerer for pasientgruppen i dag? (PICO)

Beskriv kortfattet: Det finnes ikke andre ikke-medikamentelle metoder som alternativ til TLA-behandling

7. Har du innspill til hva som vil være viktig for pasienter som er aktuelle for behandling med metoden? (PICO)

Hva kan oppfattes som en fordel for pasienter og brukere med denne metoden sammenlignet med aktuelle alternativer? Hvilke endepunkter/resultater av behandlingen er det aktuelt å måle? Beskriv kortfattet: TLA-behandling er evidensbasert og gir god effekt på viktige kliniske parametre hos nøye selekterte pasienter.

8. Spesielt for medisinsk utstyr (besvares av leverandør): CE-merking

Foreligger det CE-merking for bruksområdet som beskrives i metoden? I så fall angi type og tidspunkt: CE Class 1 – CE Class 1 MDR 2017/745.

9. Spesielt for legemidler (besvares av leverandør): Markedsføringstillatelse (MT)

Har legemiddelet MT for indikasjonen som omfattes av metoden? Angi i så fall tidspunkt eller ventet tidspunkt for MT: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

10. Andre kommentarer

Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv dine relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Beskriv kortfattet: Ingen økonomiske eller relasjonelle bindinger

Nye metoder: Innspill til metoder, oppdrag og beslutninger

Bruk dette skjemaet for å gi innspill til metoder i Nye metoder uansett hvor de befinner seg i prosessen. Skjemaet skal for eksempel brukes hvis du har innspill til en metode i en anmodning eller et forslag som skal behandles i Bestillerforum for nye metoder. Det skal også brukes for innspill til oppdrag som er gitt av Bestillerforum, og for innspill til beslutninger som er tatt.

Det er generelt ønskelig at innspill kommer inn så tidlig som mulig i prosessen, gjerne før metoden behandles i Bestillerforum.

Utfylt skjema sendes til Sekretariatet for Nye metoder; nyemetoder@helse-sorost.no. Merk e-posten med "innspill" og ID-nummer.

Merk: Punkt 1-3 og 11 skal fylles ut av alle. Øvrige punkter fylles ut avhengig av hva innspillet gjelder.

Jeg er klar over at skjemaet kan bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av): ☒
Har du informasjon du mener ikke kan offentliggjøres, ta kontakt med sekretariatet før innsending.

Jeg har fylt ut punkt 11 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av): ☒

1.Hvilken metode gjelder innspillet?	
ID-nummer*:	ID2021_123
Metodens navn:	Temperaturregulert laminær luftstrøm (TLA-behandling)

*ID-nummer finner du på metodesiden på nyemetoder.no og har formen ID2024_XXX.

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Heidi C B Rolke
Eventuell organisasjonstilhørighet/arbeidsplass/firma	Avtalespesialist Agder Lunge og Allergi Senter
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	hrolke@hotmail.com 911 38399

3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) <i>Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.</i>
Nyttig supplement til behandling av personer med sykdom innen atopisk triade. Spesielt nyttig hos barn og unge med allergisk astma/dermatitt/rinokonjunktivitt med økt reaktivitet overfor helårsallergener. Ofte vanskelig å sikre adekvat behandling og compliance (etterlevelse av medisiner). Spesielt barn og unge som får nattesøvn ødelagt av allergi overfor husstøvmidd og pelsdyr. Det er ofte problematisk å unngå eksponering for dyreallegener hos unge som bor i flere hjem og ikke selv kan unngå at det er pelsdyr i et av foreldrehjemmene. AirSonette er sett å bidra til renere luft og rolig søvn gjennom natten, er evidens-dokumentert å ha effekt og tatt inn i anbefalt behandlingsprogram for allergisk astma i Sverige. Er utprøvd av flere pasienter i min praksis med bedring av både allergisk astma og -dermatitt.

Mer detaljert informasjon og innspill til PICO*

*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 å er relevant å måle/vurdere. PICO er viktig for planlegging og gjennomføring av en metodevurdering.

