

Innkalling til møte i Bestillerforum for nye metoder

Sted: Heldigitalt møte (Teams)

Tidspunkt: Mandag 27.04.2026 kl. 10:00- 11:30

Beslutningstakere: Helse Vest RHF v/ Leder i Bestillerforum, Fagdirektør Bjørn Egil Vikse
 Helse Midt-Norge RHF v/ Fagdirektør Trude Basso
 Helse Nord RHF v/ Konst. fagdirektør Synøve Kalstad
 Helse Sør-Øst RHF v Fagdirektør Ulrich Spreng
 Helse Midt-Norge RHF v/ Seniorrådgiver Ingvild Grendstad
 Helse Midt-Norge RHF v/ Seniorrådgiver Hege Wang

Kopi: Folkehelseinstituttet v/ Fagdirektør Hilde Risstad
 Direktoratet for medisinske produkter v/ Enhetsleder Elisabeth Bryn
 Direktoratet for medisinske produkter v/ Seniorrådgiver Kirsti Hjelme
 Direktoratet for medisinske produkter v/ Fung. enhetsleder Carolin Hagen
 Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet v/ Fagdirektør Eva Friberg
 Sykehusinnkjøp HF, v/ Fagsjef Christina Sivertsen
 Helse Sør-Øst RHF, v/ Prosjektleder Ole Tjomsland
 Helse Vest RHF v/ Rådgiver Magnus Hole
 Helse Nord RHF v/ Seniorrådgiver André Engesland
 Helse Midt-Norge RHF v/ Seniorrådgiver Ingvild Klevan
 Brukerrepresentant Linda Haugland
 Brukerrepresentant Faridah S. Nabaggala

Sekretariatet Nye metoder v/ Enhetsleder Ellen Nilssen
 Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Barbra Schjoldager Frisvold
 Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Helene Örtthagen
 Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Karianne Mollan Tvedt
 Sekretariatet Nye metoder v/ Medisinsk rådgiver Michael Vester

Saksliste

Velkommen v/leder av Bestillerforum for nye metoder, fagdirektør Bjørn Egil Vikse.

Saksnummer	Sakstittel	Type sak
Sak 052-26	Protokoll fra møte 16.03.2026.	Til godkjenning.
Sak 053-26	Anmodning: ID2018_126 Elotuzumab (Empliciti) som kombinasjonsbehandling med pomalidomid og deksametason ved refraktær eller relapserende myelomatose.	Til drøfting.
Sak 054-26	Anmodning: ID2026_005 Lurbinektedin (Zepzelca) og atezolizumab (Tecentriq) i kombinasjon til vedlikeholdsbehandling av voksne med utbredt småcellet lungekreft hvor sykdommen ikke har utviklet seg etter førstelinje induksjonsbehandling med atezolizumab, karboplatin og etoposid.	Til drøfting.
Sak 055-26	Anmodning: ID2026_007 Belantamabmafodotin (Blenrep) i kombinasjon med pomalidomid og deksametason til behandling av residiverende eller refraktær myelomatose hos pasienter som har fått minst én tidligere behandling inkludert lenalidomid.	Til drøfting.
Sak 056-26	Anmodning: ID2026_006 Pegcetakoplan (Aspaveli) til behandling av voksne pasienter og ungdom i alderen 12 til	Til drøfting.

	17 år med C3 glomerulopati (C3G) eller primær immunkompleks membranproliferativ glomerulonefritt (IC-MPGN) i kombinasjon med en hemmer av renin-angiotensinsystemet (RAS), med mindre behandling med RAS-hemmer ikke tolereres eller er kontraindisert	
Sak 057-26	Anmodning: ID2026_008 Klesrovimab (Enflonsia) til forebygging av nedre luftveisinfeksjon forårsaket av respiratorisk syncytialvirus (RSV) hos nyfødte og spedbarn som er født i eller går inn i sin første RSV-sesong.	Til drøfting.
Sak 058-26	Anmodning: ID2026_009 Pembrolizumab (Keytruda) og enfortumabvedotin (Padcev) i kombinasjon som neoadjuvant behandling etterfulgt av pembrolizumab i kombinasjon med enfortumabvedotin som adjuvant behandling etter radikal cystektomi for voksne pasienter med muskelinfiltrerende blærekreft som ikke tåler cisplatin eller av andre årsaker ikke er kandidater for cisplatinbasert behandling.	Til drøfting.
Sak 059-26	Anmodning: ID2026_012 Decitabine og cedazuridine (Inaqovi) og venetoklaks (Venclyxto) i kombinasjon for behandling av voksne pasienter med nylig diagnostisert akutt myelogen leukemi (AML) som ikke er kvalifisert for standard induksjonskjemoterapi.	Til drøfting.
Sak 060-26	Anmodning: ID2025_015 Belumosudil mesilate (Rezurock) til behandling av voksne og barn (12 år og eldre med en kroppsvekt på minst 40 kg) med kronisk transplantat-mot-vert-sykdom (cGVHD) når andre behandlingsalternativer gir begrenset klinisk nytte, ikke er egnet eller er uttømt.	Til drøfting.
Sak 061-26	Anmodning: ID2024_029 Efanesoctocog alfa (Altuvoct) til behandling og profylakse av blødning hos pasienter med hemofili A (medfødt faktor VIII-mangel). Til bruk i alle aldersgrupper. Anmoder om vurdering av bruk til subgrupper.	Til drøfting.
Sak 062-26	Anmodning: ID2026_010 Dupilumab - Dupixent - til behandling av eosinofil øsofagitt (EoE) hos voksne, ungdom og barn ≥ 1 år med kroppsvekt ≥ 15 kg som er utilstrekkelig kontrollert av, ikke tåler eller ikke er kandidat for konvensjonell medisinsk behandling.	Til drøfting.
Sak 063-26	Anmodning: ID2026_019 Human albumin (Albumin Grifols) til gjenoppretting og opprettholdelse av sirkulerende blodvolum hos pasienter når hypovolemi er påvist og bruk av et kolloid er hensiktsmessig.	Til drøfting.
Sak 064-26	Anmodning om revurdering: ID2021_076 Velmanase alfa (Lamzede) til behandling av ikke-nevrologiske manifestasjoner hos pasienter med mild til moderat alfa-mannosidose.	Til drøfting.
Sak 065-26	Forslag om revurdering: ID2017_095 Kaplacizumab (Cablivi) til behandling av voksne og ungdom ≥ 12 år (≥ 40 kg) med en episode av ervervet trombotisk trombocytopenisk purpura (aTTP), i tillegg til plasmautskifting og immunsuppresjon.	Til drøfting.

Sak 066-26	Metodevurdering: ID2022_018 Ketamin til behandlingsresistent depresjon. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter vedrørende tilbaketrasket studie.	Til orientering.
Sak 067-26	Oppdrag: ID2025_018 Guselkumab (Tremfya) til behandling av voksne med moderat til alvorlig aktiv ulcerøs kolitt som har hatt utilstrekkelig respons på, mistet respons på eller er intolerante for konvensjonell behandling eller biologisk legemiddel. Innspill fra leverandør. Foreslår avbestilling.	Til drøfting.
Sak 068-26	Metode: ID2019_006 Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) til behandling av spinal muskelatrofi. Innspill fra leverandør.	Til drøfting.
Sak 069-26	Oppdrag som trenger oppmerksomhet fordi det er lenge siden oppdrag ble gitt. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter.	Til drøfting.
Sak 070-26	Videreutvikling: Prosess for anmodninger om legemidler som er omfattet av HTAR. Notat fra sekretariatet for Nye metoder og Direktoratet for medisinske produkter.	Til orientering.
Sak 071-26	Videreutvikling: Ny prosess for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder. Notat fra sekretariatet for Nye metoder, Direktoratet for medisinske produkter og Sykehusinnkjøp HF.	Til orientering.
Sak 072-26	Eventuelt	

Bestillerforum for nye metoder 16.03.2026 – protokoll

Sted: Fysisk møte / Teams
Tidspunkt: Mandag 16.03.2026 kl. 10:00- 12:00

Deltakere

Helse Vest RHF v/ Leder i Bestillerforum, Fagdirektør Bjørn Egil Vikse
 Helse Midt-Norge RHF v/ Fagdirektør Trude Basso
 Helse Nord RHF v/ Konst. fagdirektør Synøve Kalstad
 Helse Sør-Øst RHF v Fagdirektør Ulrich Spreng
 Helsedirektoratet v/ Seniorrådgiver Ingvild Grendstad
 Folkehelseinstituttet v/ Fagdirektør Hilde Risstad
 Direktoratet for medisinske produkter v/ Enhetsleder Elisabeth Bryn
 Direktoratet for medisinske produkter v/ Seniorrådgiver Kirsti Hjelme
 Direktoratet for medisinske produkter v/ fung. enhetsleder Carolin Hagen
 Sykehusinnkjøp HF, v/ Fagsjef Christina Sivertsen
 Helse Vest RHF v/ Rådgiver Magnus Hole
 Helse Nord RHF v/ Seniorrådgiver André Engesland
 Helse Midt-Norge RHF v/ Seniorrådgiver Ingvild Klevan
 Helse Sør-Øst RHF v/ Prosjektdirektør Ole Tjomsland
 Brukerrepresentant Linda Haugland
 Brukerrepresentant Faridah S. Nabaggala
 Sekretariatet Nye metoder v/ Enhetsleder Ellen Nilsen
 Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Barbra Schjoldager Frisvold
 Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Helene Örthagen
 Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Karianne Mollan Tvedt
 Sekretariatet Nye metoder v/ Medisinsk rådgiver Michael Vester

Saksliste

Saksnummer	Sakstittel	Beslutning
Sak 036-26	Protokoll fra møte 09.02.2026.	Beslutning Protokollen fra møtet den 09.02.2026 ble godkjent.
Sak 037-26	Anmodning: ID2025_105 Mepolizumab (Nucala) til behandling av voksne som et tilleggsmiddel for vedlikeholdsbehandling av ukontrollert kronisk obstruktiv lungesykdom (KOLS) kjennetegnet av forhøyede blod-eosinofiler i kombinasjon med en inhalert kortikosteroid (ICS), en langtidsvirkende beta2-agonist (LABA) og en langtidsvirkende muskarinantagonist (LAMA). Eller på en kombinasjon av en langtidsvirkende beta2-agonist (LABA) og en langtidsvirkende muskarinantagonist	Metode ID2025_105 Mepolizumab (Nucala) for voksne som tilleggsvedlikeholds-behandling av ukontrollert kronisk obstruktiv lungesykdom (KOLS) karakterisert ved forhøyede eosinofiler i blodet, med en kombinasjon av et inhalert kortikosteroid (ICS), en langtidsvirkende beta2-agonist (LABA) og en langtidsvirkende muskarinantagonist (LAMA). Kommentar/begrunnelse Direktoratet for medisinske produkter (DMP) har opplyst saken i egnethetsvurderingen. Beslutning

	(LAMA) -dersom bruk av ICS er uegnet -og Roflumilast.	En metodevurdering, med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse) basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør, gjennomføres av Direktoratet for medisinske produkter (DMP). Et tilhørende prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.
Sak 038-26	Anmodning: ID2025_106 Mirdametinib (Ezmekly) som monoterapi til behandling av symptomatiske, inoperable pleksiforme neurofibromer (PN) hos pediatriske og voksne pasienter med neurofibromatose type 1 (NF1) i alderen 2 år og eldre.	<p>Bestillerforum for nye metoder deler indikasjonen i to metoder og gir to oppdrag:</p> <p>Metode ID2025_106 Mirdametinib (Ezmekly) som monoterapi til behandling av symptomatiske, inoperable pleksiforme neurofibromer (PN) hos pediatriske pasienter med neurofibromatose type 1 (NF1) i alderen 2 år og eldre.</p> <p>Kommentar/begrunnelse Direktoratet for medisinske produkter (DMP) har opplyst saken i egnethetsvurderingen. Komparator er forskjellig til barn og voksne. Det gis to oppdrag, et for barn og et for voksne.</p> <p>Beslutning Et prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.</p> <p>Metode ID2026_016 Mirdametinib (Ezmekly) som monoterapi til behandling av symptomatiske, inoperable pleksiforme neurofibromer (PN) hos voksne med neurofibromatose type 1 (NF1).</p> <p>Kommentar/begrunnelse Direktoratet for medisinske produkter (DMP) har opplyst saken i egnethetsvurderingen. Komparator er forskjellig til barn og voksne. Det gis to oppdrag, et for barn og et for voksne.</p> <p>Beslutning En metodevurdering, med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse) basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør, gjennomføres av Direktoratet for medisinske produkter (DMP). Et tilhørende prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.</p>

Sak 039-26	Anmodning: ID2025_107 Nirogacestat (Ogsiveo) som monoterapi til behandling av voksne pasienter med progredierende desmoide tumorer som krever systemisk behandling.	<p>Metode ID2025_107 Nirogacestat (Ogsiveo) som monoterapi til behandling av voksne pasienter med progredierende desmoide tumorer som krever systemisk behandling.</p> <p>Kommentar/begrunnelse Direktoratet for medisinske produkter (DMP) har opplyst saken i egnethetsvurderingen.</p> <p>Beslutning En metodevurdering, med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse) basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør, gjennomføres av Direktoratet for medisinske produkter (DMP). Et tilhørende prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.</p>
Sak 040-26	Anmodning: ID2025_104 Rilzabrutinib (Wayrilz) til behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) hos voksne pasienter som er refraktære overfor annen behandling.	<p>Metode ID2025_104 Rilzabrutinib (Wayrilz) til behandling av immun trombocytopeni (ITP) hos voksne pasienter som er refraktære overfor andre behandlinger.</p> <p>Kommentar/begrunnelse Direktoratet for medisinske produkter (DMP) har opplyst saken i egnethetsvurderingen.</p> <p>Leverandør bes avtale et formøte med DMP før innsending av dokumentasjon.</p> <p>Beslutning En metodevurdering, med en helseøkonomisk analyse basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør, gjennomføres av Direktoratet for medisinske produkter (DMP). Et tilhørende prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.</p>
Sak 041-26	Anmodning: ID2026_011 Nivolumab (Opdivo) i kombinasjon med doksorubicin, vinblastin og dakarbazin (AVD) for voksne og ungdommer på 12 år og eldre med tidligere ubehandlet stadium III eller IV klassisk Hodgkins lymfom.	<p>Metode ID2026_011 Nivolumab (Opdivo) i kombinasjon med doksorubicin, vinblastin og dakarbazin (AVD) for voksne og ungdommer på 12 år og eldre med tidligere ubehandlet stadium III eller IV klassisk Hodgkins lymfom.</p> <p>Kommentar/begrunnelse Leverandøren har registrert legemidlet i ordningen «Forenklet vurdering av PD-(L)1 legemidler».</p>

		Beslutning Et prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.
Sak 042-26	Anmodning: ID2022_100 Lanadelumab (Takhzyro) til rutinemessig forebygging av residiverende anfall av hereditært angioødem hos pasienter som er 12 år eller eldre. Anmodningen gjelder indikasjonsutvidelse til bruk også hos pasienter som er 2-11 år.	Metode ID2022_100 Lanadelumab (Takhzyro) til rutinemessig forebygging av residiverende anfall av hereditært angioødem hos pasienter som er 12 år eller eldre. Indikasjonsutvidelse til bruk også hos pasienter som er 2-11 år. Beslutning Et prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.
Sak 043-26	Forslag: ID2025_109 DynamX koronarstent (implantat) til perkutan koronar intervensjon (PCI).	Metode ID2025_109 DynamX koronarstent (implantat) til perkutan koronar intervensjon (PCI). Kommentar/begrunnelse Direktoratet for medisinske produkter (DMP) har opplyst saken i egnethetsvurderingen Beslutning En metodevurdering, med en helseøkonomisk analyse basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør, gjennomføres av Direktoratet for medisinske produkter (DMP). Dokumentasjon bør inneholde oppdaterte data, som forespeilet i innspill fra leverandør. Et tilhørende prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF. Metoden skal ikke tas i ordinær eller systematisk bruk før metodevurdering er gjennomført og saken er formelt behandlet og avklart i Beslutningsforum.
Sak 044-26	Forslag: ID2025_079 Tiratrikol (Emcitate) til behandling av perifer tyreotoksikose (unormalt høye nivåer av sirkulerende skjoldbruskhormoner) hos pasienter med MCT8-mangel (Allan-Herndon-Dudley syndrom).	Metode ID2025_079 Tiratrikol (Emcitate) til behandling av perifer tyreotoksikose (unormalt høye nivåer av sirkulerende skjoldbruskhormoner) hos pasienter med MCT8-mangel (Allan-Herndon-Dudley syndrom). Kommentar/begrunnelse Nye metoder har vært i kontakt med leverandøren. De vet på nåværende tidspunkt ikke når det kan bli aktuelt å anmode om vurdering. Beslutning Bestillerforum for nye metoder gir ikke oppdrag om en metodevurdering.
Sak 045-26	Forslag: ID2021_123 Temperaturregulert laminær luftstrøm	Metode ID2021_123 Temperaturregulert laminær

	<p>(TLA-behandling) behandling av alvorlige allergiske sykdommer som alvorlig allergisk astma og atopisk dermatitt (eksempel på produkt Airsonett Air 4).</p>	<p>luftstrøm (Airsonett Air 4) til behandling av alvorlig allergisk astma.</p> <p>Kommentar/begrunnelse Direktoratet for medisinske produkter (DMP) har opplyst saken i egnethetsvurderingen.</p> <p>Beslutning En metodevurdering, med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse) basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør, gjennomføres av Direktoratet for medisinske produkter (DMP).</p> <p>Et tilhørende prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.</p> <p>Oppdraget begrenses til personer med allergisk drevet alvorlig astma.</p> <p>Metoden skal ikke tas i ordinær eller systematisk bruk før metodevurdering er gjennomført og saken er formelt behandlet og avklart i Beslutningsforum.</p>
Sak 046-26	<p>Oppdrag: ID2025_019 Kunstig intelligens (KI)-basert analyse av video- og lydopptak av epileptiske anfall (Nelli®). Avklaring prosess. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter.</p>	<p>Metode ID2025_019 Kunstig intelligens (KI)-basert analyse av video- og lydopptak av epileptiske anfall (Nelli®)</p> <p>Kommentar/begrunnelse Leverandør har gitt tilbakemelding om at de ikke vil levere dokumentasjon på nåværende tidspunkt.</p> <p>Det foreligger en kunnskapsoppsummering som viser at det foreligger svært begrenset dokumentasjon. (https://healthtechnology.wales/reports-guidance/at-home-video-monitoring-for-epilepsy/)</p> <p>Beslutning Bestillerforum for nye metoder avbestiller oppdraget. Saken sendes til de regionale helseforetakene som forbereder saken til beslutning.</p>
Sak 047-26	<p>Oppdrag: ID2019_099 Apremilast (Otezla) til behandling av voksne med sår i munnen assosiert med Behcets sykdom (BD), som er aktuelle for</p>	<p>Metode ID2019_099 Apremilast til behandling av voksne med sår i munnen assosiert med Behcets sykdom (BD), som er aktuelle for systemisk behandling.</p>

	systemisk behandling. Innspill fra Helse Midt Norge RHF.	<p>Kommentar/begrunnelse Bestillerforum endrer oppdraget.</p> <p>Beslutning En metodevurdering uten en helseøkonomisk analyse, basert på tilgjengelig dokumentasjon gjennomføres av Direktoratet for medisinske produkter. Et prisnotat utarbeides av Sykehusinnkjøp HF.</p>
Sak 048-26	Oppdrag: ID2024_082. Anmodninger der dokumentasjon ikke er levert av leverandør. Forslag om avbestilling av oppdrag. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter, Sykehusinnkjøp HF og Sekretariatet for Nye metoder.	<p>Metode ID2024_082 Akalabrutinib (Calquence) i kombinasjon med bendamustin og rituksimab er indisert til behandling av voksne pasienter med tidligere ubehandlet mantelcellelymfom som ikke er kvalifiserte for autolog stamcelletransplantasjon.</p> <p>Kommentar/begrunnelse Leverandør har ikke levert dokumentasjon innenfor 12 måneder etter anmodningstidspunkt.</p> <p>Leverandør kan sende inn en ny anmodning dersom de ønsker en vurdering i Nye metoder.</p> <p>Bestillerforum minner om at nye virkestoff, styrker, formuleringer og indikasjonutvidelser ikke skal forskrives i spesialisthelsetjenesten før det er fattet en nasjonal beslutning om innføring</p> <p>Beslutning Bestillerforum for nye metoder avbestiller oppdraget.</p>
Sak 049-26	Videreutvikling: HTAR for medisinsk utstyr - Joint Clinical Assessment (JCA) for medisinske utstyr (MD) og in vitro-diagnostikk (IVD). Notat fra Direktoratet for medisinske produkter.	<p>Kommentar/begrunnelse Bestillerforum for nye metoder drøftet forslagene i notatet.</p> <p>Beslutning Bestillerforum for nye metoder ber Direktoratet for medisinske produkter (DMP) inkludere øvrige aktører i Nye metoder i arbeidet med å etablere en nasjonal prosess for medisinsk utstyr i HTAR-samarbeidet. Inntil videre må DMP ha hovedansvar for å vurdere seleksjonskriteriene og gi innspill i seleksjonsfasen.</p> <p>Det bør være etablert et system for faglige innspill til nasjonal PICO før sommeren 2026.</p>
Sak 050-26	Videreutvikling: HTAR for legemidler - Status til Bestillerforum om HTAR-arbeidet for legemidler i Nye metoder.	<p>Kommentar/begrunnelse Bestillerforum for nye metoder fikk en status om HTAR-arbeidet for legemidler i Nye metoder.</p>

	Notat fra Direktoratet for medisinske produkter og Sekretariatet for Nye metoder.	Beslutning Bestillerforum for nye metoder tar informasjonen til orientering.
Sak 051-26	Eventuelt	Det var ingen saker til eventuelt.

Saksnummer 053-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2018_126 Elotuzumab (Empliciti) som kombinasjonsbehandling med pomalidomid og deksametason ved refraktær eller relapserende myelomatose.

Bakgrunn

- Oppdrag om metodevurdering/notat ble avbestilt 28.04.2025 etter at leverandør ikke hadde levert dokumentasjon. Nå har leverandør anmodet på nytt.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren som har markedsføringstillatelse (MT): Bristol Myers Squibb.
- Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse.
- Leverandøren vurderer at legemiddelet er sammenlignbart med [ID2021_009](#) Isatuksimab (Sarclisa) som kombinasjonsbehandling med karfilzomib og deksametason ved myelomatose etter minst en tidligere behandling og [ID2019_137](#) Isatuksimab (Sarclisa) i kombinasjon med deksametason og pomalidomid til behandling av voksne med tilbakevendende og refraktær myelomatose som har fått minst to tidligere behandlinger, inkludert lenalidomid og en proteasom-hemmer, og som har påvist sykdomsprogresjon ved siste behandling.
- Det er anbud på området.
- Om sykdommen: Myelomatose er en kronisk og tilbakevendende kreftsykdom, og pasientene trenger ofte flere behandlingslinjer etter hvert som sykdommen utvikler seg eller blir motstandsdyktig mot tidligere behandlinger.
- Dagens behandling og plass i behandlingen: Empliciti Pd vil hovedsaklig brukes i tredje linje i henhold til handlingsprogrammet for 2025. Dagens standardbehandlinger i denne linjen er Isa-Pd, Dara-Pd, Isa-Kd, PCd, Pd. Hvilket alternativ som blir brukt er basert på flere faktorer som alder, komorbiditet, tidligere behandlinger osv. De fleste pasienter får et CD38-antistoff som førstelinjebehandling. Hvis belavd blir godkjent i andre linje, er Empliciti-Pd et naturlig valg i tredje linje.
- Pasientantall: Anslås at metoden er aktuell for ca. 100 pasienter.
- Tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) i Norge for indikasjonen: 25.08.2019.
- Leverandør foreslår en kostnadsminimeringsanalyse.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet til tidlig faglig vurdering.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Aktuell indikasjon: Elotuzumab (Empliciti) i kombinasjon med pomalidomid og deksametason til behandling av voksne med tilbakevendende og refraktær myelomatose som har fått minst 2 tidligere behandlinger, inkl. lenalidomid og en proteasomhemmer, og sykdomsprogresjon er vist med siste behandling.
- Det ble i 2018 bestilt en metodevurdering av anmodet bruk, men oppdraget ble avbestilt i 2025 fordi BMS ikke hadde levert dokumentasjon til metodevurdering. Nå anmoder BMS om en vurdering av metoden, og angir at de ønsker å levere dokumentasjon til en

kostnadsminimeringsanalyse. En kostnadsminimeringsanalyse forutsetter samme kostnadsnivå, og ikke dårligere effekt, enn komparator(er).

