

	<p>I norsk klinisk praksis behandles akutte episoder med plasmautskiftning og immunsuppresjon. Kaplasizumab er aktuell som tilleggsbehandling til standardbehandling.</p> <p>En metodevurdering av kaplasizumab ble ferdigstilt av DMP (tidligere Legemiddelverket) 07.04.2020 (6). Dokumentasjonsgrunnlaget for metodevurderingen var i hovedsak fra den pivotale studien HERCULES som ble avsluttet i 2017 (7). I metodevurderingen ble det påpekt at det var en betydelig grad av usikkerhet i den helseøkonomiske analysen. DMP hadde ikke tilgang på norske kliniske eksperter i metodevurderingen, og det var derfor utfordrende å blant annet validere modelleringen av dagens standardbehandling og å vurdere i hvilken grad studiepopulasjonen i HERCULES er representativ for den aktuelle norske pasientpopulasjonen (6).</p> <p>Beslutningsforum behandlet saken 25.05.2020 og besluttet at kaplasizumab ikke innføres grunnet «betydelig usikkerhet knyttet til størrelsen på den dokumenterte effekt, og prisen er alt for høy» (8).</p> <p>Internasjonale retningslinjer anbefaler kaplasizumab ved akutte episoder av aTTP (9). Forslagsstiller opplyser at kaplasizumab brukes sporadisk i Norge ved refraktær sykdom etter individuell godkjenning.</p>
<p>Begrunnelse i forslag</p>	<p>Forslagsstiller begrunner behovet for revurdering med at aTTP er en akutt, sjelden og svært alvorlig sykdom, og at standardbehandlingen svikter hos ca. 10 % av pasientene i Norge (omtrent én pasient per år). Dette er forbundet med svært dårlig prognose og høy risiko for mortalitet. Det anføres at nyere studier tilsier at kaplasizumab kan redusere mortalitet, refraktær sykdom og ressursbruk, og at kostnad-nytte derfor bør beregnes på nytt. Forslagsstiller påpeker at mortaliteten uten kaplasizumab kan være estimert for lavt i den opprinnelige metodevurderingen. Totalt antall pasienter i Norge som kaplasizumab er aktuell for er anslått til ca. 15-30 pasienter per år.</p>
<p>Preliminær PICO¹</p>	<p>P: I tråd med godkjent indikasjon. Voksne og ungdom ≥ 12 år med kroppsvekt ≥ 40 kg som opplever en episode av aTTP.</p> <p>I: Kaplasizumab brukt som tilleggsbehandling i tråd med anbefalt dosering i preparatomtale.</p> <p>C: Dagens standardbehandling (plasmautskiftning og immunsuppresjon)</p> <p>O: Overlevelse. Andel med refraktær sykdom. Andel med oppbluss av sykdommen. Antall døgn på intensivhet. Antall døgn sykehusinnleggelse. Antall dager med plasmautskiftning. Bivirkninger. Helserelatert livskvalitet. Ressursbruk.</p>
<p>Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter</p>	<p>DMP har gjennomført et enkelt litteratursøk og finner at det siden den forrige metodevurderingen i 2020 er publisert resultater fra</p>

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

	<p>flere observasjonsstudier om kaplasizumab, inkludert studier som belyser mortalitet, forekomst av refraktær sykdom og eksaserbasjoner, behov for plasmautskiftning og sikkerhet. Ved en eventuell revurdering vil det være nødvendig å gjennomføre et systematisk litteratursøk.</p> <p>En viktig årsak til usikkerheten i forrige metodevurdering, var at DMP ikke hadde tilgang til norske kliniske eksperter. En revurdering forutsetter derfor at RHF-ene lykkes å rekruttere medisinske fageksperter innenfor relevant sykdomsområde som kan bistå DMP i metodevurderingen.</p> <p>Nye metoder har vært i kontakt med leverandør (Sanofi), som opplyser at de vil kunne levere oppdatert dokumentasjon og helseøkonomisk modell til DMP, der effektdata er basert på real-world evidence (RWE).</p>
<p>Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)</p>	<p>DMP mener at det kan være endret grunnlag for å belyse nytten av behandlingen sammenlignet med dagens behandlingsalternativer. Det foreligger data som kan være egnet for en oppdatert metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse). DMP oppfordrer til at leverandør avtaler et formøte med DMP før dokumentasjon sendes inn. For å sikre at metodevurderingen blir dekkende og relevant for norske forhold, er det viktig med involvering av medisinske fageksperter.</p>

Kilder

1. European Medicines Agency. Preperatomtale (cablivi).
2. European Medicines Agency. Cablivi : EPAR - Public assessment report (Report Variation). 2020.
3. European Medicines Agency. Cablivi : EPAR - Public assessment report. 2018.
4. Metodeboken.no. ADAMTS13-aktivitet, P 2025 [Available from: <https://metodebok.no/index.php?action=topic&item=CuJu6MJJC>].
5. Doyle AJ, Stubbs MJ, Dutt T, Lester W, Thomas W, van Veen J, et al. Long-term risk of relapse in immune-mediated thrombotic thrombocytopenic purpura and the role of anti-CD20 therapy. Blood. 2023;141(3):285-94.
6. Statens legemiddelverk. Kaplasizumab (Cablivi) ved ervervet trombotisk trombocytopenisk purpura – hurtig metodevurdering. 2019.
7. Scully M, Cataland SR, Peyvandi F, Coppo P, Knöbl P, Kremer Hovinga JA, et al. Caplacizumab Treatment for Acquired Thrombotic Thrombocytopenic Purpura. N Engl J Med. 2019;380(4):335-46.
8. Nye Metoder. Beslutningsforum for nye metoder. 2020.
9. Zheng XL, Al-Housni Z, Cataland SR, Coppo P, Geldziler B, Germini F, et al. 2025 focused update of the 2020 ISTH guidelines for management of thrombotic thrombocytopenic purpura. J Thromb Haemost. 2025;23(11):3711-32.

Versjonslogg*

Dato	Hva
15.04.2026	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.