4. Kjenner du til om metoden er i bruk i Norge i dag?

Er metoden i bruk utenom kliniske studier i dag (kryss av hvis ja): ☒

Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk: 2022

Hvor er eventuelt metoden i bruk: Utprøving hos utvalgte klinikker;formidlet til pasienter også fra min klinikk

5. Hvilken pasientgruppe i den norske spesialisthelsetjenesten er metoden aktuell for? (PICO)

Beskriv kortfattet: Pasienter med alvorlig allergisk astma eller atopisk dermatitt med luftbåren helårsallergi som ikke har kontroll til tross for standardbehandling

6. Er du kjent med behandlingsalternativer til denne metoden og hvordan disse fungerer for pasientgruppen i dag? (PICO)

Beskriv kortfattet: Det er ikke andre ikke-medikamentelle metoder som alternativ til TLA-behandling

7. Har du innspill til hva som vil være viktig for pasienter som er aktuelle for behandling med metoden? (PICO)

Hva kan oppfattes som en fordel for pasienter og brukere med denne metoden sammenlignet med aktuelle alternativer? Hvilke endepunkter/resultater av behandlingen er det aktuelt å måle? Beskriv kortfattet: TLA-behandling er evidensbasert og gir god effekt på viktige kliniske parametre.

8. Spesielt for medisinsk utstyr (besvares av leverandør): CE-merking

Foreligger det CE-merking for bruksområdet som beskrives i metoden? I så fall angi type og tidspunkt: CE Class 1 – CE Class 1 MDR 2017/745.

9. Spesielt for legemidler (besvares av leverandør): Markedsføringstillatelse (MT)

Har legemiddelet MT for indikasjonen som omfattes av metoden? Angi i så fall tidspunkt eller ventet tidspunkt for MT: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

10. Andre kommentarer

Enkelte av disse pasienter har behov for biologiske medisiner for å stabilisere allergisk astma el. T2høy astma og dermatitt; de må i så fall ha regelmessige injeksjoner (hver 2./4./8.uke) på ubestemt tid, som er både meget kostbart og innebærer invasiv behandling ifa regelmessige injeksjoner. Dersom en del av disse kan unngå injeksjoner ved å benytte Airsonette behandling i stedet, vil det bidra til økt livskvalitet(QoL) og redusere behandlingskostnader.

11. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv dine relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Beskriv kortfattet: U.t. har fått tilgang til å la «egne» pasienter prøve ut ovennevnte utstyr kostnadsfritt i 6 måneders periode

Nye metoder: Innspill til metoder, oppdrag og beslutninger

Bruk dette skjemaet for å gi innspill til metoder i Nye metoder uansett hvor de befinner seg i prosessen. Skjemaet skal for eksempel brukes hvis du har innspill til en metode i en anmodning eller et forslag som skal behandles i Bestillerforum for nye metoder. Det skal også brukes for innspill til oppdrag som er gitt av Bestillerforum, og for innspill til beslutninger som er tatt.

Det er generelt ønskelig at innspill kommer inn så tidlig som mulig i prosessen, gjerne før metoden behandles i Bestillerforum.

Utfylt skjema sendes til Sekretariatet for Nye metoder; nyemetoder@helse-sorost.no. Merk e-posten med "innspill" og ID-nummer.

Merk: Punkt 1-3 og 11 skal fylles ut av alle. Øvrige punkter fylles ut avhengig av hva innspillet gjelder.

Jeg er klar over at skjemaet kan bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av): ☒ **X**
Har du informasjon du mener ikke kan offentliggjøres, ta kontakt med sekretariatet før innsending.

Jeg har fylt ut punkt 11 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av): ☒ **X**

1.Hvilken metode gjelder innspillet?	
ID-nummer*:	ID2021_123
Metodens navn:	Temperaturregulert laminær luftstrøm (TLA-behandling)

*ID-nummer finner du på metodesiden på nyemetoder.no og har formen ID2024_XXX.

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Duc Hoa Nguyen
Eventuell organisasjon/stilhørighet/arbeidsplass/firma	Lungeklinikken
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	Duc.hoa.nguyen@gmail.com , 91629657

3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) <i>Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.</i>
Vårt ønske er at det settes i gang en nasjonal metodevurdering av TLA-metoden

Mer detaljert informasjon og innspill til PICO*

*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 tiltaket er naturlig å sammenligne med, og hvilke utfall/endepunkter det å er relevant å måle/vurdere. PICO er viktig for planlegging og gjennomføring av en metodevurdering.