- Plassering i behandlingsalgoritmen, dagens behandling og effektdokumentasjon er nærmere beskrevet i egnethetsvurderingen. Basert på beskrivelsen samt innføringstaus i Nye metoder, mener DMP at PCd og IsaPd fremstår som de mest relevante komparatorene for Elotuzumab-Pd.
- Anbefaling fra DMP: DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen. DMP mener opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken. Legemidlet har vært på markedet lenge og gis i kombinasjon med generiske legemidler. En prissammenligning mot andre pomalidomid-tripletter synes rimelig.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: 1 innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- Ingen innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Ingen nasjonale handlingsprogram eller retningslinjer påvirkes pt.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret overført til RHF-ene 1.5.2017

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av):

Fyll ut dato for innsending av skjema: 16.01.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Bristol Myers Squibb Norway AS
1.2 Navn kontaktperson	Carl Richard Frostad
1.3 Stilling kontaktperson	Sr. Market Access Manager
1.4 Telefon	92844600
1.5 E-post	Carl.frostad@bms.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.7 Telefon og e-post	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	Et nytt virkestoff <input type="checkbox"/> En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon <input checked="" type="checkbox"/> En ny styrke eller formulering <input type="checkbox"/>
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Elotuzumab (Empliciti) som kombinasjonsbehandling med pomalidomid og deksametason ved refraktær eller relapserende myelomatose

<p><i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i></p> <p><i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i></p>	
<p>2.3 Handelsnavn</p>	<p>Empliciti</p>
<p>2.4 Generisk navn/virkestoff</p>	<p>Elotuzumab</p>
<p>2.5 ATC-kode</p>	<p>L01FX08</p>
<p>2.6 Administrasjonsform og styrke</p> <p><i>Oppgi også forventet dosering og behandlinglengde</i></p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Admin: Infusjon på sykehus</p> <p>Styrke:</p> <p>Pulver til konsentrat til infusjonsvæske, oppløsning, 300 mg</p> <p>Pulver til konsentrat til infusjonsvæske, oppløsning, 400 mg</p> <p>Forventet dosering:</p> <p>Uke 1-8: 750 mg ukentlig i to 28-dagers sykler</p> <p>Uke 9+: 1500mg dag 1 per 28-dagers sykler</p> <p>Behandlingslengde er estimert til 8 måneder i tredjelinje (kilde: Myeloma Central Norway 2025)</p>
<p>2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme.</p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Farmakoterapeutisk gruppe:</p> <p>Empliciti (elotuzumab) tilhører gruppen monoklonale antistoffer og er klassifisert som et immunmodulerende legemiddel til behandling av multippelt myelom.</p> <p>Virkningsmekanisme:</p> <p>Elotuzumab binder seg spesifikt til SLAMF7-proteinet (Signaling Lymphocytic Activation Molecule F7) på overflaten av myelomceller og visse immunceller. Dette stimulerer kroppens immunforsvar, spesielt naturlige dreperceller (NK-celler), til å angripe og ødelegge myelomcellene.</p>

3 Historikk – virkestoff og indikasjon

<p>3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
---	---

<i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	ID-nummer: ID2018_126
3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> ID-nummer: ID2016_026 ID2021_009 ID2017_011 ID2019_137
3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng? <i>Hvis ja, oppgi referanse</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Referanse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring	
4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner? <i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Dato for MT for første indikasjon: 15.07.2016
4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/>
4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon? <i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i> <i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i> <i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i>	MT i Norge: Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Prosedyrenummer i EMA: EMA/CHMP/399458/2019 Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst. Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst. Hvis metoden har MT: Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: 25.08.2019

<p>4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Beskrivelse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
<p>4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for «orphan drug designation»: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>

5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

<p>5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
---	--

6 Sammenlignbarhet og anbud

<p>6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Kommentar: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Legemiddel og ID-nummer: ID2021_009 ID2019_137</p>
<p>6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Kommentar: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)

7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB?

Hvis nei, begrunn kort

Ja Nei

Begrunnelse:

Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)

8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)?

Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA

Ja Nei

Dato for søknad til EMA:

Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse

9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren?

F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.

Begrunn forslaget

Kostnadsminimeringsanalyse.

Basert på progresjonsfri overlevelse fremstår Empliciti Pd som en svært effektiv behandlingskombinasjon sammenlignet med andre alternativer som benyttes ved norske sykehus i dag. Empliciti Pd har dokumentert opptil dobbelt så lang progresjonsfri overlevelse som Pd alene (Eloquent-3) (1), og viser tilsvarende effekt som IsaPd (Icaria-studien)(2) og DaraPd (Apollo-studien) (3). I tillegg har Empliciti Pd dokumentert en overlevelsesgevinst (OS) i fase 3-studier, noe som understøttes av handlingsprogrammet for maligne blodsykdommer.

Kostnadsanalyser fra BMS viser (deles med Sykehusinnkjøp ved behov) at Empliciti Pd er en kostnadseffektiv behandling, og antagelig ikke dyrere enn relevante komparatorer for myelomatose i Norge, spesielt i tredje behandlingslinje sammenlignet med alternativer som IsaPd og IsaKd.

Legemidlet Imnovid (pomalidomid) har nå fått generisk konkurranse, og flere leverandører har markedsføringstillatelse for pomalidomid. Leverandøren Newbury er valgt som avtaleprodukt etter anbuds konkurransen 2507 onkologi, med avtalestart 01.10.2025.

	<p>Empliciti PD vil hovedsakelig erstatte behandling med IsaPd, og vil derfor ikke medføre økte kostnader for sykehusene. Videre kan Empliciti Pd bidra til å utsette behovet for dyrere behandlinger som teclistamab i fjerde linje.</p> <p>BMS understreker at både Empliciti og pomalidomid allerede er innført i andre behandlingslinjer og kombinasjoner, slik at eventuelle merutgifter ved innføring av denne kombinasjonen vil være svært beskjedne.</p>
<p>9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.</p>	<p>Empliciti Pd vil sansynligvis hovedsakelig brukes i i tredje linje i henhold til handlingsprogrammet for 2025 (4).</p> <p>For øyeblikket får de fleste pasienter et CD38-antistoff som førstelinjebehandling.</p> <p>Hvis belavd blir godkjent i andre linje, er Empliciti-Pd et naturlig valg i tredje linje.</p>
<p>9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.)</p> <p><i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i></p>	<p>Se svar i pkt. 9.1</p>
<p>9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.</p>	<p>Ingen forventet budsjettvirkning i de første fem årene.</p> <p>Empliciti PD vil hovedsakelig erstatte behandling med IsaPd, og vil derfor ikke medføre økte kostnader for sykehusene. Videre kan Empliciti Pd bidra til å utsette behovet for dyrere behandlinger som teclistamab i fjerde linje.</p> <p>BMS understreker at både Empliciti og pomalidomid allerede er innført i andre behandlingslinjer og kombinasjoner, slik at eventuelle merutgifter ved innføring av denne kombinasjonen vil være svært beskjedne.</p>
<p>9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF.</p> <p><i>Tidspunkt må oppgis</i></p>	<p>Legemiddelet har allerede refusjon for en annen indikasjon. Det har også godkjent listepreis samt anbudspris i onkologianbudet. Dokumentasjon og tilbudspris kan innsendes umiddelbart etter bestillingen er godkjent</p>

10 Sykdommen og eksisterende behandling	
<p>10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon</p> <p><i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i></p>	<p>Myelomatose (multippelt myelom) er en kreftsykdom som oppstår i plasmaceller, en type hvite blodceller som normalt produserer antistoffer. Ved myelomatose blir plasmacellene unormale og formerer seg ukontrollert i benmargen, noe som fører til nedsatt produksjon av normale blodceller, skjelettskader, økt risiko for infeksjoner, nyresvikt og andre komplikasjoner. Sykdommen er kronisk og tilbakevendende, og pasientene trenger ofte flere behandlingslinjer etter hvert som sykdommen utvikler seg eller blir motstandsdyktig mot tidligere behandlinger. Indikasjonen gjelder behandling av voksne pasienter med myelomatose som har fått tilbakefall eller er refraktære etter tidligere behandlinger.</p>
<p>10.2 Fagområde</p> <p><i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i></p>	<p>Velg fagområde fra menyen:</p> <p>Blodsykdommer</p>
<p>10.3 Kreftområde</p> <p><i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i></p>	<p>Velg kreftområde fra menyen:</p> <p>Bein- og bløtvevskreft</p>
<p>10.4 Dagens behandling</p> <p><i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i></p>	<p>Empliciti Pd vil hovedsaklig brukes i i tredje linje i henhold til handlingsprogrammet for 2025 (4). Dagens standardbehandlinger i denne linjen er Isa-Pd, Dara-Pd, Isa-Kd, PCd, Pd. Hvilket alternative som blir brukt er basert på flere faktorer som alder, komorbiditet, tidligere behandlinger osv.</p>
<p>10.5 Prognose</p> <p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p>	<p>Prognose og overlevelse:</p> <p>For pasienter med myelomatose som har fått én eller to tidligere behandlinger, varierer prognosen avhengig av respons på tidligere behandlinger, alder, komorbiditeter og cytogenetiske risikofaktorer. Median progresjonsfri overlevelse (PFS) for denne gruppen varierer typisk mellom 9 og 20 måneder med moderne behandlingsregimer (f.eks. lenalidomid, bortezomib, daratumumab i ulike kombinasjoner). Median totaloverlevelse (OS) er vanskeligere å anslå, men for pasienter med relapsert myelomatose etter én eller to linjer behandling, ligger den ofte mellom 2 og 4</p>

	<p>år, avhengig av behandlingsvalg og pasientens risikoprofil.</p> <p>Kilder: Moreau P, et al. (2016). "Treatment of relapsed and refractory multiple myeloma: Recommendations from the International Myeloma Working Group." <i>Blood</i>. 127(24): 2955-2962. Link Dimopoulos MA, et al. (2016). "Daratumumab, Lenalidomide, and Dexamethasone for Multiple Myeloma." <i>N Engl J Med</i>. 375:1319-1331. Link National Comprehensive Cancer Network (NCCN) Guidelines: Multiple Myeloma. (Oppdatert 2024) Link</p>
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Empliciti Pd vil hovedsaklig brukes i i tredje linje i henhold til handlingsprogrammet for 2025 (4).
10.7 Pasientgrunnlag <i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i> <i>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</i> <i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i>	Hvert år får i oevrkant av 500 personer diagnosen myelomatose i Norge. Behandlingen med Empliciti kombinert med pomalidomid og deksametason (EloPd) vil hovedsakelig bli brukt fra tredje behandlingslinje og utover. Dersom denne metoden tas i bruk, anslås det at rundt 100 pasienter årlig vil kunne være kandidater for behandlingen, men det kommer an på tidligere behandlinger osv (se behandlingsalgoritmen i handlingsplanen (4).

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID	ELOQUENT-3, NCT02654132, https://clinicaltrials.gov/study/NCT02654132	Dexamethasone, Elotuzumab, and Pomalidomide in Treating Patients With Refractory Multiple	Elotuzumab, Pomalidomide, & Dexamethasone (Elo-Pom-Dex) With Second Autologous Stem Cell
Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke			

		Myeloma, NCT03713294, https://clinicaltrials.gov/study/NCT03713294	Transplantasjon for Relapsed Multiple Myeloma, NCT03030261, https://clinicaltrials.gov/study/NCT03030261
11.2 Studietype og -design	Multisenter, randomisert, åpen-label, fase II-studie.	Enkeltarm, åpen-label, fase II-studie.	Enkeltarm, åpen-label, fase II-studie med vedlikeholdsbehandling etter autolog stamcelletransplantasjon.
11.3 Formål	Å evaluere effekt og sikkerhet av elotuzumab + pomalidomide + deksametasone (EPd) sammenlignet med pomalidomide + deksametasone (Pd) hos pasienter med RRMM som tidligere er behandlet med lenalidomide og en proteasominhibitor.	Å evaluere effekt av deksametasone + elotuzumab + pomalidomide (DEPd) hos pasienter med refraktær multiple myelom som ikke responderer på tidligere behandlinger.	Å forbedre utfall etter andre autolog stamcelletransplantasjon (ASCT) for relapsed multiple myelom ved bruk av elotuzumab + pomalidomide + deksametasone (Elo-Pom-Dex) som vedlikeholdsbehandling.
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	Inklusjon: Alder ≥18 år, ECOG 0-2, målbart MM, ≥2 tidligere behandlingslinjer, refraktær eller relapsed/refractory til lenalidomide og proteasominhibitor, refraktær til siste behandling. Eksklusjon: Tidligere pomalidomide, aktiv plasmacelleleukemi, kreatininclearance <45 ml/min.	Inklusjon: Alder ≥18 år, refraktær multiple myelom (ikke respons på minst 2 tidligere regimer inkl. lenalidomide og proteasominhibitor), ECOG 0-2. Eksklusjon: Tidligere elotuzumab eller pomalidomide, alvorlige komorbiditeter.	Inklusjon: Alder ≥18 år, relapsed MM egnet for andre ASCT, tidligere respons på første ASCT, ECOG 0-2. Eksklusjon: Tidligere pomalidomide, alvorlig organsvikt.
11.5 Intervensjon (n)	Elotuzumab: 10 mg/kg IV ukentlig (dager 1,8,15,22) i syklus 1-2, deretter 20 mg/kg IV månedlig (dag 1).	Elotuzumab: 10 mg/kg IV ukentlig i syklus 1-2, deretter månedlig. Pomalidomide: 4 mg PO dager 1-21.	Elotuzumab: 10 mg/kg IV ukentlig i syklus 1-2, deretter månedlig. Pomalidomide: 2-4 mg PO dager 1-21

<p><i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i></p>	<p>Pomalidomide: 4 mg PO daglig dager 1-21. Deksametasone: 40 mg (eller 20 mg hvis >75 år) PO ukentlig; ekstra doser på elotuzumab-dager. 28-dagers sykluser til progresjon eller uakseptabel toksisitet. n=60 (EPd-arm).</p>	<p>Deksametasone: 40 mg ukentlig. 28-dagers sykluser til progresjon. n=Est. 20 (enkeltarm).</p>	<p>(dosejustert). Deksametasone: 40 mg ukentlig. Start etter ASCT, 28-dagers sykluser i opptil 2 år eller til progresjon. n=Est. 40 (enkeltarm).</p>
<p>11.6 Komparator (n)</p> <p><i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i></p>	<p>Pomalidomide: 4 mg PO dager 1-21. Deksametasone: 40 mg (eller 20 mg hvis >75 år) PO ukentlig. 28-dagers sykluser til progresjon. n=57 (Pd-arm).</p>	<p>Ingen komparator (enkeltarm-studie).</p>	<p>Ingen komparator (enkeltarm-studie).</p>
<p>11.7 Endepunkter</p> <p><i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i></p>	<p>Primær: Progression-free survival (PFS) per IMWG-kriterier (tid fra randomisering til progresjon eller død, Kaplan-Meier, log-rank test). Sekundær: Objective response rate (ORR, partial response eller bedre per IMWG), overall survival (OS). Eksplorativ: Time to response, duration of response, sikkerhet. Målt ved baseline og hver syklus; final OS cutoff jan. 2021.</p>	<p>Primær: Overall response rate (ORR) per IMWG-kriterier (serum/urine protein elektroforese, benmarg). Sekundær: PFS, OS, toksisitet (CTCAE). Målt hver syklus og ved oppfølging.</p>	<p>Primær: 2-års PFS etter ASCT (IMWG-kriterier). Sekundær: ORR, OS, toksisitet. Målt post-ASCT og hver 3. måned.</p>

<p>11.8 Relevante subgruppeanalyser</p> <p><i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i></p>	<p>Konsistente PFS- og OS-fordeler på tvers av subgrupper: Alder ≥ 75, refraktær til både lenalidomide og PI, høyrisiko (del17p, t(4;14) etc.), ≥ 4 tidligere linjer, høyt LDH. HR for OS 0.54 totalt.</p>	<p>Ingen spesifiserte subgrupper (liten studie), men analyse av refraktære pasienter</p>	<p>Subgrupper basert på cytogenetikk og antall tidligere linjer; fokus på høyrisiko-pasienter post-ASCT.</p>
<p>11.9 Oppfølgingstid</p> <p><i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i></p>	<p>Minimum 45 måneder for final OS (cutoff jan. 2021); total oppfølging opptil 5 år.</p>	<p>Oppfølging opptil 5 år post-behandling; data tilgjengelig for vurdering ved studieavslutning (est. 2025).</p>	<p>Oppfølging minimum 2 år post-ASCT; total planlagt 5 år (est. avsluttet 2024).</p>
<p>11.10 Tidsperspektiv resultater</p> <p><i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i></p>	<p>Avsluttet; final datakutt jan. 2021 (OS-analyse); tidligere kutt feb. 2018 (primær PFS).</p>	<p>Pågående; interim data tilgjengelig, final est. 2025.</p>	<p>Pågående; interim data tilgjengelig, final est. 2024.</p>

<p>11.11 Publikasjoner</p> <p><i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publisering</i></p>	<p>Dimopoulos et al., "Elotuzumab plus Pomalidomide and Dexamethasone for Multiple Myeloma", NEJM, 2018; Dimopoulos et al., "Final OS Analysis From ELOQUENT-3", JCO, 2023.</p>	<p>Ingen publiserte resultater ennå; forventet publisering etter avslutning (2025+).</p>	<p>Ingen publiserte resultater ennå; forventet publisering etter avslutning (2024+).</p>
--	---	--	--

<h2>12 Igangsatte og planlagte studier</h2>	
<p>12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<h2>13 Diagnostikk</h2>	
<p>13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>13.2 Er testen etablert i klinisk praksis?</p> <p><i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</p> <p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>

<p>13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
---	--

<h2>14 Andre relevante opplysninger</h2>	
<p>14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i></p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene?</p> <p><i>Hvis ja, begrunn kort.</i></p> <p><i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i></p> <p><i>Nærmere informasjon og skjema:</i> Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>14.3 Andre relevante opplysninger?</p>	<p>Referanser:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Dimopoulos MA, et al. N Engl J Med 2028;379(19):1811-22 2. Bringhen S, et al. Leuk Res 2021;104:106576 3. Dimopoulos M. et al Presented at ASH 2020: Presentation #412 4. Nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av myelomatose, Norsk myelomatosegruppe (Mai 2025), handlingsprogram-myelomatose-versjon-1.1-20.05.2025_final.pdf

--	--

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

	<p>ID2019 137, innført fra tredje behandlingslinje). Videre anfører BMS at Elotuzumab-Pd antakelig ikke er dyrere enn relevante komparatorer, og peker spesielt på IsaPd og isatuksimab i kombinasjon med karfilzomib og deksametason (IsaKd, ID2021 009, innført fra andre behandlingslinje).</p> <p>Elotuzumab har også godkjent indikasjon i kombinasjon med lenalidomid og deksametason til behandling av myelomatose hos voksne som har fått minst en tidligere behandling. Denne bruken er metodevurdert og kombinasjonen er besluttet innført til pasienter som har fått minst tre tidligere behandlingslinjer (ID2016 027, ID2018 040).</p>
<p>Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter</p>	<p><u>Plassering i behandlingsalgoritmen</u> Nasjonale faglige retningslinjer for behandling av myelomatose er vanligvis omtalt i Handlingsprogram for Maligne blodsykdommer fra Helsedirektoratet, men kapitlet om Myelomatose er p.t. avpublisert i påvente av nødvendige oppdateringer. Det foreligger et handlingsprogram publisert på legeforeningens nettsider, sist oppdatert i februar 2026.</p> <p>Valg av behandling ved tilbakevendende/refraktær myelomatose avhenger av flere faktorer, som pasientens alder, komorbiditet og organfunksjon, samt respons på og toleranse for tidligere behandling. Ulike legemiddelklasser benyttes sammen i en rekke ulike kombinasjoner, og terapianbefalingene endres i rask takt. Ved valg av ny behandling er det vanlig å bytte/ legge til et medikament med ny virkningsmekanisme.</p> <p>Handlingsprogrammet publisert av legeforeningen anbefaler BVd¹, IsaKd², BPd³ eller DRd⁴ ved første tilbakefall (andre behandlingslinje). Valg mellom disse avhenger av tidligere behandling/refraktærhet, men de to kombinasjonene med belantamab mafoditin anbefales primært. DMP understreker at BPd p.t. ikke er vurdert eller innført i Nye metoder.</p> <p>I tredje behandlingslinje anbefales BPd dersom man i andre linje fikk IsaKd, og IsaPd⁵ dersom man tidligere har fått BVd. Om både CD38-antistoff (isatuksimab, daratumumab) og belantamab mafodotin er gitt tidligere, anbefales PCd⁶ (primært) eller Pd.</p> <p>Innspill fra en medisinsk fagekspert til anmodningen angir at etablert behandling er BVd eller IsaKd i andre linje, og PCd i tredje linje, og peker på alle disse som mulige komparatorer. Elotuzumab-Pd har imidlertid indikasjon først fra tredje behandlingslinje. Fageksperten angir at behandlingen antas å ha bedre effekt enn PCd, og forventer at en eventuell innføring kan erstatte bruk av denne.</p> <p>Europeiske retningslinjer⁷ plasserer Elotuzumab-Pd som et alternativ fra tredje behandlingslinje, sammen med andre pomalidomid-baserte</p>

¹ BVD: Belantamab mafodotin, bortezomib og deksametason

² IsaKd: Isatuksimab, karfilzomib og deksametason

³ BPd: Belantamab mafodotin, pomalidomid og deksametason

⁴ DRd: Daratumumab, lenalidomid og deksametason

⁵ IsaPd: Isatuksimab, pomalidomid og deksametason

⁶ PCd: Pomalidomid, cyklofosfamid og deksametason

⁷ <https://www.nature.com/articles/s41571-025-01041-x>

	<p>tripletter (BPd, IsaPd, DaraPd). Basert på avsnittene over samt innføringstaus i Nye metoder, mener DMP at PCd og IsaPd fremstår som de mest relevante komparatorene for Elotuzumab-Pd.</p> <p>Flere av de omtalte legemidlene/kombinasjonene anbefales gitt i andre doser/ doseringsintervaller enn spesifisert i preparatomtalen, se doseringsanbefalinger for hvert av regimene i handlingsprogrammet publisert hos legeföreningen. Det er ikke angitt avvikende dosering for Elotuzumab-Pd.</p> <p>Leverandør anslår at 100 pasienter årlig vil være aktuell for behandlingen. Dette tilsvarer antallet DMP tidligere har anslått som aktuelle for behandling med IsaPd fra tredje behandlingslinje⁸.</p> <p><u>Effektdokumentasjon</u></p> <p>Effekt og sikkerhet av Elotuzumab-Pd er dokumentert gjennom den kliniske studien ELOQUENT-3, en randomisert, kontrollert, åpen studie av Elotuzumab-Pd (n=60) sammenlignet med Pd (n=57) hos pasienter med tilbakevendende og/eller refraktær myelomatose som hadde fått minst to tidligere behandlinger, inkludert lenalidomid og en proteasomhemmer, og som hadde fått sykdomsprogresjon innen 60 dager av siste behandling. Median alder var 67 år, 57 % av pasientene var menn. 11 (9,4 %) av pasientene hadde høyrisiko myelom. Median antall tidligere behandlinger var 3. Tidligere behandlinger inkluderte stamcelletransplantasjon (55 %), bortezomib (100 %), lenalidomid (99 %), cyklofosamid (66 %), melfalan (63 %), karfilzomib (21 %) iksazomib (6 %) og daratumumab (3 %).</p> <p>Etter en oppfølgingstid på minimum 9,1 måneder, var median PFS (vurdert av blindet, uavhengig komite) 10,25 måneder i intervensjonsgruppen mot 4,70 måneder i komparatorgruppen. Hazard ratio (HR) 0,51 (95% KI: 0,32-0,82). Endelig analyse av totaloverlevelse etter en oppfølgingstid på minimum 45 måneder viste en statistisk signifikant forlenget overlevelse i intervensjonsgruppen. Median OS var 29,8 måneder i intervensjonsgruppen sammenlignet med 17,4 måneder i komparatorgruppen. HR 0,59 (95% KI: 0,37-0,93).</p> <p>DMP kjenner ikke til at det foreligger direkte sammenlignende data av Elotuzumab-Pd mot IsaPd eller PCd.</p> <p>IsaPd er sammenlignet med Pd i ICARIA-MM (n=307), som inkluderte en lignende pasientpopulasjon som ELOQUENT-3. Median PFS var 11,53 i intervensjonsgruppen mot 6,47 måneder i komparatorgruppen. HR 0,596 (95% KI: 0,468-8,279). Median OS var 24,6 måneder i intervensjonsgruppen sammenlignet med 17,7 måneder i komparatorgruppen. HR 0,776 (95% KI: 0,594-1,015).</p>
<p>Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)</p>	<p>DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen. DMP mener opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.</p> <p>Legemidlet har vært på markedet lenge og gis i kombinasjon med generiske legemidler. En prissammenligning mot andre pomalidomid-tripletter synes rimelig.</p>

⁸ [id2019_137_isatuksimab_sarclisa_kombinasjon_myelomatose-3-linje_metodevurdering_offentlig-versjon.pdf](#)

--	--

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.

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_ xxx)

ID2018_126 - Elotuzumab (Empliciti) som kombinasjonsbehandling med pomalidomid og deksametason ved refraktær eller relapserende myelomatose.

Spørsmål	Faglige innspill
<p>1. Dagens behandling – alternativ</p> <p>- Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag?</p> <p>- Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering?</p> <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p>	<p>Etablert behandling:</p> <ul style="list-style-type: none"> - 2. linje: Bela-Vd eller Isa-Kd. - 3. linje: Syklofosamid-Pd - 4. linje: Teklistamab eller elranatamab <p>Komparator bør være Bela-Vd eller Isa-Kd i 2. linje. Det bør også gjøres en vurdering med syklofosamid-Pd i 3. linje mtp innføring i den linjen.</p>
<p>2. Plass i norsk klinisk praksis</p> <p>- Er det klinisk behov for metoden?</p> <p>- Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?</p> <p>Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p>	<p>Det er klinisk behov i 3. linje. Behandlingen antas å gi bedre respons enn syklofosamid-Pd. Behandlingen kan dermed erstatte anbefaling om syklofosamid-pomalidomid-deksametason i 3. linje.</p>
<p>3. Pasientpopulasjonen i Norge</p> <p>- Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?</p>	<p>Nei.</p>

<p>4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?</p>	<p>Nei.</p>
<p>5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?</p>	<p>Ikke aktuelt.</p>

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv 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).

U.t. har ikke mottatt honorar fra og har ingen annen direkte økonomisk binding til produsentene av noen av legemidlene som vurderes i metoden. U.t. har dog mottatt honorar for foredrag fra Johnson & Johnson, honorar for møter med GSK og prosjektstøtte fra GSK. Johnson & Johnson og GSK lager legemidler som er nevnt i punkt 1 om etablert behandling.

