

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_029
Metodens navn:	Beremagen geperpavec (Vyjuvek)

*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 epidermolysis bullosa (DEB) er en alvorlig, genetisk hudsykdom som oppstår på grunn av mutasjon i COL7A1-genet. Dette genet koder for kollagen 7, et protein som bidrar til å henge sammen dermis og epidermis. Når dette proteinet mangler eller ikke fungerer, løsner huden lett, og smertefulle sår utvikles selv ved den minste friksjon. Sårene oppstår både utvendig, men også i kroppens indre organer. Majoriteten har også anemier, ernæringsutfordringer og andre komplikasjoner relatert til EB-diagnosen, som ytterligere forverrer betingelsene for sårtilheling.

De rammede har store åpne sår til enhver tid. Dette fører til intense smerter, kroniske infeksjoner og betennelsestilstander samt store funksjonsbegrensninger. Med kroniske sår og dystrofisk arrvev, vil mange også utvikle en aggressiv og dødelig form for hudkreft i ung alder. For mange betyr sykdommen et liv i konstant smerte og betydelig redusert livskvalitet og dessverre også forkortet levetid.

Det finnes ingen behandling som kan helbrede DEB. Pasientene får kun konservativt sårstell, en svært ressurskrevende prosess. De mest alvorlige tilfellene krever flere timer med sårstell daglig, noe som er svært belastende for både pasient og familie. Forbruk av bandasjemateriell er høyt, og helsetjenestene som trengs er omfattende og kostbare.

Vyjuvek er en innovativ topikal genterapi, med godt dokumentert effekt. Den representerer et betydelig fremskritt, og et etterlengtet håp. Behandlingen er utviklet spesielt for pasienter med DEB som har COL7A1-mutasjonen, og har vist evne til å fremme sårtilheling og redusere risikoen for tilbakefall. Gelen påføres ukentlig - metoden er både enkel og gjennomførbart. Det betyr færre åpne sår, mindre smerte og infeksjonsfare med mindre belastning på helsevesen og tjenesteapparatet, og ikke minst: en hverdag med mer frihet og økt livskvalitet for pasient og pårørende.

Data fra studien viser forbedring for pasientene. Kliniske data fra GEM-3-studien viser B-VECs effekt med en sårtilheling på 67 % etter 6 måneder, samt redusert smerte ved bandasjeskift, noe som bedrer livskvaliteten for DEB-pasienter. Hensikten med denne studien var å undersøke effekten av Vyjuvek >6 måneder hos DEB pasienter. Behandlingen med B-VEC viste vedvarende effekt, og ingen bivirkninger førte til at behandlingen ble avsluttet.

Marinkovich, M.P., Paller, A.S., Guide, S.V. et al. Long-Term Safety and Tolerability of Beremagene Geperpavec-svdt (B-VEC) in an Open-Label Extension Study of Patients with Dystrophic Epidermolysis Bullosa. Am J Clin Dermatol (2025). <https://doi.org/10.1007/s40257-025-00942-y>

DEBRA Norge er som nasjonal pasientorganisasjon tett på pasienter og pårørende i hele landet, men også koblet på det større EB-miljøet globalt. Vi kjenner godt til de store livstruende utfordringene DEB medfører. Gjennom vår kontakt med DEBRA-organisasjoner og helsepersonell internasjonalt, har vi erfart at mange pasienter rapporterer betydelig redusert belastning på kroppen etter oppstart med Vyjuvek. Flere beskriver at sårtilhelingen går raskere, noe som i praksis gir lengre perioder uten åpne sår og færre infeksjoner. Vi har også hørt fra helsepersonell at behandlingen brukes strategisk i forbindelse med kirurgi, blant annet ved håndoperasjoner, for å forlenge tiden mellom nødvendige inngrep. Selv om dette er erfaringsbasert og ikke publisert i vitenskapelig litteratur, er det et tydelig og gjennomgående inntrykk vi får fra det internasjonale EB-miljøet. Vi mener slike observasjoner er relevante å ta med i vurderingen av nytten for pasientene, spesielt på sjeldenfeltet. Med denne behandlingen vil de enorme fysiske, emosjonelle, økonomiske og sosiale belastningene bli betydelig redusert. Det kan redde liv.

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:

Hvor er eventuelt metoden i bruk:

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

Beskriv kortfattet: Pasienter med dystrofisk epidermolysis bullosa (DEB). Fra medlemsmassen vår estimerer vi at <20 personer har diagnosen.

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:

Fordeler med denne metoden sammenliknet med aktuelle alternativer:

På nåværende tidspunkt finnes det ingen andre behandlinger for DEB. Vyjuvek er den første av sitt slag, og vi mener Norge må sikre tilgang til denne behandlingen raskt, slik at norske EB-pasienter ikke henger etter i utviklingen vi ser i andre land. Pasienter med DEB kan ha forkortet levetid og trenger tilgang på livsforlengende behandling. Vi oppfatter dette som tidskritisk.

For pasienter med DEB er det viktigste at antall nye sår reduseres, samt at eksisterende sår heler raskere og forblir lukket. Vyjuvek har i studier vist evne til å fremme sårtilheling og redusere tilbakefall. (Marinkovich MP, Gonzalez ME, Guide S, et al. GEM-3: a phase 3 study of beremagene geperpavec (B-VEC), an investigational, topical gene therapy, for the treatment of dystrophic epidermolysis bullosa (DEB). Presented at 2022 AAD Annual Meeting; March 27, 2022; Boston, MA.)