4. Kjenner du tilom metoden er i bruk i Norge i dag?

Ermetoden i brukutenom kliniske studier i dag (kryss av hvis ja): ☒

Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk:2022

Hvor er eventuelt metoden i bruk:Utprøving hos utvalgte klinikker

5. Hvilken pasientgruppe i den norske spesialisthelsetjenesten er metoden aktuell for? (PICO)

Beskriv kortfattet:Pasienter med alvorlig allergisk astma eller atopisk dermatitt med luftbåren helårsallergi som ikke har kontroll til tross for standardbehandling.

6. Er du kjent med behandlingsalternativer til denne metoden og hvordan disse fungerer for pasientgruppen i dag? (PICO)

Beskriv kortfattet: Det er ikke andre ikke-medikamentelle metoder som alternativ til TLA-behandling

7. Har du innspill til hva som vil være viktig for pasienter som er aktuelle for behandling med metoden? (PICQ)

Hva kan oppfattes som en fordel for pasienter og brukere med denne metoden sammenlignet med aktuelle alternativer? Hvilke endepunkter/resultater av behandlingen er det aktuelt å måle? Beskriv kortfattet: TLA-behandling er evidensbasert og gir god effekt på viktige kliniske parametre.

8. Spesielt for medisinsk utstyr (besvares av leverandør): CE-merking

Foreligger det CE-merking for bruksområdet som beskrives i metoden? I så fall angi type og tidspunkt:CE Class 1 – CE Class 1 MDR 2017/745.

--

9. Spesielt for legemidler (besvares av leverandør): Markedsføringstillatelse (MT)

Har legemiddelet MT for indikasjonen som omfattes av metoden? Angi i så fall tidspunkt eller ventet tidspunkt for MT:Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

10. Andre kommentarer

Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv dine relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Beskriv kortfattet: Ingen

Notat til Bestillerforum for nye Metoder

ID2025_019 Kunstig intelligens (KI)-basert analyse av video- og lydopptak av epileptiske anfall (Nelli®)

Direktoratet for medisinske produkter (DMP) og prosjektgruppen for oppdrag ID2026_019
KI-basert analyse av video- og lydopptak av epileptiske anfall ønsker avklaring angående
videre løp for oppdraget.

DMP fikk 28.04.2025 oppdrag om metodevurdering med helseøkonomisk analyse og tilhørende prisnotat basert på innsendt dokumentasjon fra produsenten

Et oppstartsmøte (Pre-submission meeting) med firma (Neuro Event Labs, produsenten av Nelli®) ble avholdt **26. juni**. DMP presenterte systemet, oppdraget, prosessen og tilbudt veiledning angående forberedelse av dokumentasjon. Firmaet var veldig positive til å levere dokumentasjon ila. høsten. DMP har vært i jevnlig kontakt med produsenten og det ble avholdt et nytt møte den **18.november**, da firmaet bekreftet at de skulle levere dokumentasjon til metodevurderingen. Senest i en epost **26.januar** 2026 var de positive til at de kunne levere dokumentasjon innen den foreslåtte fristen 24. februar.

Mulige veier frem

- 1) Avbestilling av oppdraget
- 2) DMP utfører metodevurdering uten innsendt dokumentasjon, basert på egen kunnskapsoppsummering med en forenklet helseøkonomisk analyse

Saksfremlegg til Bestillerforum for nye metoder

Til:	Bestillerforum Nye metoder
Fra:	Trude Basso, fagdirektør HMN
Dato:	02.03.2026
Saksbehandler:	Ingvild Klevan, HMN

Type sak (sett kryss)					
Utkvittering/avklaringssak:		Utsendt til informasjon:		Styringsgruppemøte:	
Temasak:		Unntatt offentlighet: (hvis ja, angi §)			

Prosess (saksnr og dato)	
Tidligere behandlet i bestillerforum:	18.11.2019 12.06.2024 26.08.2024

Sak 047-2026 Forespørsel om endring av oppdrag for ID2019_099

Hva saken handler om i korte trekk

Saken omhandler spørsmål om endret oppdrag for ID2019_099: *Apremilast (Otezla) - Indikasjon II Behandling av voksne med sår i munnen assosiert med Behçets sykdom (BD), som er aktuelle for systemisk behandling.*

Bakgrunn for saken

Oppdrag for sak ID2019_099 ble bestilt av Bestillerforum 18.11.2019:

Beslutning: Hurtig metodevurdering gjennomføres ved Statens legemiddelverk for apremilast (Otezla) til behandling av sår i munnhulen ved Behçets syndrom.

