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):** [x]
* Forslagsstiller har fylt ut punkt 18 nedenfor: «Interesser og eventuelle
 interessekonflikter» (kryss av): [x]
* Dette skjemaet brukes for å sende inn forslag om metodevurdering på nasjonalt nivå i Nye metoder. Skjemaet gjelder ikke forslag om forskningsprosjekter. En metodevurdering er en type kunnskapsoppsummering, og for at en slik skal kunne utføres, behøves dokumentasjon eksempelvis fra gjennomførte kliniske studier. Manglende dokumentasjonsgrunnlag kan være en av årsakene til at Bestillerforum RHF ikke gir oppdrag om en metodevurdering.
* Hvis forslaget gjelder et medisinsk utstyr, er forslagsstiller kjent med dokumentet [Veiledende kriterier for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder](https://nyemetoder.no/Documents/Om%20systemet/Veiledende%20kriterier%20for%20medisinsk%20utstyr%20i%20Nye%20metoder%20%2829.06.17%29.pdf) (link) (kryss av): [ ]

## Opplysninger om forslagsstiller

|  |  |
| --- | --- |
| Navn/kontaktperson | Bernd Müller |
| Eventuell organisasjon/arbeidsplass | Seksjon for nevrologi, Molde sjukehus |
| Kontaktinformasjon (e-post / telefon) | Bernd.muller@helse-mr.no |
| Dato for innsending av forslag | 19.04.20 |

**Opplysninger om metoden som foreslås**

1. Forslagstillers tittel på forslaget:\*
\*Denne kan endres under den videre behandlingen i systemet for Nye metoder:

Vurdering av indikasjon for behandling med Myozyme ved Pompes sykdom

1. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Enzymsubstitusjonsterapi

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

Meget kostbar behandling som ikke er formelt metodevurdert

1. 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.\*

Kostnadseffektivitet målt mot mulig, men dog begrenset, symptomatisk effekt.

Likebehandlingsspørsmålet (allerede i dag mottar flere pasienter behandling).

\*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.

1. 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?)

Flere pasienter i Norge får i dag behandling med medikamentet basert på at det frem til 2019 kunne søkes om individuell refusjon. Mangler metodevurdering. Dette er et eksempel på at det har vært etablert et behandlingstilbud som ikke er metodevurdert.

1. Forslaget gjelder: Ja Nei

En metode som er aktuell for spesialisthelsetjenesten [x]  [ ]

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 [x]  [ ]

 Hvis ja – metode er tatt i bruk innen forskning/utprøving [ ]  [ ]

Revurdering/utfasing av en metode som er tatt i bruk i klinisk praksis [x]  [ ]

Eventuelle kommentarer til bruken av metoden:

Et terapeutisk prinsipp som i prinsippet kan være fornuftig, men med gjennomgående begrenset effekt og til en pris som målt i antall QALY langt overstiger «vanlig akseptert» ramme.

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

Legemiddel [x]

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 [x]

Annet (beskriv) [ ]

Hjemmebehandling eller dagbehandling

1. Finansieringsansvar Ja Nei

Har spesialisthelsetjenesten et finansieringsansvar for metoden i dag? [x]  [ ]
Vil spesialisthelsetjenesten kunne få finansieringsansvar for metoden? [ ]  [ ]

Eventuelle kommentarer:

Overført til H-reseptordningen, tidligere basert på individuell refusjon.

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

 [ ]  [x]
Angi eventuelt hvilke og kommenter eventuelt behov for endringer:

Omtalt i NevroNEL som er et «dugnadsbasert» oppslagsverk.

1. Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)? Ja Nei
 [ ]  [x]
Angi eventuelt type strålekilde, utstyr og stråleeksponering:
2. Hvilke fagområde(r) gjelder metoden, og hvilke pasienter berøres? (Får metoden evt. også konsekvenser for andre grupper (som personell, pårørende?)

Nevrologi/ pediatri

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

Klinisk effekt [x]

Sikkerhet/bivirkninger [x]

Kostnader/ressursbruk [x]

Kostnadseffektivitet [x]

Organisatoriske konsekvenser [x]

Etiske [x]

Juridiske [x]

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

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

Svært varierende, men som regel kronisk progressiv sykdom med mulig redusert levetid.

Forventet effekt

«Bremsemedisin», interindividuell variasjon, antageligvis avhengig av tidspunkt for oppstart. Dokumentasjon innhentes fra produsenten/ uavhengig hold.

Sikkerhet og bivirkninger

Antageligvis få bivirkninger, se over.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Under 10

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Oppstart av behandling innebærer aksept på en utgift på opptil flere hundre millioner kroner per pasient i et livsløpsperspektiv.

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

Innhentes fra produsent/ uavhengig hold.

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

Genzyme

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

Foreligger

1. Fritekstrubrikk (Supplerende relevant informasjon, inntil 300 ord.)
2. Interesser og eventuelle interessekonflikter
Beskriv forslagstillers relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som foreslås metodevurdert. (Eksempler: Forslagsstiller har økonomiske interesser i saken. Forslagsstiller har eller har hatt oppdrag i forbindelse med, eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.)

Forslagsstiller er linjeleder i Helse Møre og Romsdal HF