7. Avsender av faglig innspill

<p>Sykehus</p>	<p>Akershus Universitetssykehus</p>
<p>Avdeling</p>	<p>Hematologisk avdeling</p>
<p>Representert ved: Fagperson (navn og stilling)</p>	<p>Øyvind Mikkelsen Ottestad, overlege</p>
<p>Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):</p>	<p><input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):</p>	<p><input checked="" type="checkbox"/></p>

Saksnummer 054-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2026_005 Lurbinektedin (Zepzelca) og atezolizumab (Tecentriq) i kombinasjon til vedlikeholdsbehandling av voksne med utbredt småcellet lungekreft hvor sykdommen ikke har utviklet seg etter førstelinje induksjonsbehandling med atezolizumab, karboplatin og etoposid.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er Immedica Pharma AB på vegne av leverandøren som har søkt om markedsføringstillatelse (MT): PharmaMar.
- Anmodningen gjelder et nytt virkestoff: Lurbinektedin.
- Legemidlet omfattes av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i felles europeisk prosess (Health Technology Assessment Regulation (HTAR)-samarbeidet).
- Forventet tidspunkt for CHMP-opinion i EMA (måned/år): mars 2026.
- Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): juni 2026.
- Legemidlet har «orphan drug designation» i EMA (det europeiske legemiddelbyrået).
- Leverandøren er kjent med at Nye metoder har behandlet følgende legemiddel/virkestoff til samme eller lignende indikasjon: [ID2019_044](#), [ID2020_010](#) og [ID2024_076](#).
- Dagens behandling: For pasienter med utbredt småcellet lungekreft (ES-SCLC) brukes i dag atezolizumab i kombinasjon med kjemoterapi (karboplatin og etoposid) som standard førstelinje induksjonsbehandling, etterfulgt av vedlikeholdsbehandling med atezolizumab monoterapi.
- Plass i behandlingen: Lurbinektedin forventes å være et tillegg («add-on») til dagens behandling.
- Pasientgrunnlag: Anslår at 80–100 pasienter årlig vil være kandidater for lurbinektedin.
- Type helseøkonomisk analyse: Leverandøren foreslår en kostnad-per-QALY-analyse, begrunnet med at lurbinektedin i kombinasjon med atezolizumab viser bedre effekt på progresjonsfri overlevelse og totaloverlevelse sammenlignet med dagens standardbehandling.
- Forventet tidspunkt for levering av dokumentasjon til DMP: juli–september 2026 (avhengig av når Joint Clinical Assessment (JCA) blir ferdig gjennom HTAR-samarbeidet).

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnehetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Metoden er omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)
- Fikk positiv opinion fra det vitenskapelige komitéen i det Europeiske legemiddelbyrået (EMA) 26. mars 2026.
- Vurdering fra DMP:
 - o Det foreligger en randomisert, åpen, fase III-studie i aktuell pasientpopulasjon, som sammenlikner vedlikeholdsbehandling med lurbinektedin i kombinasjon med atezolizumab versus atezolizumab monoterapi, etter førstelinje induksjonsbehandling (atezolizumab, karboplatin og etoposid). Komparator anses som relevant i henhold til norsk klinisk praksis.
 - o Metoden er egnet for en utredning gjennom det nordiske HTA-samarbeidet JNHB (Joint Nordic HTA-Bodies).
- Anbefaling fra DMP:
 - o DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse).
 - o DMP anbefaler utredning gjennom det nordiske HTA-samarbeidet JNHB.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: 1 innspill.
- Helse Vest RHF: 1 innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Kan påvirke krefthandlingsprogrammet for lungekreft.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret ble plassert hos RHF-ene 01.11.2025.

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av):

Fyll ut dato for innsending av skjema: 16.01.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	PharmaMar Avenida de los Reyes, 1 – Pol. Ind. La Mina 28770 Colmenar Viejo, Madrid, Spain
1.2 Navn kontaktperson	Maria Julian Esquivias
1.3 Stilling kontaktperson	International Marketing Associate Director, Marketing & Sales / Oncology Business Unit
1.4 Telefon	+34 91 846 60 00
1.5 E-post	mjulian@pharmamar.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Immedica Pharma AB Martin Ramström General Manager Nordic-Baltic
1.7 Telefon og e-post	+46 70 683 55 62 martin.ramstrom@immedica.com

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	Et nytt virkestoff <input checked="" type="checkbox"/> En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon <input type="checkbox"/> En ny styrke eller formulering <input type="checkbox"/>

<p>2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?</p> <p><i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i></p> <p><i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i></p>	<p>Forventet indikasjon (norsk): Lurbinectedin i kombinasjon med atezolizumab er indisert for vedlikeholdsbehandling av voksne pasienter med omfattende småcellet lungekreft hvis sykdom ikke har utviklet seg etter førstelinjeinduksjonsbehandling med atezolizumab, karboplatin og etoposid.</p> <p>Forventet indikasjon (engelsk): Lurbinectedin in combination with atezolizumab, is indicated for the maintenance treatment of adult patients with extensive-stage small-cell lung cancer whose disease has not progressed after first-line induction therapy with atezolizumab, carboplatin and etoposide.</p>
<p>2.3 Handelsnavn</p>	<p>Zepzelca</p>
<p>2.4 Generisk navn/virkestoff</p>	<p>Lurbinectedin</p>
<p>2.5 ATC-kode</p>	<p>L01XX69</p>
<p>2.6 Administrasjonsform og styrke</p> <p><i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstidslengde</i></p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>For injection IV use: Lurbinectedin (3.2 mg/m²) + atezolizumab once every three weeks until disease progression or unacceptable toxicity.</p>
<p>2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme.</p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Lurbinectedin is an antineoplastic agent. Lurbinectedin is a DNA-binding alkylating agent which inhibits transcription in tumor cells, causing DNA damage and cell death. Lurbinectedin has also shown in preclinical experiments to have an effect on the tumor microenvironment.</p>

<h3>3 Historikk – virkestoff og indikasjon</h3>	
<p>3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: ID2019_044, ID2020_010, ID2024_076</p>

<i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	
3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng? <i>Hvis ja, oppgi referanse</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Referanse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring	
4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner? <i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Dato for MT for første indikasjon: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.
4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/>
4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon? <i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i> <i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i> <i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i>	MT i Norge: Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Prosedyrenummer i EMA: EMA/H/C/006673 Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): 03/2026 Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): 06/2026 Hvis metoden har MT: Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.
4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon? <i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Beskrivelse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/>

4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA? <i>Hvis ja, fyll ut dato</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Dato for «orphan drug designation»: 26.02.2019
---	--

5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/>
--	---

6 Sammenlignbarhet og anbud

6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Kommentar: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen? <i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Legemiddel og ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Kommentar: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)

7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB? <i>Hvis nei, begrunn kort</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Begrunnelse: No. Guidelines for first-line treatment of ES-SCLC in Finland are different from the other Nordic countries, and atezolizumab is not reimbursed in Finland.
---	--

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)	
8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)? <i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Dato for søknad til EMA: 17/12 2025

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse	
9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	Cost-per-QALY analysis will be submitted since lurbinectedin in combination with atezolizumab has a better effect on progression-free survival and overall survival compared with current standard of care for this indication in Norway (atezolizumab maintenance monotherapy).
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	The health economic analysis includes adult patients with extensive-stage small cell lung cancer (ES-SCLC) whose disease has not progressed after first-line induction therapy with atezolizumab, carboplatin and etoposide
9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.) <i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i>	The analysis will be based on the H2H study IMforte (NCT05091567).
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Estimated budget impact will be included in dossier.
9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF. <i>Tidspunkt må oppgis</i>	July - September 2026. Uncertain when JCA report will be available.

10 Sykdommen og eksisterende behandling

10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon

Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser

SCLC is a high-grade neuroendocrine carcinoma characterized by a biallelic inactivation of both tumor suppressor genes *RB1* and *TP53*. Due to the aggressive nature of SCLC, the majority of patients are diagnosed with extensive stage disease (García-Campelo et al. 2023, Ocak et al. 2021). Clinical presentation of SCLC is diverse and reflects both the location of the primary tumour and the presence of metastatic disease or paraneoplastic syndromes (immune-mediated reactions or ectopic hormone production occurring in the context of the malignancy) (Kanaji et al. 2014, van Meerbeeck et al. 2011). Presenting symptoms may include persistent cough, weight loss, or dyspnoea. Additional manifestations include superior vena cava syndrome (characterized by upper body oedema and facial flushing), oesophageal compression leading to dysphagia, and recurrent laryngeal nerve involvement resulting in hoarseness or left vocal cord paralysis (Dingemans et al. 2021, National Comprehensive Cancer Network 2025, Society for diagnosis and therapy of haematological and oncological diseases 2023).

Systemic symptoms, including fatigue, anorexia, and unintentional weight loss, are often present and reflect the high metastatic potential of SCLC. Neurological complaints may occur secondary to either metastatic involvement or paraneoplastic syndromes. The most frequent sites of distant metastasis include the brain, liver, adrenal glands, bone, and bone marrow (National Comprehensive Cancer Network 2025).

Factors that indicate a poor prognosis for ES-SCLC include high Eastern Cooperative Oncology Group (ECOG) performance status (PS), weight loss, presence of liver or brain metastases, and markers associated with excessive bulk of disease such as elevated lactate dehydrogenase (Dingemans et al. 2021)

References:

García-Campelo, et al 2023. SEOM-GECP Clinical guidelines for diagnosis, treatment and follow-up of small-cell lung cancer (SCLC) (2022). *Clin Transl Oncol*, 25, 2679-2691.
 Ocak, et al. 2021. Lung Cancer in Belgium. *J Thorac Oncol*, 16, 1610-1621

	<p>Kanaji, et al. 2014. Paraneoplastic syndromes associated with lung cancer. <i>World J Clin Oncol</i>, 5, 197-223.</p> <p>van Meerbeeck, et al. 2011. Small-cell lung cancer. <i>Lancet</i>, 378, 1741-55.</p> <p>Dingemans, et al. 2021. Small-cell lung cancer: ESMO Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up. <i>Ann Oncol</i>, 32, 839-853.</p> <p>National Comprehensive Cancer Network 2025. NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology Small Cell Lung Cancer Version 4.2025 — January 13, 2025.</p>
<p>10.2 Fagområde</p> <p><i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i></p>	<p>Velg fagområde fra menyen:</p> <p>Kreftsykdommer</p>
<p>10.3 Kreftområde</p> <p><i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i></p>	<p>Velg kreftområde fra menyen:</p> <p>Lungekreft</p>
<p>10.4 Dagens behandling</p> <p><i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i></p>	<p>For ES-SCLC patients, atezolizumab in combination with chemotherapy (carboplatin and etoposide) is currently used as standard induction treatment followed by atezolizumab monotherapy as maintenance therapy (approved by Beslutningsforum 27.09.2021).</p> <p>Lung cancer guidelines from Helsedirektoratet (May 2025):</p> <p>Anbefaling – kjemoimmunterapi ES-SCLC</p> <ul style="list-style-type: none"> • Førstelinje behandling er fire kurer karboplatin-etoposid sammen med atezolizumab, etterfulgt av atezolizumab hver 3. uke. • Selv ved ECOG 3 bør kjemoterapi vurderes hvis redusert allmenntilstand er klart relatert til pasientens lungekreft, men nytteverdien er sannsynligvis begrenset ved PS >1. Immunterapi kan ev. legges til om allmenntilstanden bedres. • Inklusjon i kliniske studier kan være aktuelt.
<p>10.5 Prognose</p> <p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p>	<p>ES-SCLC is one of the most aggressive and lethal forms of lung cancer, characterized by rapid tumour growth and high relapse rates. Despite initial sensitivity to platinum-based chemotherapy, disease recurrence typically occurs within months, and long-term survival is poor with a median progression-free survival of</p>

	<p>approximately 5 months and median overall survival of approximately one year from start of induction treatment (Dingemans, et al. 2021)</p> <p>Atezolizumab was evaluated in the phase 3 IMpower133 study (NCT02763579) comparing atezolizumab + chemotherapy with placebo + chemotherapy. Patients treated with atezolizumab + chemotherapy had a median overall survival (OS) of 12.3 months (Horn et al. 2018)</p> <p>References:</p> <p>Dingemans, et al. 2021. Small-cell lung cancer: ESMO Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up. <i>Ann Oncol</i>, 32, 839-853</p> <p>Horn et al. First-Line Atezolizumab plus Chemotherapy in Extensive-Stage Small-Cell Lung Cancer. <i>N Engl J Med</i>. 2018 Dec 6;379(23):2220-2229.</p>
<p>10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen</p>	<p>Lurbinectedin is expected to constitute an add-on treatment to the existing treatment algorithm (atezolizumab monotherapy in maintenance phase after first-line induction with carboplatin and etoposide).</p>
<p>10.7 Pasientgrunnlag</p> <p><i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i></p> <p><i>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</i></p> <p><i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i></p>	<p>There were 3435 new cases with lung cancer in 2024 in Norway. Around 15% av all lung cancers are SCLC (Rudin et al. 2021).</p> <p>Based on the assumptions in ID2019_044 (atezolizumab), around 65% of these have extensive stage SCLC, and 85% of those receive first line treatment.</p> <p>About 2/3 of ES-SCLC patients will receive induction therapy with atezolizumab, carboplatin and etoposide. 1/3 of patients will receive chemo therapy only (Norwegian LC experts)</p>

	<p>In the IMforte trial, around 27% progressed or discontinued treatment during induction phase with atezolizumab, carboplatin and etoposide (Paz-Ares L, et al. 2025)</p> <p>Thus, it is estimated that a total of 135-145 patients yearly will be relevant for maintenance treatment following the induction phase.</p> <p>As not all of these patients may tolerate or prefer lurbinectedin as add on to atezolizumab, we estimate 80-100 patients yearly could be candidates for lurbinectedin treatment.</p> <p>References: Rudin et al 2021, Small-cell lung cancer. Nat Rev Dis Primers. Jan 14;7(1):3).</p> <p>Paz-Ares L, et al. Efficacy and safety of first-line maintenance therapy with lurbinectedin plus atezolizumab in extensive-stage small-cell lung cancer (IMforte): a randomised, multicentre, open-label, phase 3 trial. Lancet. 2025 Jun 14;405(10495):2129-2143).</p> <p>Norwegian oncologists and lung cancer experts</p>
--	---

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	IMforte NCT05091567 https://clinicaltrials.gov/study/NCT05091567	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.2 Studietype og -design	Phase III, randomized, open-label, multicenter study	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	To compare the efficacy and safety of lurbinectedin combined	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	<p>with atezolizumab versus atezolizumab for the maintenance treatment of ES-SCLC in patients whose disease had not progressed after first-line induction treatment with atezolizumab, carboplatin, and etoposide.</p>		
<p>11.4 Populasjon</p> <p><i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i></p>	<p>Inclusion criteria for the maintenance phase:</p> <ul style="list-style-type: none"> • ECOG PS of 0 or 1 • Ongoing response or stable disease per RECIST 1.1 after 4 cycles of induction therapy • Toxicities attributed to prior induction anti-cancer therapy or PCI resolved to Grade \leq1 • Adequate hematologic and end-organ function <p>Exclusion criteria for the maintenance phase:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Presence or history of CNS metastases • Receiving consolidative chest radiation • Severe infection within 2 weeks prior to randomization 	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

	<p>into the maintenance</p> <ul style="list-style-type: none"> • Treatment with therapeutic oral or IV antibiotics at the time of randomization 		
<p>11.5 Intervensjon (n)</p> <p><i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i></p>	<p>Lurbinectedin 3.2 mg/m² administered intravenously on Day 1 of each 21-day cycle in the maintenance phase.</p> <p>In combination with atezolizumab administered intravenously at a fixed dose of 1200 mg on Day 1 of each 21-day cycle in the maintenance phase.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.6 Komparator (n)</p> <p><i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i></p>	<p>Atezolizumab administered intravenously at a fixed dose of 1200 mg on Day 1 of each 21-day cycle in the maintenance phase.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.7 Endepunkter</p> <p><i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon,</i></p>	<p>Primary outcomes:</p> <p>Independent Review Facility (IRF)-Assessed Progression-Free Survival (PFS) defined as the time from randomization to the</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<p><i>målemetode og ev. tidspunkt for måling</i></p>	<p>date of first documented disease progression (as assessed by the IRF according to RECIST v1.1), or death whichever occurs first.</p> <p>Overall survival (OS) defined as the time from randomization to the date of death from any cause.</p> <p>Key secondary and exploratory outcomes:</p> <p>Investigator-Assessed PFS defined as the time from randomization to the first occurrence of disease progression as determined by the investigator according to RECIST v1.1, or death from any cause (whichever occurs first).</p> <p>Confirmed objective response rate (ORR) defined as the proportion of randomized participants with a CR or PR on two consecutive occasions ≥ 4 weeks apart after randomization, as determined by the IRF according to RECIST v1.1.</p> <p>Duration of Response (DOR) (for participants with a confirmed objective response) defined as the time from the first occurrence of a documented confirmed objective response after randomization until disease progression as determined by the IRF</p>		
--	--	--	--

	according to RECIST v1.1, or death from any cause, whichever occurs first.		
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	Pre-defined subgroups included: age (<65 ≥65), sex, region, race, ethnicity, tobacco use history, liver metastases, prior prophylactic cranial irradiation, ECOG (0/1), lactate dehydrogenase, response to induction therapy	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.9 Oppfølgingstid <i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i>	Approximately 24 months of follow-up will be available for evaluation. Total follow-up at the end of the study will be approximately 60 months.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.10 Tidsperspektiv resultater	The study is ongoing, primary analysis was published in June 2025	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>			
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Efficacy and safety of first-line maintenance therapy with lurbinectedin plus atezolizumab in extensive-stage small-cell lung cancer (IMforte): a randomised, multicentre, open-label, phase 3 trial Paz-Ares et al. Lancet 2025	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

12 Igangsatte og planlagte studier	
12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden? <i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

13 Diagnostikk	
13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør? <i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/>

<p>13.2 Er testen etablert i klinisk praksis?</p> <p><i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</p> <p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
<p>13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<h2>14 Andre relevante opplysninger</h2>	
<p>14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i></p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fagekspert i Nye metoder)</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Clinical experts Terje Halvorsen (Trondheim), Björn Henning Grönberg (Trondheim) and Vilde Drageset Haakensen (Oslo) have provided medical expert input on the interpretation of IMforte study data to Immedica</p>
<p>14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene?</p> <p><i>Hvis ja, begrunn kort.</i></p> <p><i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i></p> <p><i>Nærmere informasjon og skjema:</i> Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>There might be uncertainties regarding treatment duration and long-term effects in the Norwegian clinical population eligible for the medicine. An alternative to the flat discount agreement may therefore be relevant. Immedica is open to discuss alternatives with Sykehusinnkjøp.</p>
<p>14.3 Andre relevante opplysninger?</p>	<p>In line with the expected indication, treatment with lurbinectedin plus atezolizumab requires an induction phase with atezolizumab. Approval of the combination may therefore influence future procurement processes.</p>

--	--

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

mesoteliom og thymom, og ikke-kurativ behandling av metastatisk SCLC og utbredt sykdom er omtalt spesifikt ³. Førstelinjebehandling er kombinasjonskjemoterapi med karboplatin og etoposid sammen med atezolizumab (4 kurer) (induksjonsbehandling), etterfulgt av vedlikeholdsbehandling med atezolizumab monoterapi hver 3. uke ⁴. Selv ved ECOG 3 bør kjemoterapi vurderes hvis redusert allmenntilstand er klart relatert til pasientens lungekreft, men det angis at nytteverdien sannsynligvis er begrenset ved ECOG >1. Immunterapi kan ev. legges til om allmenntilstanden bedres. Inklusjon i kliniske studier kan være aktuelt. Også eldre pasienter i god allmenntilstand bør motta standard kjemoimmunoterapi, eventuelt med reduserte doser eller eventuelt monoterapi med oralt etoposid. Palliativ strålebehandling kan også være et alternativ. Pasienter i god allmenntilstand bør vurderes for 2. linjebehandling. Ved sent residiv (>3 mnd. etter avsluttet primærbehandling) anbefales det å reintrodusere tidligere cytostatikabehandling, mens ved tidlig residiv vil ACO⁵ (ev. karboplatin-irinotekan eller oralt topotekan) være aktuelt. Torakal strålebehandling er effektivt ved plagsomme tumorrelaterte symptomer fra toraks.

Behandling med durvalumab (Imfinzi) i kombinasjon med etoposid og enten karboplatin eller cisplatin er besluttet innført av Beslutningsforum for nye metoder til førstelinjebehandling av voksne pasienter med utbredt SCLC (ID2020_010⁶). Det samme er kombinasjonsbehandling med tislelizumab (Tevimbra) (ID2025_060). Innføringene er knyttet til en pris-volum-avtale, og så lenge det eksisterer volumavtale for dette bruksområdet, skal kun vinner av aktuell sammenligningsgruppe (ES-SCLC) benyttes. Det framgår av Sykehusinnkjøp sine til enhver tid gjeldende anbefalinger hvilket legemiddel som skal benyttes for nye pasienter til den aktuelle indikasjonen.

Effekt og sikkerhet av lurbinectedin er undersøkt i en randomisert, åpen, fase III-studie (IMforte). I studien blir pasientene behandlet med enten lurbinectedin i kombinasjon med atezolizumab eller atezolizumab monoterapi, som vedlikeholdsbehandling hos pasienter med utbredt SCLC og uten sykdomsprogresjon etter 4 sykluser/kurer induksjonsbehandling (atezolizumab, karboplatin og etoposid). Det er to primære effektmål i studien; progresjonsfri overlevelse (PFS) og totaloverlevelse (OS), i tillegg undersøkes sikkerhet (bivirkninger). Studien pågår fortsatt, men er lukket for videre inklusjon og foreløpige resultater er publisert ⁷. Resultatene viser en statistisk signifikant forbedring i PFS og OS for pasienter behandlet med kombinasjonen lurbinectedin + atezolizumab sammenliknet med atezolizumab monoterapi (52 % hendelsesrate for OS). Men det er høyere forekomst av alvorlige bivirkninger (grad ≥ 3) blant pasientene som blir behandlet med kombinasjonen lurbinectedin + atezolizumab sammenliknet med

³ Helsedirektoratet (2026). Nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av lungekreft, mesoteliom og thymom [nettdokument]. Oslo: Helsedirektoratet (siste faglige endring 19.01.2026). Tilgjengelig fra

[Lungekreft, mesoteliom og thymom – handlingsprogram - Helsedirektoratet](#)

⁴ Besluttet innført 27.09.2021 av Beslutningsforum for nye metoder ([ID2019_044](#)). Innføringen er knyttet til en pris-volum-avtale.

⁵ Cellegiftkombinasjonen doksorubicin, syklofosamid og vinkristin

⁶ Se Nye Metoder [ID2020_010](#)

⁷ Paz-Ares L et al. Efficacy and safety of first-line maintenance therapy with lurbinectedin plus atezolizumab in extensive-stage small-cell lung cancer (IMforte): a randomised, multicentre, open-label, phase 3 trial. *Lancet* 2025; 405: 2129-43.

	atezolizumab som monoterapi, bl.a. i forekomsten av myelosuppresjon (nøytropeni og leukopeni).
Preliminær PICO⁸	<p>P: I tråd med endelig godkjent indikasjon.</p> <p>I: Lurbinektedin i kombinasjon med atezolizumab gitt som vedlikeholdsbehandling etter standard induksjonsbehandling, og brukt i tråd med anbefalt dosering i de godkjente preparatomtalene. Det antas at dette vil tilsvare doseringen som ble benyttet i den pivotale kliniske studien (IMforte) (se «Forventet dosering»).</p> <p>C: Dagens standard førstelinjebehandling, som består av kjemoimmunterapi (per i dag karboplatin + etoposid + atezolizumab) som gis som induksjonsbehandling (4 sykluser/kurer), etterfulgt av vedlikeholdsbehandling med (per i dag) atezolizumab monoterapi hver 3. uke. Hvilken immunterapi som primært benyttes vil styres av gjeldende anbefaling i anbud.</p> <p>O: Overlevelse (PFS, OS), helserelatert livskvalitet og ressursbruk.</p>
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	<p>Det foreligger en randomisert, åpen, fase III-studie i aktuell pasientpopulasjon, som sammenlikner vedlikeholdsbehandling med lurbinektedin i kombinasjon med atezolizumab versus atezolizumab monoterapi, etter førstelinje induksjonsbehandling (atezolizumab, karboplatin og etoposid). Komparator anses som relevant i henhold til norsk klinisk praksis.</p> <p>Metoden er egnet for en utredning gjennom det nordiske HTA-samarbeidet JNHB.</p>
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse). DMP anbefaler utredning gjennom det nordiske HTA-samarbeidet JNHB.

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.

⁸ Pasientpopulasjon, intervensjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_005 Lurbinektedin (Zepzelca) og atezolizumab (Tecentriq) i kombinasjon til vedlikeholdsbehandling av voksne med omfattende småcellet lungekreft. Til bruk hos pasienter hvor sykdom ikke har utviklet seg etter førstelinjeinduksjonsbehandling med atezolizumab, karboplatin og etoposid.

Spørsmål	Faglige innspill
<p>1. Dagens behandling – alternativ</p> <p>- Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag?</p> <p>- Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering?</p> <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p>	<p>Atezolizumab i monoterapi</p> <p>Atezolizumab monoterapi</p>
<p>2. Plass i norsk klinisk praksis</p> <p>- Er det klinisk behov for metoden?</p> <p>- Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?</p> <p>Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p>	<p>Ja</p> <p>I tillegg til atezolizumab</p> <p>Småcellet lungekreft er alvorlig med kort forventet levetid. Lite endring i behandling sml. med f.eks adenocarcinom. Ønskelig med nye behandlingsalternativ som kan øke overlevelse</p>
<p>3. Pasientpopulasjonen i Norge</p> <p>- Har du kommentarer til pasientpopulasjonen</p>	<p>Aktuelt for ca 200-300 pasienter????</p>

som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv 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).