Saken har i etterkant vært oppe til diskusjon i Bestillerforum med spørsmål om avbestilling av oppdrag på bakgrunn av ikke mottatt dokumentasjon fra firma.

Det er nå mottatt gruppeunntakssøknad fra St.Olavs hospital HF, og det bes om en vurdering fra Bestillerforum om det er hensiktsmessig å endre oppdraget for å få tatt saken gjennom ordinær saksgang til beslutning.

Gruppeunntakssøknaden blir behandlet i interregionalt fagdirektørmøte samme dag som bestillerforum 16.03.26.

Saksfremstilling

I 2025 var de totale salget av legemidlet Otezla 823 550,- Dette tilsvarer 93 pakninger. Av dette er 52 pakninger forskrevet på H-resept med tilhørende ICD-10 -kode "Behçets sykdom". Dette tilsvarer et beløp på 461 026,-.

Utlevering på H-resept er anført følgende sykehus/HF: Helse Bergen HF, Akerhus universitetssykehus HF, Diakonhjemmet Sykehus AS, St.Olavs hospital og Sykehuset i Vestfold HF.

Det er bedt om en vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter og Sykehusinnkjøp HF i forbindelse med mottatt gruppeunntakssøknad, se under.

Fagmiljøet bak gruppeunntakssøknaden foreslår følgende kriterier:

- Pasient skal ha forsøkt eller ha kontraindikasjon for glukokortikoider, kolkisin, azatioprin og TNF-alfa-hemmer.
- Behandlingen evalueres hver 6 mnd. Redusert dose og/eller intermitterende behandling skal vurderes.

Spesielle forhold interregionalt fagdirektørmøte bør være kjent med

DMP har opplyst følgende:

- Firma kommer ikke til å levere dokumentasjon til denne saken, og den ble av den grunn vurdert avbestilt i 2024.
- Otezla (apremilast) fikk markedsføringstillatelse første gang i 2015. Det finnes flere generiske produkter som har markedsføringstillatelse, men disse er foreløpig ikke markedsført i Norge. Otezla og generika er vurdert som byttbare.

SI har opplyst følgende:

- Apremilast er ikke innført for noen indikasjon, og det er ingen avtalepris per i dag
- Kostnadene som er estimert i søknaden er relativt høye
- Ved gruppeunntak er det ikke aktuelt med prisforhandlinger

Prosess

Gruppeunntakssøknaden er behandlet i lokal komite i STO og regionalt i HMN, og er sendt videre til behandling i interregionalt fagdirektørmøte 16/3. Det sendes på bakgrunn av totalvurderingen samtidig forespørsel om endret oppdrag til Bestillerforum.

Vurdering

Basert på tilbakemeldinger fra DMP og Sykehusinnkjøp anbefales det at saken tas til Bestillerforum for endring av oppdrag. Det foreslås at DMP utarbeider et notat basert på tilgjengelig, offentlig informasjon og at Sykehusinnkjøp utarbeider et prisnotat, slik at saken kan tas til beslutning i ordinær prosess. Det bes om at saken endrer tittel til å omhandle virkestoffet apremilast, det vil si ikke være knyttet til et spesifikt produkt.

Omdømme

Ingen kjente

Forslag til konklusjon

- Bestillerforum endrer oppdraget for ID2019_099 til følgende: Et notat som oppsummerer offentlig tilgjengelig informasjon for bruk av apremilast ved Bechets sykdom utarbeides av DMP. Et prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.

