

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*:	ID2024_046
Metodens navn:	Dupilumab (Dupixent) Til voksne som tilleggsvedlikeholdsbehandling ved ukontrollert kronisk obstruktiv lungesykdom (KOLS)

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Marthe Gundersen
Eventuell organisasjonstilhørighet/arbeidsplass/firma	LHL, Landsforeningen for hjerte, lunge og hjerneslag.
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	Marthe.gundersen@lhl.no , 91722586

3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) <i>Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.</i>
LHL ønsker å fremheve at dette gjelder en liten, men svært belastet pasientgruppe med alvorlig og vedvarende ukontrollert kols til tross for optimalisert standardbehandling. Disse pasientene har betydelig sykdomsbyrde, preget av hyppige eksaserbasjoner, redusert funksjonsnivå og økt risiko for sykehusinnleggelse og død.

Eksaserbasjoner er sentrale i sykdomsforløpet og er assosiert med akselerert funksjonstap og økt mortalitet. Mange pasienter gjenvinner ikke tidligere funksjonsnivå etter en forverring, noe som bidrar til en gradvis forverring av sykdommen.

For denne pasientgruppen er behandlingsmulighetene i dag svært begrensede etter at tilgjengelig behandling er forsøkt. Dette representerer et tydelig udekket medisinsk behov.

LHL mener det er viktig at beslutningsgrunnlaget i denne saken i tilstrekkelig grad reflekterer både alvorlighetsgrad, konsekvensene av eksaserbasjoner og mangelen på alternative behandlingsmuligheter. Samtidig er det viktig med en målrettet og avgrenset bruk, med tydelige kriterier for oppstart og evaluering av behandling.

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: [Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.](#)

Hvor er eventuelt metoden i bruk: [Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.](#)

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

Beskriv kortfattet: [Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.](#)

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

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

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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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:Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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: Ja

10. Andre kommentarer

LHL ønsker å utdype pasientperspektivet for den aktuelle pasientgruppen med alvorlig og vedvarende ukontrollert kols til tross for optimalisert standardbehandling.

Denne pasientgruppen representerer en liten, men klinisk svært belastet gruppe med betydelig sykdomsbyrde. Pasientene lever med vedvarende symptomer, redusert fysisk kapasitet og hyppige eksaserbasjoner, som samlet gir en betydelig reduksjon i livskvalitet og funksjonsnivå. Mange har også samtidig annen sykdom, noe som ytterligere forsterker den samlede belastningen.

Dagens behandling av kols er trinnvis og består av langtidsvirkende bronkodilatorerende legemidler og inhalasjonssteroider hos utvalgte pasienter. Ikke-medikamentelle tiltak som lungerehabilitering, røykeslutt og tett oppfølging er sentrale tilleggstiltak. For pasienter som fortsatt har hyppige eksaserbasjoner til tross for slik optimalisert

behandling, er det i dag svært begrensede videre medikamntelle behandlingsalternativer.

Eksaserbasjoner er sentrale hendelser i sykdomsforløpet ved kols. De er ikke bare forbigående forverring, men er assosiert med akselerert fall i lungefunksjon, økt risiko for nye forverring, hyppigere sykehusinnleggelse og økt dødelighet. For den enkelte pasient innebærer dette episoder med akutt forverret dyspné, betydelig funksjonssvikt og ofte behov for behandling med systemiske legemidler eller innleggelse i sykehus. Det er godt dokumentert at mange pasienter ikke gjenviner tidligere funksjonsnivå etter en eksaserbasjon. Sykdomsutviklingen får dermed et trinnvis forverrende forløp, hvor hver forverring kan medføre varig helsetap.

For denne pasientgruppen er behandlingsmulighetene i dag svært begrensede etter at standardbehandling er optimalisert. Dette innebærer at det foreligger et tydelig udekket medisinsk behov hos pasienter som fortsatt har hyppige eksaserbasjoner og betydelig symptombyrde til tross for eksisterende behandling.

I denne sammenhengen er reduksjon i antall eksaserbasjoner det mest klinisk relevante behandlingsmålet. Dette gjelder særlig moderate og alvorlige eksaserbasjoner som krever systemisk behandling eller fører til sykehusinnleggelse. Slike hendelser har stor betydning for sykdomsprogresjon, prognose og samlet helsetap. Selv moderate reduksjoner i eksaserbasjonsfrekvens kan ha stor betydning for pasienter som allerede har gjentatte forverring, fordi hver enkelt hendelse kan innebære betydelig og til dels varig funksjonstap. Reduksjon i alvorlige eksaserbasjoner og sykehusinnleggelse er særlig viktig, da disse hendelsene er nært knyttet til økt dødelighet og risiko for varig funksjonstap. I tillegg vil forbedringer i symptomer som dyspné og redusert anstrengelsestoleranse kunne gi klinisk meningsfulle forbedringer i daglig funksjon og selvstendighet.

LHL vil samtidig understreke at tradisjonelle mål som lungefunksjon alene i begrenset grad reflekterer pasientenes faktiske sykdomsbelastning. For pasientene er det avgjørende å oppleve færre forverring, bedre funksjon i hverdagen og større stabilitet i sykdomsforløpet. Endringer i helserelatert livskvalitet og funksjonsnivå er derfor sentrale utfallsmål.

Samtidig er det viktig å anerkjenne usikkerheten som beskrives i metodevurderingen, særlig knyttet til langtidseffekt og effekt på alvorlige eksaserbasjoner. Etter LHLs vurdering understreker dette behovet for en tydelig avgrensning av pasientgruppen, samt klare kriterier for oppstart og systematisk evaluering av behandlingsrespons i klinisk praksis.

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: LHL er en uavhengig pasientorganisasjon. LHL har hatt samarbeid med legemiddelindustrien, herunder Sanofi, blant annet i forbindelse med utvikling av pasientinformasjon. Dette samarbeidet har vært av ikke-kommersiell karakter. LHL har ingen økonomiske bindinger knyttet til det aktuelle legemiddelet eller til denne saken. Innspillet er utarbeidet på selvstendig grunnlag med utgangspunkt i pasientenes behov og offentlig tilgjengelig dokumentasjon.