Ingen

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	Ahus HF
Avdeling	Lunge
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Anne Siri Gløersen
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_005 Lurbinectedin (Zepzelca) og atezolizumab (Tecentriq) i kombinasjon til vedlikeholdsbehandling av voksne med omfattende småcellet lungekreft.

Spørsmål	Faglige innspill
<p>1. Dagens behandling – alternativ</p> <p>- Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag?</p> <p>- Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering?</p> <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p>	<p>Atezolizumab monoterapi etter 4 innledende kurer md kjemoimmunterapi (carboplatin, Vepesid, Atezolizumab)</p> <p>ID2019_044</p> <p>Atezolizumab</p>
<p>2. Plass i norsk klinisk praksis</p> <p>- Er det klinisk behov for metoden?</p> <p>- Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?</p> <p>Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p>	<p>Usikker, muligens i påvente av senere godkjenning av Tarlatamab</p> <p>Pr dags dato vil det komme i tillegg til Atezolizumab vedlikeholdsbehandling</p>
<p>3. Pasientpopulasjonen i Norge</p> <p>- Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?</p>	<p>Tallene (antall pasienter med SCLC, utbredt sykdom, som har startet med den ovenfor skisserte behandlingen) er tilgjengelige via lungekreftregisteret</p>

4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv 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).

Ingen økonomiske interesser, medlem av fagråd lungekreftregisteret, medlem av handlingsprogramgruppen lungekreft

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	SUS
Avdeling	lunge
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Martin Petersen
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>

Saksnummer 055-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2026_007 Belantamabmafodotin (Blenrep) i kombinasjon med pomalidomid og deksametason, til behandling av residiverende eller refraktær myelomatose hos pasienter som har fått minst én tidligere behandling inkludert lenalidomid.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren som har markedsføringstillatelse (MT): GSK.
- Anmodningen gjelder en ny kombinasjon av virkestoff.
- Pasientgrunnlag: Om lag 250–300 pasienter årlig er aktuelle for andrelinjebehandling. Pasientgrunnlaget for BelaPd anslås å være rundt 75–90 pasienter per år.
- Leverandør viser til at de kliniske resultatene fra den pivotale DREAMM-8-studien indikerer at kombinasjonen BelaPd har sammenlignbar effekt med kombinasjonene IsaKd og DaraKd, samt på nivå med kombinasjonen BelaVd ([ID2024_049](#)) i tilsvarende pasientpopulasjon.
- Tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) i Norge for indikasjonen: 23.07.2025.
- Forventet tidspunkt for levering av dokumentasjon til DMP: Leverandør viser til pristilbud for ID2024_049. Dersom det skal leveres dokumentasjon til DMP, ventes det å kunne leveres i april 2026.
- Leverandør foreslår prisnotat basert på sammenlignbar effekt mot IsaKd. Det er eventuelt mulig å levere en kostnad-nytte-analyse.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet til tidlig faglig vurdering.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Belantamab mafodotin har også godkjent indikasjon i kombinasjon med bortezomib og deksametason (BVd) hos pasienter som har fått minst 1 tidligere behandling. Denne kombinasjonen er besluttet innført i Nye metoder ([ID2024_049](#)), under vilkår om dosering hver 8. uke (tilsvarende doseringen angitt i handlingsprogrammet publisert på legeforeningens nettsider).
- Anbefalt dosering i handlingsprogrammet avviker fra studien og DMP påpeker at nytte-rikkeforholdet ved en slik dosering ikke er etablert/kjent.
- DMP har i en tidligere metodevurdering anslått at om lag 250-300 myelomatosepasienter årlig er aktuelle for andrelinjebehandling, og la til grunn at i underkant av 100 nye pasienter årlig ville bli behandlet med IsaKd, da denne metoden ble vurdert. Innspill fra det medisinske fagmiljø anslår at aktuelle pasienter for behandling med BpD er i samme størrelsesorden.
- Anbefaling fra DMP: DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen. Gitt nivå på bestilling i tidligere, liknende saker mener DMP at opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være hensiktsmessig som beslutningsstøtte også i denne saken.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.

- Helse Sør-Øst RHF: 1 innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- Norsk hematologisk selskap: 1 innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Ingen nasjonale handlingsprogram eller retningslinjer påvirkes pt.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret plassert hos RHF-ene 1.10.2020.

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av):

Fyll ut dato for innsending av skjema: 21.01.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	GlaxoSmithKline AS (GSK)
1.2 Navn kontaktperson	Marianne Klausen
1.3 Stilling kontaktperson	Leder for avdeling for markedstilgang
1.4 Telefon	+47 45231908
1.5 E-post	marianne.x.klausen@gsk.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.7 Telefon og e-post	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	Et nytt virkestoff <input type="checkbox"/> En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon <input checked="" type="checkbox"/> En ny styrke eller formulering <input type="checkbox"/>
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Blenrep (belantamabmafodotin) for behandling av residiverende eller refraktær myelomatose i kombinasjon med pomalidomid og deksametason hos pasienter som

<p><i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i></p> <p><i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i></p>	<p>har fått minst én tidligere behandling inkludert lenalidomid.</p>
<p>2.3 Handelsnavn</p>	<p>Blenrep</p>
<p>2.4 Generisk navn/virkestoff</p>	<p>belantamabmafodotin</p>
<p>2.5 ATC-kode</p>	<p>L01FX15</p>
<p>2.6 Administrasjonsform og styrke</p> <p><i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i></p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>100 mg og 70 mg pulver til konsentrat til infusjonsvæske, oppløsning</p> <p>Behandling til progresjon.</p> <p>Oppstartsdosering er iht. SPC 2,5 mg/kg i syklus 1, og 1,9 mg/kg fra syklus 2 og utover. I SPC er anbefalt sykluslengde 28 dager, men det presiseres at dosejusteringer er nødvendig for nesten alle pasienter for å håndtere sikkerhet og tolerabilitet. Gjennomsnittlig doseringsintervall i den pivotale kliniske studien (DREAMM-8) var 9,5 uker. Effekten ble opprettholdt ved økninger i doseringsintervall.</p> <p>En sykluslengde på 56 dager/8 uker vil bli anbefalt ved oppstart i Handlingsprogrammet for maligne blodsykdommer og benyttet i klinisk praksis. Denne doseringen er implementert og i klinisk bruk i pågående compassionate use-program for Blenrep. Ved eventuelle bivirkninger vil ytterligere dosejusteringer være anbefalt.</p>
<p>2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme.</p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Blenrep er et antistoff-legemiddel-konjugat (ADC) som spesifikt binder seg til B-celle modningsantigen (BCMA) uttrykt på maligne plasmaceller. Kjemoterapidelen av legemidlet fører til stans i cellecyklus og antistoffdelen av legemidlet aktiverer immunresponser, dette fører til at kreftcellene går til grunne (apoptose).</p>

3 Historikk – virkestoff og indikasjon	
3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> ID-nummer: ID2020_055 og ID2024_049. Det er relevant å se denne anmodningen i sammenheng med ID2024_049.
3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> ID-nummer: ID2021_009 Isatuksimab (Sarclisa) - Indikasjon II (kombinasjonsbehandling med karfilzomib og deksametason) ID2019_122 Daratumumab (Darzalex), karfilzomib (Kyprolis) og deksametason ID2019_024 Pomalidomid, bortezomib og deksametason ID2017_011 Daratumumab, bortezomib og deksametason ID2016_039 Karfilzomib (Kyprolis) og deksametason ID2015_005 Karfilzomib (Kyprolis) (kombinasjonsbehandling med lenalidomid og deksametason) ID2017_051 Lenalidomid - Indikasjon IV
3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng? <i>Hvis ja, oppgi referanse</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Referanse: Pågående vurdering i UK, kan bli ferdigstilt innen kort tid. Se Project documents Belantamab mafodotin with pomalidomide and dexamethasone for treating relapsed or refractory multiple myeloma after 1 or more treatments ID6211 Guidance NICE

4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring	
4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner? <i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Dato for MT for første indikasjon: 23.07.2025
4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/>
4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon? <i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i>	MT i Norge: Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Prosedyrenummer i EMA: EU/1/25/1948/001 EU/1/25/1948/002

<p><i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i></p>	
<p><i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i></p>	<p>Hvis metoden ikke har MT:</p> <p>Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p> <p>Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p> <p>Hvis metoden har MT:</p> <p>Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: 23.07.2025</p>
<p>4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Beskrivelse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for «orphan drug designation»: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>

5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

<p>5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
---	---

6 Sammenlignbarhet og anbud

<p>6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
--	--

tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?	Kommentar: Det er ingen andre enkeltvirkestoff som har lignende virkningsmekanismer, men de kliniske resultatene fra den pivotale DREAMM-8-studien indikerer at kombinasjonen BelaPd har sammenlignbar effekt med kombinasjonene IsaKd og DaraKd, samt på nivå med kombinasjonen BelaVd (ID2024_049) i tilsvarende pasientpopulasjon.
6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen? <i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Legemiddel og ID-nummer: ID2021_009: Isatuksimab i kombinasjon med karfilzomib og deksametason.
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Kommentar: Siden ingen enkeltvirkestoffer har tilsvarende virkningsmekanisme og effekt som Blenrep, er Blenrep ikke aktuell for onkologianbudet.

<h3>7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)</h3>	
7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB? <i>Hvis nei, begrunn kort</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Begrunnelse: Ulik behandlingspraksis i de nordiske landene

<h3>8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)</h3>	
8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)? <i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Dato for søknad til EMA: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse	
<p>9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren?</p> <p><i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i></p> <p><i>Begrunn forslaget</i></p>	<p>Gitt at ekspertgruppen i onkologi er enig i GSKs vurdering av sammenlignbar effekt mot IsaKd, bør saken kunne løses som et prisnotat hvor årskostnader av BelaPd vurderes mot årskostnader av IsaKd.</p> <p>Det er mulig å levere en kostnad-per-QALY-analyse mot PVd som er komparator i den pivotale kliniske studien, eventuelt med en indirekte sammenligning mot IsaKd som er mest aktuell komparator i norsk klinisk praksis. Imidlertid ser vi ikke at analysen vil tilføre merverdi.</p> <p>Siden startdosering i SPC ikke er i samsvar med faktisk dosering i den pivotale kliniske studien eller ventet bruk i norsk klinisk praksis, forutsetter dette at prisnotatet inkluderer årskostnader beregnet ut fra behandlingsanbefaling i Handlingsprogrammet for maligne blodsykdommer når denne foreligger for Blenrep. Dette er nødvendig for å gi beslutningstaker et reelt bilde av budsjettkonsekvenser og behandlingkostnader og å sikre et relevant sammenligningsgrunnlag mot årskostnadene av IsaKd.</p>
<p>9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.</p>	<p>Voksne pasienter med myelomatose som har mottatt minst én tidligere behandlingslinje inkludert behandling med lenalidomid.</p>
<p>9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.)</p> <p><i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i></p>	<p>I utgangspunktet ikke relevant gitt argumentasjon over.</p> <p>Alternativt kan DREAMM-8 benyttes som grunnlag for H2H mot PVd (kontrollarm i DREAMM-8). For sammenligning mot IsaKd/DaraKd må ITC legges til grunn.</p>
<p>9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.</p>	<p>Kostnadene av Blenrep i BelaPd-kombinasjonen vil være tilsvarende som i BelaVd-kombinasjonen. Årskostnadene vil være lavere enn det SHI tidligere har beregnet for IsaKd (RHF-AUP eks mva).</p>

<p>9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF.</p> <p><i>Tidspunkt må oppgis</i></p>	<p>Dokumentasjon i form av pristilbud for ID2024_049 er oversendt Sykehusinnkjøp og ventes være relevant også for aktuell indikasjon.</p> <p>Dersom det besluttes at dokumentasjon til DMP skal leveres, ventes dette å kunne være klart i april 2026 (avhengig av omfang).</p>
--	---

<h2>10 Sykdommen og eksisterende behandling</h2>	
<p>10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon</p> <p><i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i></p>	<p>Myelomatose (beinmargskreft) er en kreftform som først og fremst forekommer hos eldre. Median alder ved diagnosetidspunktet er 72 år og omtrent 15 % av pasientene er under 60 år på diagnosetidspunktet. Sykdommen kjennetegnes av ukontrollert vekst av plasmaceller i beinmargen og overproduksjon av monoklonalt immunglobulin. Årsaken til sykdommen er ukjent. Symptomene varierer etter hvor langt sykdommen har utviklet seg, og første fase av sykdommen er som regel symptomfri/-fattig. Etter hvert tilkommer symptomer som blodmangel (anemi), bein-/ skjelettsmerter og frakturer (ofte i nedre del av ryggen og i ribbein), hyperkalsemi, nyresvikt, økt forekomst av infeksjoner og senere generell beinmargssvikt. Sykdomsutviklingen er snikende med endeorganskade som inntreer over år (1,2).</p> <p>1) Myelomatose. Norsk elektronisk legehåndbok (NEL). (Oppdatert 01.09.2022, lest 30.07.2025). Tilgjengelig fra: https://legehandboka.no/handboken/kliniske-kapitler/blod/tilstander-og-sykdommer/beinmargssykdom/myelomatose</p> <p>2) Benmargskreft (myelomatose). Kreftlex.no. (Lest 30.07.2024). Tilgjengelig fra: https://kreftlex.no/Myeloma</p>
<p>10.2 Fagområde</p> <p><i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i></p>	<p>Velg fagområde fra menyen:</p> <p>Blodsykdommer</p>
<p>10.3 Kreftområde</p> <p><i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i></p>	<p>Velg kreftområde fra menyen:</p> <p>Blod- beinmargs- og lymfekreft</p>
<p>10.4 Dagens behandling</p>	<p>Det foreligger et nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging</p>

<p><i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i></p>	<p>av maligne blodsykdommer (1). Myelomatose kjennetegnes av stadige tilbakefall av sykdommen, til tross for god respons på behandling som induserer remisjon. Ved sykdomsprogresjon initieres nye behandlingslinjer, med nye virkningsmekanismer, som ofte gir gradvis kortere varighet på sykdomsremisjonen som oppnås, og som etter hvert resulterer i at pasienten blir refraktær overfor behandlingene som administreres.</p> <p>Anbefalt førstelinjebehandling for pasienter under 70 år er høydosert kjemoterapi med autolog stamcellestøtte (HMAS), med mindre det foreligger kontraindikasjoner for dette (f.eks. betydelig komorbiditet). Som induksjonsbehandling benyttes i dag kombinasjonsbehandling med bortezomib, lenalidomid og deksametason (VRd). For pasienter som ikke er aktuelle for HMAS (pasienter over 70 år eller med betydelig komorbiditet) foretrekkes DaraRd eller IsaVRd. Ved tilbakefall av sykdom etter første behandlingslinje anbefaler retningslinjene at behandlingen tilpasses den enkelte pasient, basert på blant annet pasientens alder, funksjonsstatus, komorbiditeter, tidligere behandlinger og legemidlenes bivirkningsprofil. Når pasienter er refraktære for enkeltlegemidler utelukkes disse ved valg av nytt behandlingsregime. Høsten 2023 ble isatuksimab i kombinasjon med karfilzomib og deksametason godkjent for bruk hos pasienter som har mottatt minst en tidligere behandlingslinje (ID2021_009) (2). Dette er nå standardbehandling for pasienter som er lenalidomidrefraktære og ikke-refraktære for anti-CD38-antistoff som er majoriteten av pasientene i andrelinje. Ved en eventuell innføring av BelaVd vil dette også bli en aktuell komparator for BelaPd. Dette ventes inkludert i oppdatert handlingsprogram.</p> <p>Referanser: 1) Maligne blodsykdommer - handlingsprogram. Norsjonale faglige retningslinjer. (Oppdatert 20.05.2025, lest 30.09.2025). Tilgjengelig fra: https://www.legeforeningen.no/foreningsledd/fagmed/Norsk-selskap-for-hematologi/handlingsprogram/ 2) ID2021_009 Isatuksimab (Sarclisa) - Indikasjon II (kombinasjonsbehandling med karfilzomib og deksametason). NyeMetoder. (Lest 31.07.2025). Tilgjengelig fra: https://www.nyemetoder.no/metoder/isatuksimab-sarclisa-indikasjon-ii/</p>
<p>10.5 Prognose</p>	<p>Myelomatose er en alvorlig sykdom hvor det per i dag ikke finnes kurativ behandling. Parallelt med at ny og</p>

<p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p>	<p>bedre behandling har blitt tilgjengelig har prognosen for pasienter med myelomatose har blitt stadig bedre de siste årene: 5-års relativ overlevelse har økt fra under 40 % i 2002 til nesten 70 % i 2023 (1). Yngre pasienter har betydelig bedre prognose enn eldre pasienter.</p> <p>1) Resultater og forbedringstiltak fra nasjonalt kvalitetsregister for lymfoide maligniteter. Årsrapprt 2023. Kreftregisteret. (Publisert 07.05.2024, lest 30.07.2024). Tilgjengelig fra: https://www.kreftregisteret.no/Generelt/Rapporter/Arsrapport-fra-kvalitetsregistrene/Arsrapport-for-lymfom-og-KLL/arsrapport-for-lymfoide-maligniteter-2023/</p>
<p>10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen</p>	<p>Bruk av Blenrep i klinisk praksis venter å følge søkt indikasjon, altså inngå som et behandlingsalternativ til pasienter fra og med andre behandlinglinje.</p> <p>Innføring av nye behandlinger er primært med på å utvide "verktøykassen" til klinikerne i et dynamisk behandlingslandskap. Handlingsprogrammet anbefaler imidlertid som hovedregel tripllettbehandling fremfor dubletter og BelaPd ventes følgelig å primært bli et alternativ til allerede innførte tripllettbehandlinger (IsaKd), samt et supplement til BelaVd dersom denne behandlingen innføres.</p>
<p>10.7 Pasientgrunnlag</p> <p><i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i></p> <p><i>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</i></p> <p><i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i></p>	<p>Forekomsten av myelomatose i Norge er økende og i dag lever omtrent 3 500 personer med diagnosen. I femårsperioden 2019-23 ble det gjennomsnittlig diagnostisert 566 nye tilfeller årlig i Norge, hvorav 328 var menn og 238 var kvinner (1). Det anslås at omtrent 95 % av disse er aktuelle for førstelinjebehandling.</p> <p>I metodevurderingen av isatuksimab i kombinasjon med karfilzomib og deksametason (2) har DMP anslått at 250-300 myelomatosepasienter årlig er aktuelle for andrelinjebehandling, og at ca. 30 % av disse kan forventes å bli behandlet med CD38-rettet behandling (isatuksimab, daratumumab) i kombinasjon med Kd</p>

	<p>dersom slik behandling innføres. Dette svarer til 75-90 pasienter årlig. Tilsvarende som for IsaKd er det andrelinjepopulasjonen som er aktuell for behandling med Blenrep i kombinasjon med Vd. Innspill fra medisinske fagekspertter som GSK har konferert, tilsier at pasientgrunnlaget for Blenrep vil være i samme størrelsesorden som IsaKd. Tilsvarende som for isatuksimab ventes pasientgrunnlaget å være noe høyere den første tiden etter eventuell innføring grunnet opphenting av pasienter fra senere behandlingslinjer.</p> <p>Referanser: 1) Cancer in Norway 2023. Kreftregisteret. (Publisert mai 2024). Tilgjengelig fra: https://www.kreftregisteret.no/globalassets/cancer-in-norway/2023/cin_report-2023.pdf 2) Hurtig metodevurdering ID2021_009. Statens legemiddelverk 2023. (Publisert 29.03.2023, lest 30.07.2024). Tilgjengelig fra: https://www.nyemetoder.no/4964e8/siteassets/documents/rapporter/id2021_009_isatuksimab_sarclisa_kombobeh_myelomatose---hurtig-metodevurdering---offentlig-versjon.pdf</p>
--	---

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	DREAMM-8, NCT04484623, https://clinicaltrials.gov/study/NCT04484623	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.2 Studietype og -design	Randomisert, åpen fase-III-studie	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	Sammenligning av BelaPd med Pdd hos lenalidomideksponte pasienter med myelomatose som hadde mottatt minst én	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	tidligere behandlingslinje		
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	<p>Inklusjonskriterier:</p> <ul style="list-style-type: none"> - Voksne pt. med myelomatose - ≥1 tidligere behandlingslinje (inkl. lenalidomid) - Progressiv sykdom under eller etter den seneste behandling <p>Eksklusjonskriterier:</p> <ul style="list-style-type: none"> - Tidligere behandling med anti-BCMA og pomalidomid - Refraktær overfor eller intoleranse over for bortezomib - Aktuell korneal epitel sykdom - Vedvarende perifer neuropati av grad ≥2 med smerte eller perifer neuropati av grad ≥3 	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	<p>28-dagers sykluser med belantamabmafodotin (2,5 mg/kg iv på dag 1 i syklus 1 og 1,9 mg/kg på dag 1 fra syklus 2 og videre) kombinert med pomalidomid og deksametason. Doseringen av belantamabmafodotin kunne bli utsatt eller redusert for å håndtere bivirkninger.</p> <p>Behandlingen (i begge armer) fortsatte frem til forekomst av progressiv sykdom, uakseptable bivirkninger, tilbaketrekking av samtykke eller død.</p>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<p>11.6 Komparator (n)</p> <p><i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i></p>	<p>21-dagers sykluser med bortezomib (1,3 mg/m² sc. på dag 1, 4, 8 og 11 i syklus 1 til 8, og på dag 1 og 8 fra syklus 9 og videre) kombinert med pomalidomid og deksametason.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.7 Endepunkter</p> <p><i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i></p>	<p>Primært endepunkt: PFS (IRC-vurdert)</p> <p>Sentrale sekundære endepunkter: OS, MRD negativitetsrate, DOR</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.8 Relevante subgruppeanalyser</p> <p><i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i></p>	<p>Gjennomgående tilsvarende effekt i analyserte subgrupper (se Dimopoulos et al., 2024, supplementary figur S4)</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<p>11.9 Oppfølgingstid</p> <p><i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i></p>	<p>Medianoppfølging ved primært datakutt: 21,8 mnd (Dimopoulos et al. NEJM, 2024). Oppdaterte data fra senere datakutt: 28,0 mnd. Oppdaterte PFS-data p.t. kun tilgjengelig som posterpresentasjon (Dimopoulos et al. 2025, poster EHA).</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.10 Tidsperspektiv resultater</p> <p><i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i></p>	<p>Pågående studie, oppdaterte data for OS er ventet presentert på ASH 2025.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.11 Publikasjoner</p> <p><i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publisering</i></p>	<p>Dimopoulos MA et al. Belantamab Mafodotin, Pomalidomide, and Dexamethasone in Multiple Myeloma. <i>N Engl J Med.</i> 2024;391(5):408-421. doi:10.1056/NEJMoa2403407 (vedlegg 1)</p> <p>Dimopoulos MA et al. Updated Results From Phase 3 DREAMM-8 Study of Belantamab Mafodotin Plus Pomalidomide and Dexamethasone vs Pomalidomide Plus Bortezomib and Dexamethasone in Relapsed/Refractory Multiple Myeloma.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

	Poster PF728, EHA 2025 (vedlegg 2)		
--	---------------------------------------	--	--

12 Igangsatte og planlagte studier	
12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden? <i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> DREAMM-10, BelaRd vs. DaraRd for nydiagnostisert myelomatose, pasienter som ikke er aktuelle for HMAS. Protokoll for denne studien angir en oppstartsdoserings for Blenrep på 1,9 mg/kg hver 8. uke i 3 sykluser (24 uker) og deretter hver 12. uke.

13 Diagnostikk	
13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør? <i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/>
13.2 Er testen etablert i klinisk praksis? <i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag? Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/>
13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

14 Andre relevante opplysninger	
<p>14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i></p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Ja, Tobias Slørdaahl ved St. Olavs og Fredrik Schjesvold ved Oslo Myelomatosesenter/OUS har bidratt med informasjon om relevante komparatorer og plassering av Blenrep-kombinasjonene i behandlingsalgoritmen.</p>
<p>14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene?</p> <p><i>Hvis ja, begrunn kort.</i></p> <p><i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i></p> <p><i>Nærmere informasjon og skjema:</i> Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>14.3 Andre relevante opplysninger?</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

	<p>Valg av behandling ved tilbakevendende/refraktær myelomatose avhenger av flere faktorer, som pasientens alder, komorbiditet og organfunksjon, samt respons på og toleranse for tidligere behandling. Ulike legemiddelklasser benyttes sammen i en rekke ulike kombinasjoner, og terapianbefalingene endres i rask takt. Ved valg av ny behandling er det vanlig å bytte/ legge til et medikament med ny virkningsmekanisme.</p> <p>Handlingsprogrammet publisert av legeforeningen anbefaler BVd, IsaKd¹, BPd (anmodet kombinasjon) eller DRd² ved første tilbakefall (andre behandlingslinje). Valg mellom disse avhenger av tidligere behandling/refraktærhet, men de to kombinasjonene med belantamab mafodotin anbefales primært. For pasienter behandlet med IsaKd i andre linje, anbefales BPd gitt i tredje behandlingslinje. Anbefalt dosering i handlingsprogrammet, dvs. administrering hver 8. uke fra start av behandling for alle pasienter, avviker fra anbefalt dosering i preparatomtalen (se «Dosering» over).</p> <p>I den europeiske utredningsrapporten³ fremkommer det at relativ doseintensitet for belantamab mafodotin var lav og synkende over tid i de pivotale studiene, både når gitt i kombinasjon med pomalidomid og deksametason (aktuell indikasjon) og når gitt i kombinasjon med bortezomib og deksametason. Median RDI i kombinasjonen BPd var 52,6%; 100% i syklus 1, 56,6% i syklus 2-8, og 33,3% fra syklus 9. EMA påpeker at det er mulig at anbefalt dosering og doseringsintervall i studiene (og preparatomtale) ikke er optimal for målpopulasjonen. EMA har vurdert nytte-risikoforholdet ved bruk av BPd ved dosering gitt i den kliniske studien (DREAM-8). Anbefalt dosering i handlingsprogrammet avviker fra studien og DMP påpeker at nytte-risikoforholdet ved en slik dosering ikke er etablert/kjent.</p> <p>DMP har i en tidligere metodevurdering anslått at om lag 250-300 myelomatosepasienter årlig er aktuelle for andrelinjebehandling, og la til grunn at i underkant av 100 nye pasienter årlig ville bli behandlet med IsaKd, da denne metoden ble vurdert⁴. Innspill fra det medisinske fagmiljø anslår at aktuelle pasienter for behandling med BPd er i samme størrelsesorden.</p>
<p>Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)</p>	<p>DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen. Gitt nivå på bestilling i tidligere, liknende saker mener DMP at opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være hensiktsmessig som beslutningsstøtte også i denne saken.</p>

¹ IsaKd: Isatuksimab, karfilzomib og deksametason

² DRd: Daratumumab, lenalidomid og deksametason

³ [Blenrep, INN-belantamab mafodotin](#)

⁴ [id2021_009_isatuksimab_sarclisa_kombobeh_myelomatose---hurtig-metodevurdering---offentlig-versjon.pdf](#)

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.