Saksnummer: 048-26

Til:	Bestillerforum for nye metoder
Fra:	Sekretariatet for Nye metoder, Direktoratet for medisinske produkter og Sykehusinnkjøp HF
Dato:	06.03.2026

Anmodninger der dokumentasjon ikke er levert av leverandør. ID2024_082.
Forslag om avbestilling av oppdrag. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter, Sykehusinnkjøp HF og sekretariatet for Nye metoder.

Hva saken omhandler

Beslutningsforum besluttet i sak 051-23 at det bør ikke gå mer enn ni måneder fra leverandøren sender anmodning om vurdering til dokumentasjonspakke skal leveres til Direktoratet for medisinske produkter. 12 måneder etter anmodningstidspunktet avbestilles oppdraget dersom det ikke er levert dokumentasjon iht. bestilling, og det må evt. sendes ny anmodning.

Tabellen under viser oppdrag der det har gått over 12 måneder siden anmodning om vurdering ble sendt inn og hvor det ikke er mottatt dokumentasjon fra leverandør:

ID-nr.	Metodenavn	Oppdrag bestilt	Kommentar
ID2024_082	Akalabrutinib (Calquence) i kombinasjon med bendamustin og rituksimab er indisert til behandling av voksne pasienter med tidligere ubehandlet mantelcellelymfom som ikke er kvalifiserte for autolog stamcelletransplantasjon.	Metodevurdering med en helseøkonomisk analyse, basert på innsendt dokumentasjon, med tilhørende prisnotat.	Leverandør anmodet om vurdering 25.11.2024. I anmodningen oppga leverandøren at forventet innlevering av dokumentasjon ville være i Q2/Q3 2025. I november 2025 sendte leverandøren inn et innspill med forslag om å endre oppdraget til et prisnotat / en oppsummering av effekt og sikkerhet, uten full metodevurdering. Bestillerforum besluttet å opprettholde det opprinnelige oppdraget. Direktoratet for medisinsk produkter opplyser at leverandøren har estimert innlevering av dokumentasjon i Q2/Q3 2026, men kan per nå ikke gi en mer presis tidsangivelse for når dokumentasjonen faktisk vil foreligge.

Forslag til beslutning for oppdrag i saken:

Leverandør har ikke levert dokumentasjon innenfor 12 måneder etter anmodningstidspunkt, og oppdraget er derfor avbestilt.

Leverandørene kan sende inn en ny anmodning dersom de ønsker en vurdering i Nye metoder.

Bestillerforum minner om at nye virkestoff, styrker, formuleringer og indikasjonsutvidelser ikke skal forskrives i spesialisthelsetjenesten før det er fattet en nasjonal beslutning om innføring.

Beslutning

Bestillerforum for nye metoder avbestiller oppdraget.

Saksnummer: 050-26

Til:	Bestillerforum for nye metoder
Fra:	Sekretariatet for Nye metoder og Direktoratet for medisinske produkter
Dato:	06.03.2026

Videreutvikling: Status til Bestillerforum om HTAR-arbeidet for legemidler i Nye metoder. Til orientering.**Hva saken omhandler i korte trekk**

Health Technology Assessment Regulation (HTAR) er en EU-forordning for europeisk samarbeid om metodevurderinger. En forordning vil si en bindende rettsakt eller lov. Fra 12. januar 2025 deltar Norge i felles europeiske metodevurderinger av utvalgte legemidler og medisinsk utstyr. Fra 2025 vurderes nye kreftlegemidler og avanserte terapier (ATMP) i HTAR. Etter hvert vil dette utvides til flere sykdomsområder, og fra 2026 utvides HTAR til å gjelde visse typer medisinsk utstyr.

Denne saken er en orientering om det som er gjort og planlegges av tilpasninger i Nye metoder på området legemidler i tilknytning til HTAR. Det er også lagt ut oppdatert status på nyemetoder.no.