For våre medlemmer betyr dette større frihet i hverdagen grunnet mindre smerter og sårbehandling, lavere risiko for infeksjoner og andre livstruende komplikasjoner.

Relevante endepunkter for måling:

- Sårtilheling: Konkret hvor stor andel av sårene som oppnår fullstendig tilheling innen en definert tidsperiode (for eksempel innen 3 eller 6 måneder).
- Sårfri intervall: Hvor lenge sårene forblir hele før de eventuelt bryter opp igjen

- Antall nye sår: Reduksjon i antall nye sår er et sentralt utfallsmål.
- Smerte: For eksempel målt med standardiserte smerteskalaer under sårstell
- Reduksjon av infeksjoner og øvrige komplikasjoner.

Samlet sett representerer disse måleparameterne det som har størst betydning for pasientene: mindre sårbelastning fører til redusert smerte og lavere risiko for alvorlige og livstruende komplikasjoner, noe som igjen gir bedre livskvalitet og økt mestring i hverdagen.

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:

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:

10. Andre kommentarer

DEBRA Norge vil sterkt understreke hvor kritisk det er å få denne behandlingen tilgjengelig for pasientene så snart som mulig. Vi vet at det allerede foreligger svært gode erfaringer med Vyjuvek.

Vyjuvek har vært tilgjengelig i USA siden 2023, og gjennom internasjonale EB-konferanser kjenner vi til flere tilfeller der pasienter har mottatt behandlingen, til tross for at dette ikke er offentlig dokumentert i litteraturen. Flere har fått tilgang gjennom privat finansiering eller individuelle unntak, noe som understreker behandlingsbehovet. DEBRA Norge vil derfor sterkt understreke hvor avgjørende det er at Vyjuvek blir tilgjengelig for norske pasienter så snart som mulig, basert på de gode erfaringene internasjonalt.

Et eksempel på dette er EB-Clinet-konferansen, som er en internasjonal plattform for helsepersonell og forskere som arbeider med epidermolysis bullosa. Under EB-Clinet har det blitt presentert både kliniske resultater og pasienthistorier som tydelig viser de positive effektene av Vyjuvek. Dessverre så er ikke disse dokumentene blitt publisert i sin helhet. Derimot så har denne case-rapporten blitt publisert angående en pasient med arrdannende øyebetennelse forårsaket av dystrofisk epidermolysis bullosa som fikk lokal øyebehandling med genterapien B-VEC. Behandlingen var assosiert med forbedret syn etter kirurgi. *Tovar Vetencourt, A., Sayed-Ahmed, I., Gomez, J., Chen, H., Agostini, B., Carroll, K., Parry, T., Krishnan, S., & Sabater, A. L. (2024). Ocular gene therapy in a patient with dystrophic epidermolysis bullosa. The New England Journal of Medicine, 390(6)*

[Ocular Gene Therapy in a Patient with Dystrophic Epidermolysis Bullosa | New England Journal of Medicine](#)

Pasienthistorier:

<https://www.vyjuvek.com/patient-stories/>

Andre kilder:

<https://ebconnect.org/page/educational-videos>

<https://www.vyjuvekhcp.com/efficacy-safety-data/>

[Krystal Biotech Announces European Commission Approval of VYJUVEK® for the Treatment of Dystrophic Epidermolysis Bullosa](#)

Artikkel om belastningen av DEB, studier om B-VEC og råd til både leger og pasienter om bruk i hjemmet og i forbindelse med operasjoner. Paller, A. S., Guide, S. V., Ayala, D., Gonzalez, M. E., Lucky, A. W., Bagci, I. S., & Marinkovich, M. P. (2024). *Practical considerations relevant to treatment with the gene therapy beremagene geperpavec-svdt for dystrophic epidermolysis bullosa*. *Journal of Dermatological Treatment*, 35(1).
<https://doi.org/10.1080/09546634.2024.2350232>

DEBRA Norge mener det er etisk uforvarselig å ikke innføre Vyjuvek, da det gir mulighet for forbedret livskvalitet og økt levealder for denne svært sårbare pasientgruppen. DEBRA Norge understreker at investering i denne metoden langsiktig kan være samfunnsøkonomisk fordelaktig, med reduserte kostnader knyttet til helse- og omsorgstjenester.

Nasjonal strategi for sjeldne diagnoser pålegger helsemyndighetene å sørge for systematisk vurdering og prioritering av nye behandlinger for sjeldne tilstander. Siden EB er en sjelden og alvorlig sykdom, styrker dette kravet vårt om rask innføring av behandlinger som Vyjuvek. Behandlingene vil berøre svært få pasienter, men gi stor helsegevinst per individ, og bør derfor ikke utsettes på grunn av samlet budsjettbelastning.

Vyjuvek representerer et etterlengtet håp og vil være den viktigste behandlingen for et lengre og bedre liv for dem som i dag lider, og det er vår klare oppfordring at metoden tas i bruk så fort som mulig. Vi kjenner svært godt til pasientenes behov og utfordringer, og mener det er avgjørende at Vyjuvek implementeres raskt for å hindre ytterligere lidelse og potensielt unødvendige dødsfall.

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