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_007 Belantamabmafodotin (Blenrep) i kombinasjon med pomalidomid og deksametason for behandling av residiverende eller refraktær myelomatose hos pasienter som har fått minst én tidligere behandling inkludert lenalidomid

Spørsmål	Faglige innspill
<p>1. Dagens behandling – alternativ</p> <p>- Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag?</p> <p>- Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering?</p> <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p>	<p>For de som er refraktære/intolerante for Lenalidomid men ikke CD38-antistoff:</p> <ul style="list-style-type: none"> - Belantamab mafodotin-bortezomib-deksametason (BVd) - Isatuximab-karfilzomib-deksametason (Isa-Kd) <p>For de som er som ikke er refraktær mot lenalidomid eller CD38-antistoff:</p> <ul style="list-style-type: none"> - Daratumumab-lenalidomid-deksametason (DRd) <p>For de som er refraktære mot både CD38-antistoff og lenalidomid: Belantamab mafodotin-bortezomib-deksametason (BVd)</p> <p>Aktuell komparator: Belantamab mafodotin-bortezomib-deksametason (BVd)</p>
<p>2. Plass i norsk klinisk praksis</p> <p>- Er det klinisk behov for metoden?</p> <p>- Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?</p>	<p>Pasienter som får første linje behandling med CD38-antistoff vil være refraktær for dette ved oppstart av 2. linje og isatuksimab-karfilzomib-deksametason er derfor ikke en aktuell behandling. Pasienter som har mottatt bortezomib i første linje kan ha vesentlig nevropati og kan da ikke motta bortezomib-basert behandling i 2. linje. Isatuksimab-karfilzomib-deksametason kan gi</p>

<p>Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p>	<p>bivirkninger, spesielt tungpust, slik at karfilzomib må dosereduseres eller seponeres.</p> <p>Det er et klinisk behov for behandling for pasienter som er refraktære for CD38-antistoff, og pasienter som har nevropati og ikke kan bruke bortezomib. Det er også klinisk behov for behandling som har annen bivirkningsprofil enn isatuksimab-karfilzomib-deksametason.</p> <p>Behandlingen vil kunne gis i stedet for belantamab mafodotin-bortezomib-deksametason eller isatuksimab-karfilzomib-deksametason i 2. linje, eller syklofosfamid-pomalidomid-deksametason i 3. linje.</p>
<p>3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?</p>	<p>Hvis behandlingen ikke innføres i 2. linje, bør det vurderes om behandlingen kan innføres i 3. linje med syklofosfamid, pomalidomid og deksametason som komparator.</p>
<p>4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?</p>	<p>Nei.</p>
<p>5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv 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).

U.t. har mottatt honorar fra GSK for advisory board, og avdelingen har mottatt prosjektstøtte til Myelomatoseregister. Ellers har u.t. ingen annen direkte økonomisk binding til produsentene av noen av legemidlene som vurderes i metoden.

U.t. har dog mottatt honorar for foredrag fra Johnson & Johnson. Johnson & Johnson lager legemidler som er nevnt i punkt 1 om etablert behandling.

7. Avsender av faglig innspill	
Sykehus	Akershus Universitetssykehus
Avdeling	Hematologisk avdeling
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Anette Løken Eilertsen
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>

Innspill til Nye metoder fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_ xxx)

ID2026-007

Spørsmål	Faglige innspill
<p>1. Dagens behandling – alternativ</p> <p>- Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag?</p> <p>- Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering?</p> <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p>	<p>I 2.linje er den aktuelle behandlingen anbefalt i handlingsprogrammet Blenrep + velcade-dexametason. I 3.linje er det som brukes i dag blenrep + pomalidomide (forutsatt at blenrep ikke er brukt før), dvs den omsøkte behandlingen. Det er også det som står i handlingsprogrammet. Siden blenrep er godkjent, og pomalidomid er generisk (tilnærmet uten utgift), og et bedre valg enn velcade i den situasjonen, er det det som brukes per i dag.</p> <p>Det bør ikke være aktuelt med metodevurdering, siden blenrep allerede er godkjent og pomalidomid er generisk. Blenrep+veldex er allerede godkjent fordi det ikke er dyrere enn IsaKd, og minst like bra. Det samme gjelder for Blenrep-pomdex.</p>
<p>2. Plass i norsk klinisk praksis</p> <p>- Er det klinisk behov for metoden?</p> <p>- Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?</p>	<p>Ja. Det er mange pasienter som har fått for mye proteasomhemmer fra før, og således ikke er aktuell for Blenrep-veldex.</p> <p>Ja, det vil brukes i stedet for blenrep-veldex. Det vil ikke være aktuelt å bruke den ene hvis den andre allerede er prøvd.</p>

Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Den kommer til å være aktuell for et mindre antall enn blenrep-velde, men vil fortsatt være måten mange pasienter får blenrep på.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	100 i året? (dette er alltid vanskelig å estimere)
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Se over. Det er etablert praksis, og har vært åpenhet i dialog med Nye metoder om, at generiske tillegg i godt dokumentert behandling gjøres uten formell godkjenning av beslutningsforum.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv 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).

Jeg driver kliniske studier med alle firmaer som har medikamenter i myelomatose. Jeg tar internasjonale oppdrag for alle firmaer som driver med myelomatose, vanligvis advisory boards og foredrag, men også oppdrag i komitéer som independent response committees og data safety monitoring committees.

7. Avsender av faglig innspill

Fagmedisinsk forening	Norsk hematologisk selskap
Navn, stilling og arbeidsplass	Fredrik Schjesvold Leder Oslo myelomatosesenter, OUS
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>

Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):



Saksnummer 056-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2026_006 Pegcetakoplan (Aspaveli) til behandling av voksne pasienter og ungdom i alderen 12 til 17 år med C3 glomerulopati (C3G) eller primær immunkompleks membranoproliferativ glomerulonefritt (IC-MPGN) i kombinasjon med en hemmer av renin-angiotensinsystemet (RAS), med mindre behandling med RAS-hemmer ikke tolereres eller er kontraindisert.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren som har markedsføringstillatelse (MT): Swedish Orphan Biovitrum AB.
- Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse.
- Administrasjonsform: infusjonspumpe for subkutan sprøyteinjeksjon.
- Farmakoterapeutisk gruppe: C3 hemmer.
- Det aktuelle virkestoffet er tidligere behandlet til annen indikasjon i Nye metoder, men ikke innført [ID2021_054](#). (paroksysmal nattlig hemoglobinuri (PNH)).
- Andre virkestoff til liknende indikasjon er [ID2025_033](#) Iptakopan (Fabhalta) (gitt oppdrag om prisnotat 19.01.2026).
- Markedsføringstillatelse (MT) i Norge: 15.01.2026.
- Prognose: halvparten av de diagnostiserte pasientene progredierer gradvis til nyresvikt innen ti år.
- Pasientgrunnlag: Det foreligger ingen detaljerte norske estimater for insidens eller prevalens av C3G og primær IC-MPGN.
- Dokumentasjon som skal ligge til grunn: H2H, en randomisert, multisenter, dobbeltblind, placebokontrollert studie, der pegcetacoplan sammenlignes med placebo (VALIANT-studie).
- Forventet levering av dokumentasjon: mars/april 2026.
- Leverandør foreslår en kostnad-nytte-analyse hvor Pegcetakoplan i tillegg til «best standard of care» (BSC) sammenlignes med kun BSC. BSC inkluderer RAS-hemmere, SGLT-2-hemmere og immunsuppressiv behandling. Det finnes for tiden ingen godkjente behandlinger for C3G eller primær IC-MPGN i Norge.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (vedlagt):

- Vurdering fra DMP: Relevant komparator i norsk klinisk praksis (RAS-hemmer, kortikosteroider og mykofenolatmofetil) var tillatt som bakgrunnsbehandling i begge armer i VALIANT-studien, og relativ effekt fra studien kan derfor brukes direkte i en helseøkonomisk modell. Surrogatendepunkter og kort varighet av studien (26 uker kontrollert periode) vil imidlertid gi stor usikkerhet om relativ effekt på kliniske endepunkter.
- DMP påpeker at eventuell bruk av eksterne data for å informere en helseøkonomisk analyse må understøttes av systematiske litteratursøk, etterfulgt av objektiv utvelgelse av egnet dokumentasjon som er representativ for norsk klinisk praksis.
- Pegcetakoplan har også indikasjon til behandling av paroksysmal nattlig hemoglobinuri (PNH), men er ikke innført (ID2023_097).
- Anbefaling fra DMP: DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse).

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: 1 innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- Ingen innspill.

Innspill fra andre:

- Landsforeningen for Nyrepasienter og Transplanterte: 1 innspill.
- ComPure: 1 innspill
- Fagperson (kliniker): 1 innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Ingen nasjonale faglige retningslinjer vil bli påvirket.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret overført til RHF-ene 01.11.2023.

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av):

Fyll ut dato for innsending av skjema: 19.01.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Swedish Orphan Biovitrum AB
1.2 Navn kontaktperson	David Cabrales Alin
1.3 Stilling kontaktperson	Associate Director Patient Access & Medical Science Manager, Nordics-Baltics
1.4 Telefon	+46 76 001 18 95
1.5 E-post	david.cabralesalin@sobi.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.7 Telefon og e-post	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	Et nytt virkestoff <input type="checkbox"/> En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon <input checked="" type="checkbox"/> En ny styrke eller formulering <input type="checkbox"/>
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	ASPAVELI er indisert til behandling av voksne pasienter og ungdom i alderen 12 til 17 år med C3 glomerulopati (C3G) eller primær immunkompleks membranoproliferativ

<p><i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i></p> <p><i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i></p>	<p>glomerulonefritt (IC-MPGN) i kombinasjon med en hemmer av renin-angiotensinsystemet (RAS), med mindre behandling med RAS-hemmer ikke tolereres eller er kontraindisert.</p> <p>Aspaveli is indicated for the treatment of adult and adolescent patients aged 12 to 17 years with C3 glomerulopathy (C3G) or primary immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis (IC-MPGN) in combination with a renin-angiotensin system (RAS) inhibitor, unless RAS inhibitor treatment is not tolerated or contraindicated.</p>
<p>2.3 Handelsnavn</p>	<p>Aspaveli</p>
<p>2.4 Generisk navn/virkestoff</p>	<p>Pegcetakoplan</p>
<p>2.5 ATC-kode</p>	<p>L04AJ03</p>
<p>2.6 Administrasjonsform og styrke</p> <p><i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstidspunkt</i></p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>1080 mg, 20 mL single-dose vial. Strength: 54 mg/mL</p> <p>The recommended dose for the treatment of C3G or primary IC-MPGN is 1080 mg for adults or adolescents >50 kg and weight-based dosing for adolescents <50 kg twice weekly (administered on day 1 and day 4 of a treatment week). Aspaveli is self-administered via a subcutaneous syringe system infusion pump.</p>
<p>2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme.</p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Pegcetacoplan is a C3 inhibitor. It works by binding to complement protein C3 and its activation fragment C3b, thereby inhibiting the cleavage of C3 and the generation of downstream effectors of complement activation.</p> <p>Pegcetacoplan prevents the formation of C3b deposition on cell surfaces, the main pathophysiological driver in C3G and primary IC-MPGN. Clearance of C3 deposits in the glomeruli is the first sign to confirm the pathological mechanism has stopped and that therapy is not only addressing symptoms. Furthermore, pegcetacoplan blocks the production of the inflammatory fragments, C3a and C5a, that are driving inflammation and recruiting immune cells. It also inhibits the C5 convertase and consequently the assembly of the membrane attack complex (MAC), a structure that causes cell damage.</p> <p>By targeting both C3 and C3b, pegcetacoplan provides broad inhibition of all three activation pathways (classical, lectin, and alternative) and modulates the overactivation of the complement system. This allows renal recovery by resolving inflammation and clearing existing deposits.</p>

3 Historikk – virkestoff og indikasjon	
<p>3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: ID2021_054: Pegcetakoplan (Aspaveli) til behandling av voksne pasienter med paroksysmal nattlig hemoglobinuri (PNH)</p>
<p>3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: ID2025_033: Fabhalta er indisert til behandling av voksne pasienter med komplement 3-glomerulopati (C3G) i kombinasjon med en renin-angiotensinsystem (RAS)-hemmer, eller hos pasienter som er intolerante for RAS-hemmer, eller hvor en RAS-hemmer er kontraindisert.</p>
<p>3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi referanse</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Referanse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring	
<p>4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner?</p> <p><i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Dato for MT for første indikasjon: 13.12.2021</p>
<p>4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
<p>4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon?</p> <p><i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i></p> <p><i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i></p> <p><i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i></p>	<p>EMA/VR/0000248937 - C3G IC-MPGN</p> <hr/> <p>Hvis metoden ikke har MT:</p> <p>Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): 15 January 2026, the European Commission (EC) approved Aspaveli (pegcetacoplan) for the treatment of adult and adolescent patients aged 12 to 17 years with C3 glomerulopathy (C3G) or primary immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis (IC-MPGN) in combination with a renin-angiotensin system (RAS) inhibitor, unless RAS inhibitor treatment is not tolerated or contraindicated.</p>

	<p>Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år):</p> <p>Expected 16 February 2026</p>
	<p>Hvis metoden har MT:</p> <p>Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen:</p> <p>Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>
<p>4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Beskrivelse:</p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Dato for «orphan drug designation»:</p> <p>10.11.2022</p>

5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

<p>5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
---	--

6 Sammenlignbarhet og anbud

<p>6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Kommentar:</p> <p>ID2025_033: Fabhalta er indisert til behandling av voksne pasienter med komplement 3-glomerulopati (C3G) i kombinasjon med en renin-angiotensinsystem (RAS)-hemmer, eller hos pasienter som er intolerante for RAS-hemmer, eller hvor en RAS-hemmer er kontraindisert.</p>
<p>6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>

<p>eller flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Legemiddel og ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Kommentar: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<h3>7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)</h3>	
<p>7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB?</p> <p><i>Hvis nei, begrunn kort</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Begrunnelse: Aspaveli is not a hospital product</p>

<h3>8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)</h3>	
<p>8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for søknad til EMA: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>

<h3>9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse</h3>	
<p>9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren?</p> <p><i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i></p> <p><i>Begrunn forslaget</i></p>	<p>Cost-utility-analysis, where Aspaveli in addition to best supportive care (BSC) is compared to BSC only. BSC includes RAS-inhibitors, SGLT-2 inhibitors, and immunosuppressive therapy.</p> <p>There are currently no approved therapies for C3G or primary IC-MPGN in Norway.</p>
<p>9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.</p>	<p>Population according to the indication</p>

<p>9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.)</p> <p><i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i></p>	<p>H2H, Valiant, a randomized, multicenter, double-blind, placebo-controlled trial, where pegcetacoplan is compared to placebo.</p>
<p>9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.</p>	<p>The full-scale forecast, based on an estimated patient population of 8 patients, will be approximately AUP 33,6 million NOK/ AIP 26,2 million NOK in 2030.</p>
<p>9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF.</p> <p><i>Tidspunkt må oppgis</i></p>	<p>March/April, 2026</p>

<h2>10 Sykdommen og eksisterende behandling</h2>	
<p>10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon</p> <p><i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptomtildeling, eventuelt inkl. referanser</i></p>	<p>Complement 3 glomerulopathy (C3G) and primary immune complex-membranoproliferative glomerulonephritis (IC-MPGN) are two rare and serious kidney diseases caused by dysregulation of the complement system, characterized by abnormal accumulation of the complement protein C3 in the glomeruli in the kidney. The accumulation leads to inflammation and damage to the kidney tissue, impairing their ability to filter waste and fluids from the blood. The onset of the diseases are typically during childhood or young adulthood.</p> <p>The clinical presentation can range from asymptomatic hematuria to proteinuria and both diseases can lead to progressive and irreversible chronic kidney damage. Patients with C3G or primary IC-MPGN are at high risk of kidney failure and may require life-long dialysis and/or kidney transplants. Kidney transplants are not considered curative for these patients due to high degree of recurrence and allograft loss.</p> <p>Extra renal presentations are vision problems (drusen) and lipodystrophy.</p>
<p>10.2 Fagområde</p>	<p>Velg fagområde fra menyen:</p>

<p><i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i></p>	<p>Sykdommer i nyrer, urinveier og kjønnsorganer</p>
<p>10.3 Kreftområde</p> <p><i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i></p>	<p>Velg kreftområde fra menyen:</p> <p>Velg et element.</p>
<p>10.4 Dagens behandling</p> <p><i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i></p>	<p>There are currently no approved therapies for C3G or primary IC-MPGN specifically in Norway. Best supportive care includes RAS-inhibitors, SGLT-2 inhibitors, and immunosuppressive therapy.</p>
<p>10.5 Prognose</p> <p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p>	<p>The prognosis of C3G and primary IC-MPGN is poor, and half of the diagnosed patients steadily progress to kidney failure within ten years, which has significant negative impacts on patient mortality and quality of life. The degree of proteinuria at diagnosis and the persistence of the proteinuria have been associated with a higher risk of progression to kidney failure in patients with C3G or primary IC-MPGN. At kidney failure, patients move on to dialysis and/or kidney transplantation. Even after kidney transplantation, the underlying disease persists and typically recurs in the transplanted kidney, putting patients at risk of graft failure, dialysis, or the need for repeat transplantation.</p> <p>Despite most patients receiving current guideline-recommended standard of care, the symptomatic and clinical burden of C3G remains high worldwide, demonstrating the need for more effective treatment options. Sinha et al, Treatment and Disease Burden in Patients with Complement 3 Glomerulopathy; Multinational Real-World Study Results. <i>Glomerular Dis.</i> 2025 Aug 7;5(1):380–394.</p> <p>There is no data on survival rate in a Norwegian population, but a Finnish study found that 32% of the IC-MPGN patients and 22% of C3G patients died during the study follow-up of 7.3 (range 0.08–38) years. During the follow-up eleven (49%) C3G and 16 (43%) IC-MPGN patients developed progressive kidney disease. Kovala et al; Diagnostic and Prognostic Comparison of Immune-Complex-Mediated Membranoproliferative Glomerulonephritis and C3 Glomerulopathy. <i>Cells</i> 2023, 12(5), 712</p>
<p>10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen</p>	<p>There are currently no approved therapies for C3G or primary IC-MPGN specifically in Norway. Aspaveli is used in addition to best supportive care, which</p>

	includes RAS-inhibitors, SGLT-2 inhibitors, and immunosuppressive therapy.
<p>10.7 Pasientgrunnlag</p> <p><i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i></p> <p><i>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</i></p> <p><i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i></p>	<p>No detailed numbers for incidence or prevalence are available for Norway. Based on a comprehensive literature review on epidemiology of C3G and primary IC-MPGN conducted by Sobi (September 2025), the incidence for C3G and IC-MPGN is estimated at 0.33 and 0.36 cases per million, respectively. During the same literature review, the prevalence was estimated to be 2.87 and 2.27 cases per 100,000 for C3G and IC-MPGN, respectively.</p>

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
<p>11.1 Studie-ID</p> <p><i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i></p>	<p>Phase III Study Assessing the Efficacy and Safety of Pegcetacoplan in Patients With C3 Glomerulopathy or Immune-Complex Membranoproliferative Glomerulonephritis (VALIANT)</p> <p>https://clinicaltrials.gov/study/NCT05067127?cond=c3g&term=valiant&intr=pegcetacoplan&rank=1</p> <p>NCT05067127</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.2 Studietype og -design</p>	<p>Phase III, Randomized, Placebo-Controlled, Double-Blinded, Multicenter Study</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

11.3 Formål	<p>The study assessed the efficacy and safety of twice-weekly subcutaneous (SC) doses of pegcetacoplan compared to placebo in patients with C3 glomerulopathy (C3G) or immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis (IC-MPGN) on the basis of a reduction in proteinuria.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	<p>Key inclusion criteria</p> <ul style="list-style-type: none"> • Confirmatory diagnosis based on renal biopsy • uPCR ≥ 1.0 g/g; eGFR ≥ 30 mL/min/1.73m² • Stable treatment (e.g., ACEi/ARBs, oral corticosteroids) for at least 12-weeks • Active disease (2+ C3c staining in baseline biopsy or plasma / serum biomarkers indicative of complement dysregulation) <p>Key exclusion criteria</p> <ul style="list-style-type: none"> • C3G and IC-MPGN secondary to another condition • Severe infection, malignancy or prior diagnosis of HIV, HBV or HCV • Absolute neutrophil count < 1000 cells/mm³ 	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

	neutrophil count <1000 cells/mm ³		
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Pegcetacoplan Subcutaneous infusion of 20mL (1080 mg), twice weekly (for adults or adolescents >50kg), and the three other weight-based doses either of 10mL (540mg), 12mL (648mg), or 15mL (810mg)	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Placebo. Subcutaneous infusion of either 10mL, 12mL, 15mL, or 20mL, twice weekly.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	<p>Primary endpoint</p> <ul style="list-style-type: none"> Reduction in uPCR (proteinuria) at week 26 compared to baseline <p>Secondary endpoints (Hierarchical order)</p> <ul style="list-style-type: none"> Proportion of patients achieving composite renal endpoint of $\leq 15\%$ eGFR and $\geq 50\%$ reduction in uPCR at week 26 compared to baseline Proportion of patients achieving a uPCR reduction 	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	<p>≥50% at week 26 compared to baseline</p> <ul style="list-style-type: none"> Adjusted mean difference in mean change of eGFR at week 26 compared to baseline Proportion of patients with decrease in C3c staining at week 26 compared to baseline 		
<p>11.8 Relevante subgruppeanalyser</p> <p><i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i></p>	N/A	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
<p>11.9 Oppfølgingstid</p> <p><i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i></p>	26 weeks	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
<p>11.10 Tidsperspektiv resultater</p> <p><i>Pågående eller avsluttet studie?</i></p>	Completed 2025-01-14	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<p><i>Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i></p>			
<p>11.11 Publikasjoner</p> <p><i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publisering</i></p>	<p>1. Trial of Pegcetacoplan in C3 Glomerulopathy and Immune-Complex MPGN (VALIANT)</p> <p>Fakhouri, Bombback, Ariceta et al.</p> <p>N Engl J Med, 2025.</p> <p>https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2501510</p> <p>2. VALIANT: Randomized, multicenter, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial of pegcetacoplan for patients with native or post-transplant recurrent C3 glomerulopathy or primary (idiopathic) immune complex-mediated membranoproliferative glomerulonephritis.</p> <p>Nester, Bombback, Ariceta et al.</p> <p>Immunobiology, 2025.</p> <p>https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S0171298525001731?via%3Dihub</p> <p>3. Targeted treatment with pegcetacoplan for adolescents with C3G or primary (idiopathic) IC-MPGN in the VALIANT phase 3 trial</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

	<p>Vivarelli, Ariceta, Borovitz et al.</p> <p>Immunobiology, 2025.</p> <p>https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S0171298525001718</p>		
--	---	--	--

12 Igangsatte og planlagte studier	
<p>12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>VALE (NCT05809531). Open-label, nonrandomized, multicenter extension study to evaluate the long-term safety and efficacy of pegcetacoplan in patients with C3 glomerulopathy or immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis. Expected completion July 2027.</p>
<p>12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

13 Diagnostikk	
<p>13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>13.2 Er testen etablert i klinisk praksis?</p> <p><i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</p> <p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>

<p>13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
---	--

<h2>14 Andre relevante opplysninger</h2>	
<p>14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i></p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fagekspert i Nye metoder)</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Participants in advisory board for Sobi:</p> <p>Rune Bjørneklett, Haukeland Univ. Hospital Thomas Knoop, Haukeland Univ. Hospital Yngvar Haaskjold, St.Olavs Univ. Hospital Anna Christin Gjerstad, Rikshospitalet Øystein Eikrem, Haukeland Univ. Hospital</p>
<p>14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene?</p> <p><i>Hvis ja, begrunn kort.</i></p> <p><i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i></p> <p><i>Nærmere informasjon og skjema:</i> Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>14.3 Andre relevante opplysninger?</p>	<p>We would appreciate a dialogue meeting with the DMP to discuss key topics prior to submission of our application:</p> <p>Agreement on submission date and timelines Structure of the health economic model</p> <p>We look forward to coordinating with the DMP on these points to support a high-quality and efficient evaluation process.</p>

