

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*:	ID2025_025
Metodens navn:	Bjørkeneverekstrakt (Filsuvez)

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Ida Steinlein
Eventuell organisasjonstilhørighet/arbeidsplass/firma	DEBRA Norge (Org.nr. 983513336)
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	debranorge@outlook.com +4799544463

3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) <i>Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.</i>
--

Dystrofisk EB skyldes mutasjon i COL7A1-genet, mens junksjonal EB oppstår ved mutasjoner i genene for laminin-332. Som en følge av disse mutasjonene løsner huden lett og smertefulle sår utvikles ved selv den minste friksjon i henholdsvis dermis og basalmembranen.

Våre medlemmer med Dystrofisk og Junksjonal EB har et sterkt ønske om å få tilgang til Filsuvez, da funn av studier og andre pasienters erfaringer med behandlingen viser lovende resultater. Filsuvez bruker bjørkeneverekstrakt som bidrar til raskere tilheling av sår, noe som vil ha stor betydning for både pasient, pårørende og helsetjenestene.

Personer som lever med denne sykdommen har kontinuerlig store, åpne sår. Dette gir opphav til intense smerter, kroniske infeksjoner, betennelsestilstander og betydelige funksjonsnedsettelse. Kroniske sår og arrdannelse fører dessuten til at mange utvikler en aggressiv og dødelig form for hudkreft allerede i ung alder. For de rammede innebærer sykdommen et liv i konstante smerter, sterkt redusert livskvalitet og ofte forkortet levetid.

Det finnes i dag ingen kurativ behandling for EB. Pasientene er avhengige av konservativ sårbehandling, som er svært tid- og ressurskrevende. De mest alvorlige tilfellene krever flere timers sårstell hver dag, noe som påfører både pasienter og familier en enorm fysisk og psykisk belastning. Forbruket av bandasjemateriell er betydelig, og behovet for helsetjenester er omfattende og kostbart for helsevesenet.

Situasjonen understreker behovet for økt prioritering av forskning, innovasjon og tilrettelegging av helsetjenester for denne pasientgruppen, slik at livskvaliteten kan bedres og kostnadene på sikt reduseres. Vi i DEBRA Norge mener derfor at denne behandlingen bør tilgjengeliggjøres for EB-pasienter i Norge, slik det har blitt i flere andre land allerede.

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 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: Pasienter med dystrofisk og junksjonal epidermolysis bullosa. Blant medlemsmassen vår estimerer vi at det er 4 pasienter med JEB og <20 med DEB.

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

Beskriv kortfattet: Per i dag er det ingen behandlingsalternativer i Norge.

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:

Raskere sårtilheling: Den kanskje største fordelen er muligheten for raskere sårheling. I fase 3-studien (EASE-studien, Kern *et al.*, 2023) oppnådde 41,3% av pasientene behandlet med Filsuvez komplett tilheling av et målområde-sår innen 45 dager, mot 28,9% i kontrollgruppen (https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/36689495/#:~:text=Results%3A%20%20A%20total%20of,moderate%20intensity%20%284%C2%B76%25%20were%20severe.)).

For pasientene betyr dette at sår kan gro uker tidligere enn de ellers ville gjort. En gevinst på selv et par uker kortere sårvarighet kan være avgjørende, det betyr for eksempel to uker mindre med smerter, væsning og infeksjonsfare for et gitt sår.

Færre infeksjoner og komplikasjoner: Når sårene gror raskere og holder seg lukket lenger, reduseres risikoen for infeksjoner. Over tid kan dette bety mindre bruk av antibiotika og færre sykehusinnleggelser for behandling av alvorlige infeksjoner.

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

10. Andre kommentarer

DEBRA Norge understreker at Filsuvez kan gi betydelig bedre livskvalitet for våre EB-pasienter og redusere den enorme daglige byrden ved sårstell. Internasjonale erfaringer er gode, og behandlingen har potensial til å forkorte sårtilhelingstider, redusere infeksjoner og gi færre smertefulle bandasjeskift.

Samtidig stiller Nasjonal strategi for sjeldne diagnoser krav om at nye metoder for sjeldne og alvorlige tilstander systematisk vurderes og prioriteres, også når kostnaden per pasient er høy. EB-gruppen i Norge er liten, men lidelsen er desto større. Når få pasienter kan få en vesentlig helsegevinst, er det både etisk og samfunnsøkonomisk forsvarlig å godkjenne Filsuvez uten unødig utsettelse.

Vi oppfordrer derfor til snarlig innføring, slik at norske EB-pasienter ikke henger etter andre europeiske land og vestlige land, og for å hindre unødvendig lidelse og potensielt dødelige komplikasjoner.

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: DEBRA Norge har ingen interessekonflikter.