Bakgrunn for saken

Hensikten med forordningen for europeisk samarbeid om metodevurderinger er:

- Etablere plattform, rammeverk og prosedyrer for samarbeid om metodevurderinger på EU-nivå
- Redusere duplisering av arbeid internasjonalt
- Utarbeide felles metodevurderinger på EU-nivå, avgrenset til relativ effekt og sikkerhet

Forordningen skal ikke påvirke:

- Beslutninger knyttet til innføring av metoder nasjonalt
- Prissetting, refusjonsavgjørelser, helsetjenester eller ressursallokering på nasjonalt nivå

Nasjonale prosesser må tilpasses prosedyrene i det europeiske HTAR-samarbeidet. Det ble derfor etablert en nasjonal arbeidsgruppe i november 2023 med representanter fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP), RHF-ene, to brukerrepresentanter, Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet (DSA) og sekretariatet for Nye metoder.

Status for arbeidet med tilpasninger til prosessene i Nye metoder

Nye metoder må vurdere hvilke tilpasninger det er behov for i etablerte prosesser og dokumenter for at systemet skal kunne dra mest mulig nytte av HTAR-samarbeidet og de felleseuropeiske metodevurderingene (Joint Clinical Assessments, JCA).

Arbeidsgruppen foreslo i 2024 endringer i prosedyrer, tidslinjer og involvering av brukere og fagpersoner. Arbeidet ble presentert i Nye metoders heldagsmøte 14. juni 2024. Gruppen har ikke vært aktiv i 2025, men ble reetablert i januar 2026 med de samme aktørene i tillegg til representant fra Sykehusinnkjøp HF.

Det er etablert en rutine for innhenting av innspill fra norske fagpersoner til norsk PICO, som innspill til felles europeisk PICO. Dette skal sikre relevansen av Joint Clinical Assessments (JCA) i norsk kontekst. Til nå er det innhentet innspill til norsk PICO i 8 av de 14 sakene. Erfaringene fra dette er at korte tidsfrister og konfidensialitet kan være utfordrende, men at det er nyttig og viktig å innhente innspill fra norske fagpersoner. Det er foreløpig ikke etablert en involvering av pasient- og brukerorganisasjoner i denne prosessen, dette må avklares nærmere.

Leverandører av legemidler som er omfattet av HTAR må fortsatt anmode om vurdering i Norge. Det er startet et arbeid med å se på prosessen fra anmodninger kommer inn til Nye metoder og frem til Bestillerforum for metoder som er omfattet av HTAR. I disse sakene vil det utarbeides en felles europeisk metodevurdering som tar for seg relativ effekt og sikkerhet, mens vurdering av helseøkonomi og beslutning om innføring fortsatt vil være opp til hvert enkelt land.

En anmodning kan i dag sendes inn tidligst ved dag 120 i EMA-prosessen, og en JCA-rapport skal være ferdig senest 30 dager etter at markedsføringstillatelse (MT) er utstedt av EMA. Arbeidsgruppen har diskutert når det er hensiktsmessig å behandle anmodninger i Bestillerforum og gi et oppdrag, ut fra hvor langt vurderingen har kommet i HTAR og hva man vet om den europeiske metodevurderingen (JCA).

De første anmodningene vil fungere som piloter, og prosessen vil tilpasses underveis basert på erfaringer. Den første anmodningen av et legemiddel som skal gjennomgå en JCA har kommet, og skal etter planen behandles i Bestillerforum i april.

DMP vil tilby tidlig dialog med leverandører nasjonalt for avklaringer av norsk PICO og formøter for å nærmere avklaring av tilleggsdokumentasjon i en nasjonal metodevurdering.

Status for arbeidet med felles europeiske metodevurderinger på legemidler

Ordningen med felles metodevurderinger skal innføres gradvis. Fra 2025 omfatter ordningen legemidler med nye virkestoff for behandling av kreft og avanserte terapier. Per mars 2026 er det startet opp av Joint Clinical Assessments (JCA) i 14 saker. DMP gir innspill til relevant norsk PICO i den felles europeiske oppdragsrammen (PICO) for alle sakene. I en del av sakene har kliniske eksperter fra RHF-ene også vært involvert i å definere nasjonal PICO. De første JCA-rapportene forventes ferdig i mai-juni i år. DMP er involvert i kvalitetssikring av rapportene.

Norge har tatt på seg ansvar som utrederinstans for en JCA som startet i 2025. I 2026 planlegger DMP å ta på seg to nye utrederoppdrag for legemidler på europeisk nivå.

Saksnummer: 051-26

Eventuelt