--	--

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

	<p>tross for behandling. Det er i tillegg risiko for residiv etter transplantasjon (3). Antall tilfeller i Norge er ikke kjent, men det anslås mindre enn 1-3 nye tilfeller årlig per million i Europa (3).</p> <p>Dagens standardbehandling av C3G består hovedsakelig av støttebehandling med RAS-hemmere og SGLT2 hemmere, samt immunsuppresjon (glukokortikoider, mykofenolatmofetil), avhengig av alvorlighetsgrad. Ingen av terapiene som benyttes i norsk klinisk praksis per i dag er direkte rettet mot sykdomsmekanismen.</p> <p>Effekt og sikkerhet av pegcetakoplan ved C3G eller primær IC-MPGN er undersøkt i en randomisert, kontrollert, dobbelblindet, fase 3 studie, VALIANT (NCT05067127). Pasientene ble randomisert 1:1 til enten pegcetakoplan eller placebo (n=124). Kontrollert periode var 26 uker. Det var tillatt med samtidig bakgrunnsmedisin i begge armer, hvorav 40 % av pasientene ble behandlet med kortikosteroider og 56 % med mykofenolatmofetil. Primærendepunkt var endring i log-transformert urin protein-kreatinin-ratio (UPCR) fra studiestart til uke 26. Endring i nyrefunksjon (eGFR) var et av de sekundære endepunktene.</p> <p>Iptakopan (Fabhalta) er en annen komplementhemmer med indikasjon til behandling av C3G ID2025_033. Det er foreløpig ikke tatt beslutning om innføring av iptakopan.</p>
Preliminær PICO¹	<p>P: I tråd med godkjent indikasjon.</p> <p>I: Pegcetakoplan brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtale.</p> <p>C: Dagens standardbehandling: støttebehandling med RAS- og/eller SGLT2-hemmere, eventuelt kombinert med glukokortikoider og mykofenolatmofetil ved moderat til alvorlig sykdom.</p> <p>O: Proteinuri, nyrefunksjon (eGFR), sykdomsprogresjon (behov for dialyse/transplantasjon), overlevelse, sikkerhet, helserelatert livskvalitet, ressursbruk</p>
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	<p>Relevant komparator i norsk klinisk praksis (RAS-hemmer, kortikosteroider og mykofenolatmofetil) var tillatt som bakgrunnsbehandling i begge armer i VALIANT-studien, og relativ effekt fra studien kan derfor brukes direkte i en helseøkonomisk modell. Surrogatendepunkter og kort varighet av studien (26 uker kontrollert periode) vil imidlertid gi stor usikkerhet om relativ effekt på kliniske endepunkter.</p> <p>DMP påpeker at eventuell bruk av eksterne data for å informere en helseøkonomisk analyse må understøttes av systematiske litteratursøk, etterfulgt av objektiv utvelgelse av egnet dokumentasjon som er representativ for norsk klinisk praksis.</p> <p>Pegcetakoplan har også indikasjon til behandling av paroksysmal nattlig hemoglobinuri (PNH), men er ikke innført (ID2023_097 og ID2026_006).</p>
Anbefaling fra Direktoratet for	<p>DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for</p>

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

medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse).
---	---

Kilder:

- 1) [Membranoproliferative glomerulonephritis: Classification, clinical features, and diagnosis - UpToDate](#)
- 2) [Long-Term Outcomes of C3 Glomerulopathy and Immune-Complex Membranoproliferative Glomerulonephritis in Children - PMC](#)
- 3) [C3 glomerulopathies: Dense deposit disease and C3 glomerulonephritis - UpToDate](#)
- 4) [C3 glomerulonephritis and dense deposit disease share a similar disease course in a large United States cohort of patients with C3 glomerulopathy - ScienceDirect](#)
- 5) [Generell veileder i pediatri. Kap 10. Nyre, urinveier og kjønnsorganer - Helsebiblioteket](#)
- 6) [Akuttveileder i pediatri. Kapittel 10.5 Akutt glomerulonefritt - Helsebiblioteket](#)
- 7) [Membranoproliferative glomerulonephritis: Treatment and prognosis - UpToDate](#)

Versjonslogg*	
Dato	Hva
15.04.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP
*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonordlyd. For informasjon om endringer, se Legemiddelsøk.no . Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.	

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_006

Spørsmål	Faglige innspill
<p>1. Dagens behandling – alternativ</p> <p>- Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag?</p> <p>- Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering?</p> <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p>	<p>Ingen effektiv behandling, eculizumab kun delvis effekt. Det som brukes er mycofenolat og prednisolon, men er forbundet med store bivirkninger, og høy andel oppnår tilbakefall. C3-glomerulopati er også den glomerulopati med høyest sjanse for tilbakefall etter nyretransplantasjon, oppmot 90 %. Standard immun suppressjon, som mykofenolat og prednisolon, er derfor ikke effektive mot den underliggende patogenesen i komplement systemet.</p> <p>Eneste reelle komparator vil være iptacopan (ID2025_033), som også spesifikt hemmer komplement-systemet.</p>
<p>2. Plass i norsk klinisk praksis</p> <p>- Er det klinisk behov for metoden?</p> <p>- Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?</p> <p>Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p>	<p>Ja, det er behov, da ingen effektiv behandling, unge pasienter, tenåringer til yngre voksne, kan potensielt utsette/forhindre terminal nyresykdom, og dermed dialyse, transplantasjon, re-transplantasjon. Stor fare for tilbakefall etter nyretransplantasjon.</p> <p>Legemiddelet vil bli brukt i tillegg til etablert støttebehandling (type RAAS blokkade, SGLT-2 hemmer, BT senkende, lipid senkende)</p>

<p>3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?</p>	<p>Unge pasienter – oftest ungdom og unge-voksne (tenåringer til pasienter i 30-årene), insidensen i Norge er et fåtall pasienter, slik at ytterligere avgrensning ikke vil være nødvendig. Potensielt meget effektiv behandling med stor samfunnsnytte (inkl. utgifter til sykmeldinger, dialyse, transplantasjon, tap av arbeidskraft, skatteinntekter etc)</p>
<p>4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?</p>	<p>Mest potente medikamenter som angriper de dysregulerte prosessene i komplement-systemet er aktuelle legemiddel Pegcetacoplan, samt Iptacopan (ID2025_033). Disse medikamentene vil derfor være i tråd med regjeringens visjon om persontilpasset medisin (Nasjonal strategi for persontilpasset medisin 2023-2030)</p>
<p>5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?</p>	<p>nei</p>

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv 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).

Honorar 2500 kr (etter skatt) mottatt fra Novartis i oktober 2025 for forberedelser og foredrag på Nordisk nyre-patologi møte den 29.08.25

Ble forespurt av Novarits om å holde innlegg om C3 glomerulopati da nyreavdelingen på AHUS er et av Norges største og har pasienter med denne lidelsen (meget sjeldent forekommende).

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	Akershus Universitetssykehus
Avdeling	Nyremedisinsk Avdeling
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Bartlomiej J. Witczk, MD, PhD

Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>

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*:	ID2026_006
Metodens navn:	Pegcetakoplan (Aspaveli)

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Marit Lundberg
Eventuell organisasjonstilhørighet/arbeidsplass/firma	Landsforeningen for Nyrepasienter og Transplanterte
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	Marit.lundberg@lnt.no 47365534

3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) <i>Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.</i>
Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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: Pegcetacoplan (Aspaveli) er aktuelt for pasienter med den sjeldne nyresykdommen C3 glomerulopati (C3G) og primær immun-kompleks membranoproliferativ glomerulonefritt (IC-MPGN). Dette gjelder spesielt barn, unge og unge voksne. Sykdommene er alvorlige og progressive, og over halvparten av pasientene utvikler nyresvikt innen 5–10 år.

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

Beskriv kortfattet: Ja. Per i dag finnes det svært begrensede behandlingsalternativer for denne pasientgruppen, og ingen godkjente behandlinger som direkte retter seg mot sykdommens grunnmekanisme. Dagens behandling består hovedsakelig av: **Støttebehandling (RAS-hemmere)** for å redusere proteinuri, **Immunsuppressiv behandling**, med varierende og ofte begrenset effekt, **“Vent og se”-tilnærming**, der man følger sykdomsutviklingen, **Dialyse og nyretransplantasjon** ved utvikling av nyresvikt. utfordringer med dagens behandling: Effekten er ofte utilstrekkelig og uforutsigbar, Behandlingen adresserer ikke komplementaktivering, som er sentral i sykdommen, Mange pasienter progredierer til nyresvikt til tross for behandling, Høy risiko for tilbakefall etter transplantasjon (rapportert opptil ca. 90 %). Dette innebærer en betydelig sykdomsbyrde og dårlig prognose for mange pasienter.

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: Fra et pasientperspektiv vil følgende være særlig viktig: 1. Mulighet

til å bremse sykdomsprogresjon tidlig: Pegcetacoplan er en målrettet behandling som hemmer C3 i komplementsystemet og dermed angriper den underliggende sykdomsmekanismen. Kliniske studier viser at behandlingen kan redusere proteinuri og stabilisere nyrefunksjon, noe som er avgjørende for å forsinke eller forhindre nyresvikt. 2. Redusert risiko for dialyse og transplantasjon: For pasienter er det svært viktig å unngå eller utsette behov for dialyse og transplantasjon, som medfører stor belastning og redusert livskvalitet. Det er lang venteliste på nyretransplantasjon i Norge, og det er viktig at nyresykdommer behandles effektivt for å redusere antallet som har behov for transplantasjon. 3. Bedre livskvalitet og forutsigbarhet: En behandling som stabiliserer sykdommen kan redusere usikkerhet, angst og belastning knyttet til et uforutsigbart sykdomsforløp. 4. Sjelden sykdom – stort behov for målrettede tiltak: Pasientgruppen er liten, men har høy sykdomsbyrde. For disse pasientene vil tilgang til en målrettet behandling kunne ha stor individuell og samfunnsmessig betydning.

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

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

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: Landsforeningen for Nyrepasienter og Transplanterte (LNT) har ingen økonomiske eller andre interessekonflikter knyttet til dette innspillet.

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*:	ID2026_006
Metodens navn:	Pegcetakoplan (Aspaveli)

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Sebastian Myrup Hansen, representing the patient and caregiver advocacy group of CompCure.
Eventuell organisasjonstilhørighet/arbeidsplass/firma	CompCure www.comp cure.org
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	smh@comp cure.org +45 30 17 30 98

3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) <i>Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.</i>
CompCure is a Danish non-profit association with the overarching objective of improving outcomes in complement-mediated kidney diseases. CompCure was founded by caregivers, and the association is governed by a group of global experts, incl. nephrologists, scientists, patients, caregivers, etc. Through the registry, which includes 380 patients with C3G or IC-MPGN, interviews, research, focus groups and events, we have

developed a comprehensive understanding of how the diseases impact patients and families living with C3G and IC-MPGN.

1. Patients are frequently unresponsive to current standards of care, including repeated rounds of high-dose steroids, and other immunosuppressive drugs, such as mycophenolate mofetil. As a result, the majority of those affected will progress to end-stage-renal disease within a decade after they are diagnosed with the current standards of care (Pickering MC, et al. *Kidney Int.* 2013 Dec; 84(6):1079-89).
2. Recurrence of disease after receiving a kidney transplant is common, approaching 89% in some disease subtypes (Tarragón B, Peleg, et. al. *C3 Glomerulopathy Recurs Early after Kidney Transplantation in Serial Biopsies Performed within the First 2 Years after Transplantation.* *Clin J Am Soc Nephrol* 2024; 19(8):1005-1015).
3. It is common for patients to experience severe and debilitating disease manifestations, incl. extra-renal complications, which can be mental health related, involve fatigue, drusen, nausea, pruritus, infections, stroke, etc. according to unpublished research performed by CompCure based on patient reported outcomes during focus groups, in-depth interviews and surveys.
4. The impact on employment is substantial with more than 50% of affected patients/caregivers having to go part-time within two years after diagnosis. This proportion increases as the disease progress, according to patient-reported outcomes performed by CompCure (abstract submitted for the annual congress of the European Renal Association, ERA, 2026).
5. In our community, which counts more than 250 patients and caregiver representatives, the experiences with pegcetacoplan are generally very positive and at least consistent with what was shown in the clinical trial. Apart from stopping/slowing the disease progression, the product has allowed people to return to the workforce and to a full and productive life, after months/years of declining health and/or severe impact of the disease. In our community, we have several young people on pegcetacoplan. Many of them went through long and devastating journeys, which includes lengthy and sometimes traumatic hospital stays, incl. in ICUs. Some of these young patients are transplanted more than once. Our consistent ask is to make the new products available to patients in need, early, and while there is still kidney function left to preserve.

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: Until recently (and still in most countries) treatment options for C3G and IC-MPGN have been/are limited to non-specific immunosuppressants and eculizumab (which is only available in some countries, and sometimes only after transplantation). The most commonly used immunosuppressive treatments are steroids, mycophenolate mofetil, rituximab, cyclophosphamide, etc. Whereas these therapies are often ineffective in treating C3G and IC-MPGN, their physiologic and psychologic side effects are well understood. We recognize that these therapies work in some cases, but they often come with an additional price for patients, which can be defined by growth retardation, metabolic side effects, incl. diabetes, infertility, malignancies, mental health impact, both related to anxiety and the ability to concentrate and focus, etc. In our community, we have several patients who had to stop working, postpone or give up their education, or accept that they could no longer be the supporting parent

they used to be – not just because of the diseases, but also because of the side effects of the therapies they received.

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: From research by CompCure presented by G. Bassanese at the Annual Meeting of the German Paediatric Nephrology Association 25-28 March 2026 (publication pending), real-world evidence from 25 patients (19 C3G and 4 IC-MPGN) treated with pegcetacoplan over 6 months revealed a mean reduction of proteinuria of 81%. Moreover, 15% of the patients achieved full remission, and 64% of the patients achieved a partial remission. These findings align with the information we are getting directly from patients. After initiation on pegcetacoplan, patients in our community report stabilization or slowing of disease progression, stabilized kidney function, reduction in proteinuria, longer expected allograft survival, minimal side effects, more energy, and better overall quality of life. Pegcetacoplan has allowed several patients in our community to return to a productive and full life after long periods of serious diseases and/or steadily declining health. For many patients this means possibility to start working again, continue with an education, returning to be the parent or family member they used to be, etc. It is important for us as a patient community, that pegcetacoplan is not kept as a last resort, but that it is used in a timely manner, while there is still kidney function left to preserve. We note that continuous monitoring is essential to gain understanding of the long-term outcomes, related to pegcetacoplan and all other therapies.

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

Over the past two years, CompCure has developed an international registry and cohort study, which has enrolled 380 patients living with C3G and IC-MPGN, primarily from Europe. CompCure's registry is a sub-registry of the European Rare Kidney Diseases Network's (ERKNet) registry. The purpose of the registry is to improve the understanding of the natural history of C3G and IC-MPGN and to generate real-world evidence from patients living with these diseases, to support research, optimal disease management, and care.

As a patient community and network with more than 250 affected patients and caregiver representatives, we are concerned about the, in our opinion, weak level of evidence that has informed guidelines and various decisions, including clinical and access-related decisions in the past.

Both C3G and IC-MPGN are heterogeneous and generally associated with bleak outcomes. Thus, we believe it is of critical importance to develop and use datasets, which are sufficiently powered to inform meaningful and optimal decisions. We recognize that for rare diseases in general, it is mostly not possible to generate such quality of evidence locally in one country. To support patients and families living with these conditions, the clinicians who care for them, and the society, we are pleased to share our knowledge, and offer our input locally, which is why we hereby reach out to Nye Metoder.

These answers to authorities, incl. Nye Metoder, have been developed by patient representatives of CompCure, with input from members of our international patient and caregiver advocacy board, which includes leaders of several local patient organizations.

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: CompCure is funded by private donations, and grants e.g. from ERDERA, Sobi and Novartis

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*:	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
Metodens navn:	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

9215166

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

Innspill til ID 2024-006/Pegcetokoplan (Asparidii)

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn <i>ANN CHRISTIN GJERSTAD</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
Eventuell organisasjonstilhørighet/arbeidsplass/firma <i>BARNEMEDISIN, OUS</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

ann.gjerst@ous-hf.no

3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.
Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst. <i>Pegcetokoplan har vist lovende funn/resultater til en sykdom som vi hittil ikke har hatt noen god behandling for (C36). Pasientene har skummende proteiner som gjør fjerne til gradvis utvikling av nyreskade og etter hvert nyresvikt. Etter nyretransplantasjon er det stor risiko for residu</i>

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/endeponkter 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.

Barn, ungdom og voksne med C3 glomerulopati

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.

Annene komplekse medikamenter (exculisumab) anses som ikke effektive og brukes derfor ikke.

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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Tilgjengelighet til medisinen & opplærng i å administrere selv utgjør sykkelens

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

Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

*Medisinen må undersøkes iamprens nyttig da den kan forhindre
nyresvikt og transplantasjon noe som gjør et nyktransplantat
tilgjengelig for andre pasienter.*

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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Ingen økonomiske bindinger eller interesser.

Saksnummer 057-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2026_008 Klesrovimab (Enflonsia) til forebygging av nedre luftveisinfeksjon forårsaket av respiratorisk syncytialvirus (RSV) hos nyfødte og spedbarn som er født i eller går inn i sin første RSV-sesong.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er MSD (Norge) AS.
- Anmodningen gjelder et nytt virkestoff: klesrovimab (Enflonsia), et antiviralt monoklonalt antistoff.
- Legemidlet er ikke omfattet av europeisk HTAR-prosess.
- Forventet tidspunkt for CHMP-opinion i EMA: februar 2026.
- Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) i Norge: mai 2026.
- Leverandør skriver at de tre monoklonale antistoffene klesrovimab, nirsevumab og palivizumab mot respiratorisk syncytialvirus (RSV) har sammenliknbar virkningsmekanisme, men ulike egenskaper og ulikt datagrunnlag. Klesrovimab har enkelte fordeler, spesielt med tanke på administrasjonshyppighet (enkeltdose) og vektuavhengig dosering.
- Dagens behandling: Palivizumab brukes forebyggende i risikogrupper. Nirsevumab er godkjent, men ikke lansert i Norge.
- Plass i behandlingen: Som et alternativ både i et mulig barnevaksinasjonsprogram og for risikogrupper, og som erstatning for nåværende bruk av palivizumab.
- Pasientgrunnlag: Hele fødselskohorten er aktuell ved program. Bruk til risikogrupper skal følge dagens kriterier for forebygging.
- Det er ikke anbud nå, men leverandør er kjent med at det planlegges anbud for bruk til risikogrupper i 2026, og muligens for barnevaksinasjonsprogram i 2027.
- Type helseøkonomisk analyse: Leverandør foreslår at prisnotat er tilstrekkelig.
- Forventet levering av dokumentasjon: til Sykehusinnkjøp HF i mai 2026.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnehetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (vedlagt):

- Pasientgruppen med særskilt høy risiko for å få alvorlig RSV-infeksjon omfatter rundt 350-400 barn årlig i Norge.
- Palivizumab (Synagis) er i dag eneste tilgjengelige profylaktiske behandlingen i Norge for spedbarn og barn opptil 24 måneder med høy risiko for å utvikle alvorlig RSV-infeksjon.
- Palivizumab administreres intramuskulært én gang i måneden og opptil fem ganger, gjennom RSV-sesongen. Klesrovimab gis som én enkelt intramuskulær injeksjon i fast dose.
- Klesrovimab er direkte sammenlignet mot palivizumab i SMART-studien.
- DMP har tidligere vurdert refusjonssøknad for nirsevumab (Beyfortus) for barn med økt risiko for alvorlig forløp av RSV-infeksjon, innenfor blåreseptordningen. Konklusjonen fra DMP var at innføring av nirsevumab ville gi kostnadsbesparelser for Folketrygden versus dagens bruk av palivizumab. Nirsevumab er imidlertid ikke tilgjengelig i Norge da den ikke er markedsført.
- Anbefaling fra DMP:
 - o DMP har opplyst saken i egnehetsvurderingen, og vurderer at en metodevurdering i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker.
 - o DMP mener opplysninger i egnehetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: 1 innspill.
- Helse Vest RHF: 2 innspill.

- Innspill fra fagperson: 1 innspill

Innspill fra Helsedirektoratet

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Det er en mulighet for at de nasjonale faglige retningslinjene for barsel- og/eller fødselsomsorgen kan bli påvirket.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret ble overført til RHF-ene 01.01.2026.

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av):

Fyll ut dato for innsending av skjema: 26.01.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	MSD (Norge) AS
1.2 Navn kontaktperson	Søren Toksvig Klitkou
1.3 Stilling kontaktperson	Assoc dir. Market access manager
1.4 Telefon	40451138
1.5 E-post	soren.klitkou@msd.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.7 Telefon og e-post	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	Et nytt virkestoff <input checked="" type="checkbox"/> En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon <input type="checkbox"/> En ny styrke eller formulering <input type="checkbox"/>
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Forebygging av nedre luftveisinfeksjon forårsaket av respiratorisk syncytialvirus (RSV) hos nyfødte og spedbarn som er født i eller går inn i sin første RSV-sesong

<p><i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i></p> <p><i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i></p>	
<p>2.3 Handelsnavn</p>	<p>Enflonsia</p>
<p>2.4 Generisk navn/virkestoff</p>	<p>klesrovimab</p>
<p>2.5 ATC-kode</p>	<p>J06BD10</p>
<p>2.6 Administrasjonsform og styrke</p> <p><i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i></p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>105 mg injeksjonsvæske, oppløsning i ferdigfylt sprøyte</p> <p>Anbefalt dose er 105 mg administrert som en enkelt intramuskulær (i.m.) injeksjon</p> <p>For nyfødte og spedbarn født i løpet av RSV-sesongen, skal Enflonsia administreres fra fødselen. For spedbarn født utenfor RSV-sesongen, skal det administreres én gang før starten av deres første RSV-sesong</p>
<p>2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme.</p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Farmakoterapeutisk gruppe: immunsera og immunglobuliner, antivirale monoklonale antistoffer.</p> <p>Virkningsmekanisme: nøytraliserende, fullt humant immunglobulin G1 kappa (IgG1κ) monoklonalt antistoff med en trippel aminosyresubstitusjon (YTE) i Fc-regionen, som øker bindingen til den neonatale Fc-reseptoren. Dette gir forlenget halveringstid i serum. Klesrovimab gir passiv immunitet ved å rette seg mot RSVs ytre membranfusjonsprotein (F-protein) for å hindre at viruset trenger inn i cellene.</p>

3 Historikk – virkestoff og indikasjon

<p>3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer:</p>
---	---

<p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: DMP har vurdert refusjonssøknad for nirsevimab (Beyfortus) for riskogrupper, hvor konklusjonen var at innføring av nirsevimab ville gi kostnadsbesparelser for Folketrygden versus dagens bruk av palivizumab. DMP har også i oktober 2025 gjort en metodevurdering av nirsevimab finansiert i nasjonalt vaksinasjonsprogram. FHI har dessuten i november 2025 publisert en rapport med anbefaling om at forebyggende tiltak mot respiratorisk RSV til spedbarn innføres i barnevaksinasjonsprogrammet. Siden tilbud om langtidsvirkende monoklonalt antistoff sannsynligvis vil forebygge flere tilfeller av RSV-sykdom, anbefales å tilby langtidsvirkende mAb til spedbarn i et utvidet sesongbasert program gitt på sykehus.</p>
<p>3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi referanse</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Referanse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<h4>4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring</h4>	
<p>4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner?</p> <p><i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for MT for første indikasjon: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>
<p>4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon?</p> <p><i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i></p> <p><i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i></p> <p><i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i></p>	<p>MT i Norge: Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Prosedyrenummer i EMA: EMEA/H/C/006497/0000</p> <hr/> <p>Hvis metoden ikke har MT:</p> <p>Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Februar 2026</p>

	<p>Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år):</p> <p>Mai 2026</p>
	<p>Hvis metoden har MT:</p> <p>Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen:</p> <p>Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>
<p>4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Beskrivelse:</p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for «orphan drug designation»:</p> <p>Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>

5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

<p>5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
---	---

6 Sammenlignbarhet og anbud

<p>6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Kommentar:</p> <p>De tre monoklonale antistoffene klesrovimab, nirsevimab og palivizumab mot RSV har sammenliknbar virkningsmekanisme, men ulike egenskaper og ulikt datagrunnlag. Klesrovimab har enkelte fordeler spesielt mtp administrasjons-hyppighet og vektuavhengig dosering.</p>
<p>6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Legemiddel og ID-nummer:</p>

<p>metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Kommentar: Men det planlegges anbud for risikogrupper i 2026, og kanskje barnevaksinasjonsprogram i 2027</p>

<h3>7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)</h3>	
<p>7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB?</p> <p><i>Hvis nei, begrunn kort</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Begrunnelse: JNHB ikke relevant ettersom andre nordiske land enten allerede har innført barnevaksinasjonsprogram mot RSV med antistoff profylakse eller maternell vaksine under svangerskapet.</p>

<h3>8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)</h3>	
<p>8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for søknad til EMA:</p> <p>Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>

<h3>9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse</h3>	
<p>9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren?</p> <p><i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i></p> <p><i>Begrunn forslaget</i></p>	<p>Dersom det innføres et anbud for risikopasienter vil det være unødvendig med helseøkonomisk analyse for klesrovimab, og et prisnotat kan utarbeides fra Sykehusinnkjøp. Dette hviler på at det vil være kostnadsbesparende med én enkelt injeksjon for klesrovimab vs månedlige injeksjoner for palivizumab. I tråd med analysen til DMP for nirsvevimab, forutsetter MSD at klesrovimab vil være kostnadsbesparende for helsetjenesten.</p> <p>Ved innføring av barnevaksinasjonsprogram og utlysning av anbud, vil egen helseøkonomisk analyse</p>

	være unødvendig ettersom et anbud er en de-facto cost-min analyse blant tilgjengelige alternativ eventuelt vektet for anbudskriterier.
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Indikasjonen til Enflonsia. Forebygging av nedre luftveisinfeksjon forårsaket av respiratorisk syncytialvirus (RSV) hos nyfødte of spedbarn som er født i eller går inn i sin første RSV-sesong
9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.) <i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i>	Data fra vitenskapelig litteratur for de to studiene CLEVER (forebygging av RSV-infeksjon blant friske nyfødte) eller SMART (forebygging av RSV-infeksjon blant spedbarn med høy risiko). MSD har en indirekte sammenligning basert på publiserte data mot nirsevimab. For MSD er utgangspunktet for denne sammenligningen CLEVER studien. Denne analysen er delt med Sykehusinnkjøp som i samtale med kliniske eksperter kan vurdere sammenlignbarhet av klesrovimab og nirsevimab som alternativ i et evt. barnevaksinasjonsprogram. SMART-studien var direkte sammenlignende mot palivizumab.
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Ukjent, siden produktet ikke har pris ennå.
9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF. <i>Tidspunkt må oppgis</i>	Levering av dokumentasjon til SHI for foreslåtte prisnotat i etterkant av prosess i Bestillerforum, anslagsvis i starten av mai 2026.

10 Sykdommen og eksisterende behandling

10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon <i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombylde, eventuelt inkl. referanser</i>	Respiratorisk syncytialvirus (RSV) er et RNA-virus som primært infiserer epitelcellene i de øvre og nedre luftveiene, og primært forårsaker luftveisinfeksjoner, særlig hos små barn og eldre. Virusets smittsomhet gjør at det sprer seg raskt, særlig i barnehager og blant barn i førskolealder. Klinisk kan infeksjon med RSV variere fra lette symptomer som hoste og rennende
--	---

	<p>nese, til mer alvorlige tilstander som bronkiolitt og lungebetennelse.</p> <p>RSV-sesongen varer vanligvis fra høsten til tidlig vår, og symptomene kan variere fra milde forkjølelssymptomer til alvorlige luftveislager. I CLEVER-studien blant friske nyfødte reduserte klesrovimab signifikant risikoen for ulike RSV-relaterte endepunkter av ulik alvorlighetsgrad, fra akutt luftsvveisinfeksjon forårsaket av RSV til sykehusinnleggelse og alvorlig sykdom, og med økende effekt på endepunkter med økende alvorlighetsgrad. I SMART-studien var en enkelt dose klesrovimab sammenlignbare resultater som månedlig palivizumab for forekomst av RSV-relatert sykdom blant spedbarn med høy risiko for RSV.</p>
<p>10.2 Fagområde</p> <p><i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i></p>	<p>Velg fagområde fra menyen:</p> <p>Infeksjonssykdommer</p>
<p>10.3 Kreftområde</p> <p><i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i></p>	<p>Velg kreftområde fra menyen:</p> <p>Velg et element.</p>
<p>10.4 Dagens behandling</p> <p><i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i></p>	<p>Palivizumab (Synagis) er et monoklonalt antistoff (mAb) mot RSV som gis månedlig, og har vært brukt som forebyggende behandling mot RSV infeksjoner til spedbarn med særlig høy risiko for alvorlig sykdom siden 1999 (ref Nyfødtveileder, Helsebiblioteket). Beyfortus (nirsevimab) er også et godkjent mAb som nylig er vurdert av DMP i to helseøkonomiske analyser – en for riskogrupper og en for barnevaksinasjonsprogram. Nirsevimab og klesrovimab er begge langtidsvirkende mAb. Nirsevimab er ennå ikke lansert i Norge.</p>
<p>10.5 Prognose</p> <p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p>	<p>Publikasjonen av Havdal et al fra 2021, "The burden of respiratory syncytial virus in children under 5 years of age in Norway" beskriver sykdomsbyrden av RSV i Norge hos barn under 5 år. Konklusjonen fra Havdal et al tilsier at barn uten komorbiditet står for langt de fleste (85%) av alvorlige sykehusforløp for barn med RSV -infeksjon, mens barn med forhøyet risiko (premature, trisomi 21, medfødt hjertesykdom, lungesyke, immunkompromitterte, og barn med nevrologiske sykdommer samt kreft) har høyere rater av innlagte opphold.</p>

<p>10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen</p>	<p>MSD forstår at klesrovimab kan egne seg for barnevaksinasjonsprogram og til risikopasienter. Klesrovimab vil kunne erstatte dagens bruk av palivizumab som frem til 1. januar 2026 ble brukt på §3 etter individuell refusjon. For barnevaksinasjonsprogram, vil klesrovimab, hvis innført, utgjøre et nytt forebyggende tiltak til befolkningen.</p> <p>For innføring i barnevaksinasjonsprogram er det ventet at det vil være behov for økt vaksinasjonskapasitet. For barn født før sesong vil vaksinasjon på helsestasjon kunne være relevant. Spedbarn kalles hyppig inn til helsestasjonen i løpet av det første leveåret, og man kan forsøke å legge administrasjon av klesrovimab til et av disse besøkene. Det er viktig at FHI og offentlig helsetjeneste tar stilling til hvordan dette kan organiseres. For barn født i sesong vil vaksinasjon under sykehusopphold kunne være relevant. MSD anser at man kan vurdere å gi tilbud om vaksiner til barn født i sesong samtidig med at prøve tas til nyfødtscreening (på sykehus, ca 48 timer etter fødsel). Klesrovimab bør gis kort tid etter fødsel for å gi beskyttelse mot smitte.</p> <p>Det er ventet at et barnevaksinasjonsprogram vil føre til vesentlig avlastning for helsetjenesten som følge av redusert sykdom på populasjonsnivå. Det er ventet at et vaksinasjonsprogram vil kunne føre til mindre belegg på sykehus og redusert behov for bemanning på sykehus i sesong</p>
<p>10.7 Pasientgrunnlag</p> <p><i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i></p> <p><i>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</i></p>	<p>Ved inklusjon i barnevaksinasjonsprogrammet vil det være aktuelt å tilby behandling til hele fødselskohorten. Hvis inkludert i barnevaksinasjonsprogrammet, anser MSD at lignende dekningsgrad vil oppnås for vaksine mot RSV-infeksjon som øvrige vaksiner, anslagsvis ~95% av fødselskohorten (~54 000 barn i 2024). Fra legemiddelregisteret kan man for 2023 og 2024 se at hhv. 364 og 340 barn i aldersgruppen 0-4 år fikk utlevert palivizumab (Synagis). MSD antar at bruken av</p>

* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives	Synagis i hovedsak er for barn født i - eller på vei inn i første RSV sesong.
---	---

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	PN-004 (CLEVER)	PN-007 (SMART)	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.2 Studietype og -design	RCT 2:1 mot placebo (n=3614)	RCT 1:1 mot palivizumab (n=896)	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	Sikkerhet og effektivitet ved klesrovimab for premature og fullbårne nyfødte	Sikkerhet, effektivitet og farmakokinetikk ved klesrovimab for nyfødte og spedbarn opp til 1 års alder som er under forhøyet risiko for alvorlig RSV sykdom	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	Friske prematurfødte spedbarn (gestasjonsalder fra ≥ 29 uker til < 35 uker). Spedbarn født til termin (gestasjonsalder ≥ 35 uker)	Spedbarn med økt risiko for alvorlig RSV-sykdom på grunn av risikofaktorer som medfødt hjertefeil, kronisk lungesykdom eller prematuritet (gestasjonsalder ≤ 35 uker)	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	105 mg klesrovimab gitt intramuskulært som enkeltdose (n=2411) Alle RSV-assosierte effektendepunkter fulgt opp i 6 måneder etter dosering.	105 mg klesrovimab gitt intramuskulært på dag 1, placebo dag 28) (n=446)	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<p>11.6 Komparator (n)</p> <p><i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i></p>	<p>Placebo (0,9% NaCl) gitt intramuskulært som enkeltdose (n=1203) Samme varighet som intervensjon</p>	<p>Palivizumab, 3-5 doser intramuskulært (n=450)</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.7 Endepunkter</p> <p><i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i></p>	<p>RSV-assosiert effekt:</p> <ul style="list-style-type: none"> • MALRI (medically attended lower respiratory tract infection) med ≥ 1 indikator på nedre luftveisinfeksjon/ alvorlighetsgrad (primært endepunkt) • Sykehusinnleggelse (sekundært endepunkt) • Akutt luftveisinfeksjon (ARI) (tertiært endepunkt) • Sykehusinnleggelse grunnet nedre luftveisinfeksjon (tertiært endepunkt) • Alvorlig MALRI (tertiært endepunkt) • MALRI med ≥ 2 indikatorer på nedre luftveisinfeksjon/alvorlig hetsgrad (post-hoc-analyse) <p>Sikkerhet:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Bivirkninger • Alvorlige bivirkninger 	<p>Sikkerhet / tolerabilitet – Bivirkninger (AEs) frem til dag 42 og i 14 dager etter hver påfølgende dose, samt alvorlige bivirkninger (SAEs) gjennom hele studiens varighet (primært endepunkt)</p> <p>Første RSV-sesong: farmakokinetikk (PK) – Følges opp til 8 måneder</p> <p>Ved måned 5</p> <p>RSV-assosiert effekt</p> <ul style="list-style-type: none"> • MALRI med ≥ 1 indikator på nedre luftveisinfeksjon/ alvorlighetsgrad (sekundært endepunkt) • Sykehusinnleggelse (sekundært endepunkt) • Alvorlig MALRI (tertiært / eksplorativt endepunkt) • MALRI med ≥ 2 indikatorer på nedre luftveisinfeksjon/ 	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

		<p>alvorlighetsgrad (post-hoc-analyse)</p> <p>Ved måned 6</p> <p>RSV-assosiert effekt</p> <ul style="list-style-type: none"> • MALRI med ≥ 1 indikator på nedre luftveisinfeksjon/alvorlighetsgrad (tertiært / utforskende endepunkt) • Sykehusinnleggelse (tertiært / utforskende endepunkt) • MALRI med ≥ 2 indikatorer på nedre luftveisinfeksjon/alvorlighetsgrad (post-hoc-analyse) 	
<p>11.8 Relevante subgruppeanalyser</p> <p><i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i></p>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
<p>11.9 Oppfølgingstid</p> <p><i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i></p>	Effektendepunkter evaluert ved 150 og 180 dager etter administrasjon. De første 1650 (klesrovimab og placebo) inkluderte barn følges opp til dag 515 etter dosen er gitt (andre RSV-sesong).	<p>Alle spedbarna i studien ble avblindet på dag 60, noe som innebar at spedbarna i klesrovimab-gruppen ble spart for videre intramuskulære placeboinjeksjoner.</p> <p>Ved inklusjon i studien ble det identifisert hvilke spedbarn som ville kvalifisere for en andre sesong med RSV-profylakse, og alle disse ville få klesrovimab i en åpen studie i den andre sesongen – uavhengig av hvilken gruppe de var</p>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

		inkludert i under den første sesongen.	
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Studien er avsluttet.	Studien er pågående og data fra den andre RSV-sesongen vil bli rapportert.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Zar HJ, Simoes E, Madhi S, et al. 166. A Phase 2b/3 Study to Evaluate the Efficacy and Safety of an Investigational Respiratory Syncytial Virus (RSV) Antibody, Clesrovimab, in Healthy Preterm and Full-Term Infants. Open Forum Infect Dis. 2025;12(Suppl 1):ofae631.003. Published 2025 Jan 29. doi:10.1093/ofid/ofae631.003	Zar, HJ, Bont, LJ, Manzoni, P, et al. 167. Phase 3, Randomized, Controlled Trial Evaluating Safety, Efficacy, and Pharmacokinetics (PK) of Clesrovimab in Infants and Children at Increased Risk for Severe Respiratory Syncytial Virus (RSV) Disease. Open Forum Infect Dis. 2025;12(Suppl 1): ofae631.004). Published 2025 Jan 29. https://doi.org/10.1093/ofid/ofae631.004	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

12 Igangsatte og planlagte studier	
12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden? <i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Foreløpig er data fra første sesong for PN-007 presentert, resultater for andre sesong kommer (uvisst nøyaktig tidspunkt).
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

13 Diagnostikk	
<p>13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>13.2 Er testen etablert i klinisk praksis?</p> <p><i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</p> <p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
<p>13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

14 Andre relevante opplysninger	
<p>14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i></p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Dr Håvard Skjerven, Oslo universitetssykehus, og Dr Håvard Trønnes, Haukeland universitetssykehus deltok i desember 2024 i et nordisk advisory board om fase 3-dataene.</p>
<p>14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene?</p> <p><i>Hvis ja, begrunn kort.</i></p> <p><i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i></p> <p><i>Nærmere informasjon og skjema:</i> Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

14.3 Andre relevante opplysninger?	RS-virus sesongen er ofte forbundet med stor belastning for helsetjenesten og kan bety risiko for lengrevarende sykehusopphold med senfølger og i verste fall død hos nyfødte og små barn.
------------------------------------	--

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

	datagrunnlag. MSD skriver at det planlegges et anbud for risikogrupper for RSV i 2026, og at det med bakgrunn i dette vil være unødvendig med en helseøkonomisk analyse.									
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	<p>Palivizumab (Synagis) er i dag eneste tilgjengelige profylaktiske behandlingen i Norge for spedbarn og barn opptil 24 måneder med høy risiko for å utvikle alvorlig RSV-infeksjon.</p> <p>Palivizumab administreres intramuskulært én gang i måneden og opptil fem ganger, gjennom RSV-sesongen. Anbefalt dosering er palivizumab 15 mg/kg kroppsvekt per injeksjon. Klesrovimab gis som én enkelt intramuskulær injeksjon i fast dose (105 mg).</p> <p>Klesrovimab er direkte sammenlignet mot palivizumab i SMART-studien (NCT04938830), en fase III studie som undersøkte effekt og sikkerhet hos spedbarn med økt risiko for alvorlig RSV-sykdom som går inn i sin første RSV-sesong. Deltakerne ble randomisert til å motta klesrovimab på dag 1 (n=446), eller månedlig palivizumab (n=450) via intramuskulær injeksjon. Det primære endepunktet var sikkerhet og tolerabilitet av klesrovimab sammenlignet med palivizumab i første RSV-sesong. Sekundære endepunkter inkluderte forekomsten av RSV-assosiert medisinsk behandlet nedre luftveisinfeksjon (MALRI) som krevde ≥ 1 indikator på LRI eller alvorlighetsgrad, samt RSV-assosiert sykehusinnleggelse frem til dag 150. Resultatene er vist i tabellen (1).</p> <table border="1" data-bbox="539 1055 1382 1308"> <thead> <tr> <th>Endepunkt</th> <th>Klesrovimab n=443 i analysesettet</th> <th>Palivizumab n=437 i analysesettet</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>MALRI (krever ≥ 1 indikator på LRI eller alvorlighetsgrad, antall hendelser (%))</td> <td>14 (3,6 %) (95 % KI 2,0-6,0)</td> <td>12 (3,0 %) (95 % KI 1,6-5,3)</td> </tr> <tr> <td>RSV-assosiert sykehusinnleggelse, antall hendelser (%)</td> <td>5 (1,3 %) (95 % KI 0,4-3,0)</td> <td>6 (1,5 %) (95 % KI 0,6-3,3)</td> </tr> </tbody> </table> <p>DMP har tidligere vurdert refusjonssøknad for nirsevimab (Beyfortus) for barn med økt risiko for alvorlig forløp av RSV-infeksjon, innenfor blåreseptordningen (2). Konklusjonen fra DMP var at innføring av nirsevimab ville gi kostnadsbesparelser for Folketrygden versus dagens bruk av palivizumab. Nirsevimab er imidlertid ikke tilgjengelig i Norge da den ikke er markedsført.</p> <p>Pasientgruppen med særskilt høy risiko for å få alvorlig RSV-infeksjon omfatter rundt 350-400 barn årlig i Norge (2).</p>	Endepunkt	Klesrovimab n=443 i analysesettet	Palivizumab n=437 i analysesettet	MALRI (krever ≥ 1 indikator på LRI eller alvorlighetsgrad, antall hendelser (%))	14 (3,6 %) (95 % KI 2,0-6,0)	12 (3,0 %) (95 % KI 1,6-5,3)	RSV-assosiert sykehusinnleggelse, antall hendelser (%)	5 (1,3 %) (95 % KI 0,4-3,0)	6 (1,5 %) (95 % KI 0,6-3,3)
Endepunkt	Klesrovimab n=443 i analysesettet	Palivizumab n=437 i analysesettet								
MALRI (krever ≥ 1 indikator på LRI eller alvorlighetsgrad, antall hendelser (%))	14 (3,6 %) (95 % KI 2,0-6,0)	12 (3,0 %) (95 % KI 1,6-5,3)								
RSV-assosiert sykehusinnleggelse, antall hendelser (%)	5 (1,3 %) (95 % KI 0,4-3,0)	6 (1,5 %) (95 % KI 0,6-3,3)								
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	<p>DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen, og vurderer at en metodevurdering i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker. DMP mener opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.</p>									

Kilder

1. Zar, HJ, Bont, LJ, Manzoni, P, et al. 167. Phase 3, Randomized, Controlled Trial Evaluating Safety, Efficacy, and Pharmacokinetics (PK) of Clesrovimab in Infants and Children at Increased Risk for Severe Respiratory Syncytial Virus (RSV) Disease. Open Forum Infect Dis. 2025;12(Suppl 1): ofae631.004). Published 2025 Jan 29. <https://doi.org/10.1093/ofid/ofae631.004>
2. Refusjonsvedtak fra DMP for nirsevimab (Beyfortus) RSV (2025) [Refusjonsvedtak](#)

Versjonslogg*

Dato	Hva
15.04.2025	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.

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_ xxx)

ID2026_008 Klesrovimab

Spørsmål	Faglige innspill
<p>1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p>	<p>Ingen etablert behandling for ellers friske nyfødte og premature født etter gestasjonslader 28 uker.</p> <p>For risikogrupper, inkludert premature født før uke 28, barn med alvorlig hjertesykdommer eller alvorlige lungesykdommer brukes palivizumab (synagis) injeksjoner en gang månedlig gjennom den første RSV sesong, typisk 5 doser. For visse risikogrupper gis også behandling etter gjennomg den andre RSV sesongen</p>
<p>2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p>	<p>Ja:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Risikogrupper må få månedlige injeksjoner etter dagens praksis – dette er smertefult for barn i ung alder som ikke forstår hvorfor de må få behandlingen. Metoden vil erstatte palivizumab. Metoden (alternativ nirsevumab) vil være sentral. 2. Ellers friske spedbarn har i dag ingen profylakse mot RSV. RSV forårsaker et høyt antall innleggelses blant spedbarn hvert år. De er spesielt utsatt for alvorlig forløp ved RSV infeksjon. Metoden vil kunne vesentlig redusere risiko for innleggelse.

<p>3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?</p>	<p>Alle spedbarn (friske og syke) bør få tilbud om profylakse mot RSV i Norge</p>
<p>4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?</p>	<p>Dersom Maternell vaksine velges som RSV profylakse vil det fortsatt være behov for monoclonal antistoff for barn hvor mor ikke rakk vaksine innen 2 uker før fødselen – typisk premature, der hvor det er kontraindikasjon for vaksine, eller hvor mor ikke ønsker vaksinen selv.</p>
<p>5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv 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).

1. Har deltatt som fagekspert for sykehusinnkjøp ved vurdering av ny anbudsrunde for RSV profylakse til risikogrupper.
2. Har vært fagekspert for Direktoratet for medisinske produkter i metodevurdering for abrysvo (maternell vaksine) og nirsevimab.

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	Akershus Universitetssykehus
Avdeling	Barne- og ungdomsklinikken
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Christopher Inchley
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_008

Spørsmål	Faglige innspill
<p>1. Dagens behandling – alternativ</p> <p>- Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag?</p> <p>- Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering?</p> <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p>	<p>ID2026_008</p> <p>Ut over symptomatisk behandling er eneste terapeutiske middel i bruk i dag palivizumab, og dette bør være komparator i en metodevurdering. Avhengig av status på nirsevimab vil dette også være naturlig å sammenligne med.</p>
<p>2. Plass i norsk klinisk praksis</p> <p>- Er det klinisk behov for metoden?</p> <p>- Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?</p> <p>Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p>	<p>RSV-infeksjon står for inntil 40% av alle sykehusinnleggelse hos spedbarn i Norge i vintermånedene, og medfører betydelig sykkelighet i denne pasientgruppen som også uproporsjonalt inkluderer premature barn. Det er et stort behov for metoden, og vi regner med den vil erstatte eksisterende metode grunnet økt effektivitet i forebygging av RSV-assosiert sykdom, sykehusinnleggelse og alvorlig infeksjon. Halveringstiden muliggjør en enkelt injeksjon per sesong. Disse faktorene gjør at vi regner med metoden vil erstatte eksisterende metode helt.</p>
<p>3. Pasientpopulasjonen i Norge</p> <p>- Har du kommentarer til pasientpopulasjonen</p>	<p>Ingen kommentar.</p>

som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrrelse)?	
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Sammenligning med nirsevimab, og eventuell bruk av maternell RSV-vaksine.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv 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).

Det er ingen interessekonflikter

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	Helse Bergen
Avdeling	Barne og ungdomsklinikken
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Nicolay Mortensen, overlege, PhD
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_XXX)

ID2026_008 Klesrovimab (Enflonsia) til forebygging av nedre luftveisinfeksjon forårsaket av respiratorisk syncytialvirus (RSV) hos nyfødte og spedbarn som er født i eller går inn i sin første RSV-sesong.

Spørsmål	Faglige innspill
<p>1. Dagens behandling – alternativ</p> <p>- Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag?</p> <p>- Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering?</p> <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p>	<p>Monoklonalt antistoff (palivizumab) er tilgjengelig som profylaktisk behandling for RSV infeksjon til risikobarn.</p> <p>For øvrig finnes det ingen annen spesifikk behandling ved RSV infeksjon, kun symptomatisk støttebehandling.</p> <p>Komparator:</p> <p>Til barnet: Nirsevimab og palivizumab</p> <p>Passiv immunisering via vaksine i svangerskap: <i>Abrysvo</i></p>
<p>2. Plass i norsk klinisk praksis</p> <p>- Er det klinisk behov for metoden?</p> <p>- Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?</p> <p>Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p>	<p>Ja, RSV kan forårsake alvorlige luftveisinfeksjoner hos barn og omlag 13-21 av 1000 barn vil være i kontakt med sykehus på grunn av en RSV-infeksjon i løpet av første leveår, og rundt 2 av 1000 barn mellom 1-4 år.</p> <p>Nirsevimab fikk markedsføringstillatelse i Europa i 2022, men finansiering og indikasjon er ennå ikke avklart i Norge.</p>

3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Barn < 1 år, ev barn under 2 år med risikofaktor for alvorlig forløp ved RSV infeksjon
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Klesrovimab gis som en fast dose og ikke pr kg, mens nirsevimab doseres pr kg. Ingen studier har direkte sammenlignet nirsevimab og klesrovimab.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv 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).

Ingen interessekonflikter

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	Stavanger Universitetssjukehus
Avdeling	Barne og ungdomsklinikken
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Fagansvarlig overlege: Ingvild Bruun Mikalsen
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>

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*:	2026_008
Metodens navn:	Klesrovimab

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Anastasios Smyrnaio
Eventuell organisasjonstilhørighet/arbeidsplass/firma	Overlege ved Barne- og Ungdomsklinikken, StOlavs hospital
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	Anastasios.Smyrnaio@stolav.no, 72575959

<p>3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) <i>Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.</i></p>
<p>Respiratorisk syncytialvirus er en av de vanligste årsakene til alvorlig luftveisinfeksjon og sykehusinnleggelser hos spedbarn, særlig i de første leve-månedene. Forebygging er derfor et sentralt folkehelseiltak.</p> <p>Klesrovimab er et nyutviklet, langtidsvirkende monoklonalt antistoff mot RSV, godkjent av FDA i 2025. Legemidlet binder til et stabilt, kvaternært epitop som inkluderer antigenisk site IV på fusjonsproteinet – en region som finnes i både pre- og postfusjonskonformasjonen. Dette gir bred og forutsigbar beskyttelse. Ett enkelt dose gir immunitet i minst fem måneder, altså gjennom en hel RSV-sesong.</p> <p>Kliniske studier</p> <p>Effekt og sikkerhet er dokumentert gjennom to store internasjonale studier:</p>

Placebokontrollert studie (ca. 3600 spedbarn, 22 land):

RSV-relatert sykehusinnleggelse: 0,4 % med clesrovimab vs. 2,4 % med placebo.

Vernet effekt: 84,2 % (95 % KI 66,6–92,6).

Bivirkninger: Liknende forekomst som placebo.

Sammenligning mot palivizumab (ca. 900 risikobarn):

Innleggesrater var like (1,3 % vs. 1,5 %, overlappende KI).

Bivirkningsprofilen var sammenlignbar (forskjell –3,9 %, 95 % KI –9,6 til 1,9).

Det foreligger dermed solid dokumentasjon på at klesrovimab er minst like effektivt som palivizumab, og betydelig mer effektivt enn placebo, samtidig som sikkerheten er god.

Klinisk og helsetjenestemessig betydning

RSV er en ledende årsak til sykehusinnleggelse hos små barn, spesielt barn <1 år.

En sesongdose reduserer behovet for månedlige injeksjoner og forenkler implementering.

Forebygging av alvorlig RSV reduserer belastning på barneavdelinger, særlig i perioder med høy smitte.

De fleste europeiske land har allerede innført monoklonale antistoffer (nirsevimab) i vaksinasjonsprogrammet av spedbarn.

Konklusjon

Klesrovimab representerer et trygt, effektivt og praktisk forebyggende tiltak mot alvorlig RSV-sykdom hos spedbarn, med betydelig potensial for å redusere sykehusinnleggelser og ressursbruk.

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? (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: 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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

10. Andre kommentarer

Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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: Jeg er medlem av Spesialistgruppe om mAb mot RSV til risikogrupper som er etablert av Sykehusinnkjøp HF. Jeg har ingen økonomiske interesser i saken.

Saksnummer 058-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2026_009 Pembrolizumab (Keytruda) og enfortumabvedotin (Padcev) i kombinasjon som neoadjuvant behandling etterfulgt av pembrolizumab (Keytruda) i kombinasjon med enfortumabvedotin som adjuvant behandling etter radikal cystektomi for voksne pasienter med muskelinfiltrerende blærekreft som ikke tåler cisplatin eller av andre årsaker ikke er kandidater for cisplatinbasert behandling.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren som søker om markedsføringstillatelse (MT): MSD.
- Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse.
- Dagens behandling: Fjerning av urinblæren og tilhørende organer (radikal cystektomi) er standard behandling for pasienter som ikke er aktuelle for cisplatinbasert behandling. Noen pasienter får adjuvant immunterapi med nivolumab.
- Plassering i behandlingsalgoritmen: Metoden vil bli bruk som behandling før og etter cystektomi.
- Pasientgrunnlag: Leverandør estimerer at 100-130 pasienter per år er aktuelle for metoden.
- Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) i Norge for indikasjonen: Juli 2026.
- Forventet tidspunkt for levering av dokumentasjon til DMP: September 2026.
- Leverandør foreslår en kostnad-per QALY-analyse.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnehetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Vurdering fra DMP: Pembrolizumab i kombinasjon med enfortumabvedotin er aktuell som den første neoadjuvante behandlingen hos pasienter med kontra-indikasjoner mot cisplatinbasert kjemoterapi.
- Det foreligger en randomisert, åpen, fase III-studie i aktuell pasient-populasjon, som sammenlikner kombinasjonsbehandling med pembrolizumab + enfortumabvedotin gitt perioperativt (neoadjuvant og adjuvant) i tillegg til kirurgi (radikal cystektomi) versus kirurgi alene. Komparator i denne studien (kun kirurgi) vurderes som aktuell i norsk klinisk praksis per i dag, ettersom det ikke finnes etablert medikamentell behandling for de pasientene som ikke kan få cisplatinbasert kjemoterapi i neoadjuvant setting. For en selektert pasientgruppe vil adjuvant behandling med nivolumab kunne være en mulig komparator.
- Anbefaling fra DMP: DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse).

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: 1 innspill.
- Helse Vest RHF: 2 innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF): Ingen innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Kan påvirke nasjonalt handlingsprogram blærekreft.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret overført til RHF-ene 1.5.2017.

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av):

Fyll ut dato for innsending av skjema: 29.01.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	MSD (Norge) AS
1.2 Navn kontaktperson	Ubaid Ur Rehman
1.3 Stilling kontaktperson	Market Access Manager
1.4 Telefon	+47 998 960 67
1.5 E-post	ubaid.ur.rehman@msd.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.7 Telefon og e-post	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	Et nytt virkestoff <input type="checkbox"/> En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon <input checked="" type="checkbox"/> En ny styrke eller formulering <input type="checkbox"/>
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Pembrolizumab i kombinasjon med enfortumabvedotin som neoadjuvant behandling etterfulgt av pembrolizumab i kombinasjon med enfortumabvedotin som adjuvant behandling etter radikal cystektomi for

<p><i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i></p> <p><i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i></p>	<p>voksne pasienter med muskelinfiltrerende blærekreft som ikke tåler cisplatin eller av andre årsaker ikke er kandidater for cisplatinbasert behandling.</p>
<p>2.3 Handelsnavn</p>	<p>Keytruda + Padcev</p>
<p>2.4 Generisk navn/virkestoff</p>	<p>Pembrolizumab + enfortumabvedotin</p>
<p>2.5 ATC-kode</p>	<p>Enfortumabvedotin: L01FX13, pembrolizumab: L01FF02</p>
<p>2.6 Administrasjonsform og styrke</p> <p><i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i></p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Pembrolizumab: konsentrat til infusjonsvæske. 25mg/ml Enfortumabvedotin: PULVER TIL KONSENTRAT TIL INFUSJONSVÆSKE, oppløsning 20 mg og 30 mg</p> <p>Antatt dosering med pembrolizuab er enten 200 mg hver 3. uke eller 400 mg hver 6. uke. til sykdomsprogresjon eller i maksimalt 12 måneder Antatt dosering med enfortumabvedotin er 1.25mg/kg på dag 1 og 8 i en 21 dagers syklus i maksimalt 9 sykluser.</p>
<p>2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme.</p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Enfortumabvedotin er et antistoff-legemiddelkonjugat (ADC) målrettet mot Nektin-4, et adhesjonsprotein som finnes på overflaten av de uroteliale kreftcellene. Det består av et fullt humant IgG1-kappa-antistoff som er konjugert til det mikrotubuliforstyrrende midlet MMAE via en proteasespaltbar maleimidokaproyl-valin-citrullin-kobling. [1]</p> <p>Pembrolizumab er et humanisert monoklonalt antistoff som bindes til programmert celledød-1 (PD-1)reseptoren og blokkerer interaksjonen med ligandene PD-L1 og PD-L2. PD-1-reseptoren er en negativ regulator av T-celleaktivitet, og pembrolizumab forsterker dermed T-celleresponsen (inkludert anti-tumorresponsen) ved å blokkere bindingen av PD-1 til PD-L1 og PD-L2. [2]</p> <p>Referanser:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Enfortumabvedotin SmPC. Kap 5.1. 2. Pembrolizumab SmPC. Kap 5.1.

3 Historikk – virkestoff og indikasjon	
<p>3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: ID2014_034; ID2014_041; ID2016_067; ID2017_005; ID2017_060; ID2018_043; ID2018_067; ID2018_125; ID2019_025; ID2019_039; ID2019_045; ID2019_063; ID2020_078; ID2020_082; ID2021_030; ID2021_039; ID2021_079; ID2021_080; ID2021_120; ID2021_131; ID2022_137; ID2022_120; ID2023_091; ID2024_027; ID2022_117; ID2024_004; ID2022_022</p>
<p>3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi referanse</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Referanse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring	
<p>4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner?</p> <p><i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Dato for MT for første indikasjon: 17.07.2015</p>
<p>4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
<p>4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon?</p> <p><i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i></p> <p><i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i></p> <p><i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i></p>	<p>MT i Norge: Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Prosedyrenummer i EMA: EMA/VR/0000312515</p> <hr/> <p>Hvis metoden ikke har MT:</p> <p>Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Juli 2026</p> <p>Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Juli-2026</p>

	<p>Hvis metoden har MT:</p> <p>Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen:</p> <p>Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>
<p>4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Beskrivelse:</p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for «orphan drug designation»:</p> <p>Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>

5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

<p>5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
---	--

6 Sammenlignbarhet og anbud

<p>6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Kommentar:</p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Legemiddel og ID-nummer:</p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Kommentar:</p>

	Ingen annen immunterapi ventes godkjent for samme indikasjon
--	--

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)

7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB? <i>Hvis nei, begrunn kort</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Begrunnelse: For indikasjonsutvidelser for Keytruda gjelder ulike krav til HTA i Norden. Joint Nordic HTA er derfor ikke aktuelt
---	--

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)

8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)? <i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Dato for søknad til EMA: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.
--	--

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse

9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	Kostnad-per-QALY analyse Målet med kostnad-per-QALY analysen vil være å vurdere kostnadseffektiviteten til perioperativ enfortumab vedotin og pembrolizumab versus radikal cystektomi alene for voksne pasienter med muskelinfiltrerende blærekreft som ikke tåler cisplatin eller av andre årsaker ikke er kandidater for cisplatinbasert behandling.
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Pasienter med bekreftet muskelinfiltrerende blærekreft (cT2-T4aN0M0), samt ikke-infiltrerende N1 sykdom (T1-T4aN1M0) og minst 50% urotelial histologi, som enten ikke tålte, eller takket nei til cisplatinbasert kjemoterapi og var i stand til å gjennomgå en radikal cystektomi. Funksjonsstatus (ECOG) 0-2.
9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.) <i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i>	KEYNOTE – 905 Fase 3, åpen, randomisert studie

9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Ikke avklart. Pris er konfidensielle
9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF. <i>Tidspunkt må oppgis</i>	Sep 2026

10 Sykdommen og eksisterende behandling

10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon <i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombylde, eventuelt inkl. referanser</i>	Muskelinfiltrerende blærekreft (MIBC) er en aggressiv kreftform der svulsten vokser fra blæreveggen slimhinne og infiltrerer det muskulære laget. Denne typen kreft har høy risiko for spredning utenfor blæren og fjerne metastaser, noe som gjør sykdommen alvorlig med potensielt begrenset prognose. Typiske symptomer inkluderer hematuri (blod i urinen), dysuri (smerte ved vannlatning), endret vannlatingsmønster og hyppige urinveisinfeksjoner. Referanse: Nasjonalt handlingsprogram for blære- og urotelkreft. Oppdatert 09.oktober 2025
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Kreftsykdommer
10.3 Kreftområde <i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i>	Velg kreftområde fra menyen: Kreft i nyrer, urinveier og mannlige kjønnsorganer
10.4 Dagens behandling <i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i>	Radikal cystektomi er etablert som standard kurativ behandling ved MIBC (stadium T2–T4a N0/NX M0). Inngrepet innebærer fjerning av urinblæren og tilhørende organer, samt lymfeknudedisseksjon. Cystektomi kan også vurderes ved regional lymfeknutemetastasing (cN1–3) og hos eldre pasienter (>75–80 år), forutsatt akseptabel allmenntilstand.

	<p>Adjuvant immunterapi med nivolumab tilbys utvalgte pasienter med PD-L1-uttrykk ≥ 1 % og høy risiko for tilbakefall etter cystektomi.</p> <p>Referanse: Nasjonalt handlingsprogram for blære- og urotelkreft. Oppdatert 09.oktober 2025</p>
<p>10.5 Prognose</p> <p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p>	<p>Radikal cystektomi er standardbehandling ved MIBC. Omtrent 50 % av pasientene med stadium T2b–T4 får residiv innen fem år, de fleste innen to år. [1] 5-års relativ overlevelse for alle pasienter med MIBC er 53.3% for menn og 38.9% for kvinner. [2] Pasienter med MIBC som ikke tåler cisplatin er en gruppe som har svært dårlig prognose. En amerikansk retrospektiv analyse av pasienter med MIBC som kun ble behandlet med radikal cystektomi viste at bare halvparten av pasientene var i live etter 14.5 måneder. For pasientene som tålte cisplatin var prognosen bedre med en median overlevelse på 60.1 måneder. [3] Behandling med adjuvant nivolumab for pasienter med høy risiko for tilbakefall etter cystektomi har vist å gi forbedret sykdomsfri overlevelse, men foreløpig ikke vist å gi noen forbedring i totaloverlevelse. [4]</p> <p>Referanser:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Nasjonalt handlingsprogram for blære- og urotelkreft. Oppdatert 09.oktober 2025 2. Cancer in Norway 2024. Accessed October 30th, 2025. 3. Fazili A. et al., 2025. BJU Int. https://doi.org/10.1111/bju.16895 4. Bajorin et al., 2021. NEJM. DOI: 10.1056/NEJMoa2034442
<p>10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen</p>	<p>Pembrolizumab + enfortumabvedotin vil bli brukt som neoadjuvant behandling før cystektomi og som adjuvant behandling etter cystektomi.</p>
<p>10.7 Pasientgrunnlag</p>	<p>I Norge diagnostiseres årlig rundt 1 800–1 900 pasienter med blærekreft, hvorav ca. 260 har muskelinfiltrerende sykdom (MIBC). Av disse vil rundt</p>

<p>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</p> <p>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</p> <p>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</p>	<p>halvparten (130), ikke tåler cisplatinbasert-behandling, hovedsakelig grunnet høy alder og komorbiditet. De fleste av disse vil trolig være kandidater for pembrolizumab + enfortumabvedotin hvilket bringer pasientgrunnlaget til rundt 100-130 pasienter per år.</p> <p>Referanse: Nasjonalt kvalitetsregister for blære- og urotelkreft. Årsrapport 2024.</p>
--	---

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
<p>11.1 Studie-ID</p> <p>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</p>	<p>KEYNOTE-905 NCT03924895</p> <p>https://clinicaltrials.gov/study/NCT03924895</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.2 Studietype og -design</p>	<p>Fase 3, åpen, randomisert studie</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.3 Formål</p>	<p>Å undersøke om perioperativ behandling med pembrolizumab i kombinasjon med enfortumabvedotin + radikal cystektomi og lymfeknutedisseksjon gav forbedret hendelsesfri overlevelse sammenliknet med radikal cystektomi og lymfeknutedisseksjon alene.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<p>11.4 Populasjon</p> <p><i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i></p>	<p>Pasienter med bekreftet muskelinfiltrerende blærekreft (cT2-T4aN0M0), samt ikke-infiltrerende N1 sykdom (T1-T4aN1M0) og minst 50% urotelial histologi, som enten ikke tålte, eller takket nei til cisplatinbasert kjemoterapi og var i stand til å gjennomgå en radikal cystektomi. Funksjonsstatus (ECOG) 0-2.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.5 Intervensjon (n)</p> <p><i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i></p>	<p>Pembrolizumab (200mg) hver 3. uke + enfortumabvedotin (1.25mg/kg) dag 1 og 8 i en 21 dagers syklus, i totalt tre sykluser etterfulgt av radikal cystektomi. Deretter adjuvant behandling med pembrolizumab (200mg) hver 3. uke i 14 sykluser + enfortumabvedotin (1.25mg/kg) dag 1 og 8 i en 21 dagers syklus i maksimalt seks sykluser.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.6 Komparator (n)</p> <p><i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i></p>	<p>Radikal cystektomi etterfulgt av observasjon.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<p>11.7 Endepunkter</p> <p><i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i></p>	<p>Primært endepunkt: Hendelsesfri overlevelse (EFS) vurdert ved blindet sentral vurdering</p> <p>Sekundære endepunkter: Totaloverlevelse (OS) Patologisk komplett respons (pCR) vurdert ved sentral patologisk vurdering</p> <p>Sikkerhet</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.8 Relevante subgruppeanalyser</p> <p><i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i></p>	<p>Studien inneholdt følgende pre-spesifiserte subgrupper.</p> <p>Cisplatin tålbarehet (tåler ikke cisplatin vs. tåler cisplatin men takket nei).</p> <p>Klinisk stadium (T2N0 vs. T3/T4aN0 vs. T1-4aN1)</p> <p>Region (US vs. EU. vs resten av verden).</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.9 Oppfølgingstid</p> <p><i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos</i></p>	<p>Median oppfølgingstid ved første datakutt (6. juni, 2025) var 25.6 måneder.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<i>Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i>			
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Oppfølging med hensyn på primær, sekundære og utforskende endepunkter er pågående.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Ikke ennå publisert.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

12 Igangsatte og planlagte studier	
12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden? <i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Pembrolizumab undersøkes i flere kreftområder.

13 Diagnostikk	
13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør? <i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/>
13.2 Er testen etablert i klinisk praksis?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?

<p><i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
<p>13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<h2>14 Andre relevante opplysninger</h2>	
<p>14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i></p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene?</p> <p><i>Hvis ja, begrunn kort.</i></p> <p><i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i></p> <p><i>Nærmere informasjon og skjema:</i> Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>14.3 Andre relevante opplysninger?</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

--	--

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

	<p>retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av blærekreft ³. Det skilles mellom ikke-muskelinfiltrerende (overfladisk) blærekreft (NMIBC), der det tilstrebes behandling som bevarer organene, og muskelinfiltrerende blærekreft (MIBC), der mer radikal behandling vil være nødvendig.</p> <p>Ved MIBC er radikal cystektomi⁴ standardbehandling, men det er også aktuelt ved enkelte høyrisikogrupper av ikke-muskelinfiltrerende sykdom. Cystektomi kan også utføres hos eldre pasienter (>75–80 år), som til tross for økt morbiditet ved cystektomi ikke har økt mortalitet. Omtrent halvparten av cystektomerte pasienter med MIBC vil få residiv av sykdommen innen fem år, der de fleste residiverer innen to år, sannsynligvis på grunn av mikrometastaser på operasjonstidspunktet.</p> <p>Blærekreft er kjemosensitiv, og cisplatin er det mest effektive cytostatikum ved behandling av urotelialt karsinom. Cisplatin er imidlertid oto-, nevro- og nefro-toksisk, og er derfor uegnet hos en del pasienter (f.eks. ved nedsatt nyrefunksjon/nyresvikt). Indikasjon for kjemoterapi som ledd i kurativ behandling bør vurderes nøye hos pasienter over 75 år grunnet komorbiditet, allmenntilstand og forventet nytte av behandlingen. Kjemoterapi som ledd i kurativ behandling kan enten gis før cystektomi til operable pasienter (neoadjuvant behandling) eller etter radikal kirurgi (adjuvant behandling) for å bedre overlevelsen.</p> <p>Kjemoterapi før cystektomi er standardbehandling ved MIBC hos pasienter uten påvisbare metastaser, og hensikten med slik behandling er å behandle mikrometastaser som foreligger på diagnosetidspunktet. Doseintensivert MVAC⁵ er foretrukket regime i kurativ setting grunnet best dokumentasjon, alternativt kan kombinasjonen gemcitabin + cisplatin benyttes. Nylig (august 2025) er også durvalumab (Imfinzi) i kombinasjon med gemcitabin og cisplatin innført som neoadjuvant behandling, etterfulgt av durvalumab som monoterapi som adjuvant behandling etter radikal cystektomi (ID2025_021) ⁶.</p> <p>Hos pasienter med kontraindikasjoner mot cisplatinbasert kjemoterapi er det foreløpig ikke dokumentert effekt på totaloverlevelse av kjemoterapiregimer som ikke inneholder cisplatin, og disse skal derfor opereres direkte uten neoadjuvant kjemoterapi.</p> <p>Nytten av adjuvant kjemoterapi er fortsatt noe uavklart, men hos utvalgte pasienter som ikke har fått neoadjuvant kjemoterapi kan adjuvant cisplatin-basert kombinasjonskjemoterapi vurderes. Det understrekes at pasienter primært bør få kjemoterapi i neoadjuvant setting grunnet best evidens og fordeler fremfor adjuvant behandling.</p> <p>Når det gjelder adjuvant immunterapi, er nivolumab innført som adjuvant behandling av voksne med muskelinvasivt urotelialt karsinom med PD-L1-uttrykk ≥ 1 % med høy risiko for tilbakefall etter</p>
--	--

³ Helsedirektoratet (2025). Nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av blærekreft [nettdokument]. Oslo: Helsedirektoratet (siste faglige endring 21.10.2025). Tilgjengelig fra: [Blærekreft – handlingsprogram - Helsedirektoratet](#)

⁴ Kirurgisk fjerning av hele urinblæren, inkludert lymfeknuter i bekkenet, og hos menn også prostata/sædblærer, mens hos kvinner fjernes også livmor, eggstokker og deler av skjeden.

⁵ MVAC: metotreksat + vinblastin + doksorubicin + cisplatin

⁶ Nye Metoder: [ID2025_021](#). Beslutning i Beslutningsforum for nye metoder 25.08.2025.

	<p>gjennomgått radikal reseksjon (ID2021_081) ⁷. Opptil ett års adjuvant behandling med nivolumab bør vurderes etter radikal kirurgi for disse pasientene.</p> <p>Effekt og sikkerhet av pembrolizumab i kombinasjon med enfortumabvedotin er undersøkt i en randomisert, åpen, fase III-studie (KEYNOTE-905) (NCT03924895 ⁸) (n=344). I studien blir pasienter med MIBC, som av ulike årsaker ikke er kandidater for cisplatin-basert behandling, enten behandlet med kombinasjonen pembrolizumab + enfortumabvedotin gitt perioperativt (neoadjuvant og adjuvant) i tillegg til kirurgi (radikal cystektomi) eller kun behandlet med kirurgi (komparator). Primært effektmål i studien er hendelsesfri overlevelse (EFS), mens sekundære effektmål er totaloverlevelse (OS) og patologisk komplett respons (pCR) (dvs. fravær av levende tumorceller), samt sikkerhet (bivirkninger). Studien pågår fortsatt, men er lukket for videre inklusjon og foreløpige resultater er publisert ⁹. Studien forventes avsluttet i desember 2027.</p> <p>Etter om lag 2 år oppfølging i studien, viser resultatene en statistisk signifikant forbedring i EFS, OS og pCR i pasientgruppen som blir behandlet perioperativt med kombinasjonen pembrolizumab + enfortumabvedotin sammenliknet med pasientgruppen som kun får kirurgisk behandling. Også sikkerhet (bivirkninger) blir undersøkt i studien.</p>
<p>Preliminær PICO¹⁰</p>	<p>P: I tråd med endelig godkjent indikasjon.</p> <p>I: Pembrolizumab i kombinasjon med enfortumabvedotin gitt perioperativt (neoadjuvant og adjuvant) i tillegg til radikal cystektomi, og brukt i tråd med anbefalt dosering i godkjent preparatomtale. Det antas at dette vil tilsvare doseringen som ble benyttet i den pivotale kliniske studien (KEYNOTE-905) (se «Forventet dosering»).</p> <p>C: Det finnes per i dag ingen etablert behandling for de pasientene som ikke kan få cisplatinbasert kjemoterapi i neoadjuvant setting (opereres direkte uten neoadjuvant kjemoterapi). Nivolumab kan benyttes som adjuvant behandling hos pasienter med PD-L1-uttrykk ≥ 1 % med høy risiko for tilbakefall etter gjennomgått radikal reseksjon.</p> <p>O: Overlevelse (EFS, OS) ¹¹, helserelatert livskvalitet, ressursbruk.</p>
<p>Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter</p>	<p>Pembrolizumab i kombinasjon med enfortumabvedotin er aktuell som den første neoadjuvante behandlingen hos pasienter med kontra-indikasjoner mot cisplatinbasert kjemoterapi. Det foreligger en randomisert, åpen, fase III-studie i aktuell pasientpopulasjon, som sammenlikner kombinasjonsbehandling med pembrolizumab + enfortumabvedotin gitt perioperativt (neoadjuvant og adjuvant) i tillegg til kirurgi (radikal cystektomi) versus kirurgi alene.</p>

⁷ Nye Metoder: [ID2021_081](#). Beslutning i Beslutningsforum for nye metoder 28.08.2023.

⁸ ClinicalTrials.gov ID: [NCT03924895](#)

⁹ Vulsteke C. et al. [Perioperative Enfortumab Vedotin and Pembrolizumab in Bladder Cancer](#). N Engl J Med. 2026 Feb 18.

¹⁰ Pasientpopulasjon, intervensjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering

¹¹ Hendelsesfri overlevelse (EFS), totaloverlevelse (OS)

	Komparator i denne studien (kun kirurgi) vurderes som aktuell i norsk klinisk praksis per i dag, ettersom det ikke finnes etablert medikamentell behandling for de pasientene som ikke kan få cisplatinbasert kjemoterapi i neoadjuvant setting. For en selektert pasientgruppe vil adjuvant behandling med nivolumab kunne være en mulig komparator.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse).

Versjonslogg*

Dato	Hva
15.04.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP
<p>*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se Legemiddelsøk.no. Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.</p>	

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_009

Spørsmål	Faglige innspill
<p>1. Dagens behandling – alternativ</p> <p>- Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag?</p> <p>- Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering?</p> <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p>	<p>Det finnes ingen etablert behandling i dag for denne gruppe i neoadjuvant setting. Nivolumab kan tilbys adjuvant ved PDL-1 >1%.</p>
<p>2. Plass i norsk klinisk praksis</p> <p>- Er det klinisk behov for metoden?</p> <p>- Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?</p> <p>Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p>	<p>Absolutt, det er en behandling med relativ høy andel av pasienter med komplett patologisk respons.</p> <p>EV + Pembrolizumab er første beahndling som viser gode resultater i denne populasjonen så kommer til å endre fullstending måten vi behandler blærekreft.</p>
<p>3. Pasientpopulasjonen i Norge</p> <p>- Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?</p>	<p>Jeg har ikke nasjonale tall, men vi estimerer mellom 5 og 10 pasienter årlig i Vestfold.</p>
<p>4. Andre forhold</p> <p>- Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?</p>	<p>Nei</p>

<p>5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
--	--

<p>6. Interesser og eventuelle interessekonflikter Beskriv 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).</p>	
<p>Jeg har ingen interessekonflikter</p>	

<p>7. Avsender av faglig innspill</p>	
<p>Sykehus</p>	<p>Sykehuset i Vestfold</p>
<p>Avdeling</p>	<p>Senter for kreft og blodsykdommer</p>
<p>Representert ved: Fagperson (navn og stilling)</p>	<p>Marius Taran – medisinsk ansvarlig overlege</p>
<p>Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):</p>	<p><input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):</p>	<p><input checked="" type="checkbox"/></p>

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_009

Spørsmål	Faglige innspill
<p>1. Dagens behandling – alternativ</p> <p>- Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag?</p> <p>- Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering?</p> <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p>	<p>Etablert behandling er per i dag ingen neoadjuvant behandling til pasienter med nyresvikt slik at de da går direkte til operasjon.</p> <p>Forsiktighet med cisplatinbasert behandling hos eldre pasienter >75år uavhengig av nyrefunksjon.</p> <p>Ingen relevante komparatorer- eventuelt adjuvant immun med langt dårlige OS tall og kun aktuelt for en selektert pasientgruppe</p>
<p>2. Plass i norsk klinisk praksis</p> <p>- Er det klinisk behov for metoden?</p> <p>- Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?</p> <p>Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p>	<p>Stor klinisk bruk for metoden da denne pasientgruppen per i dag ikke har et tilbud om neoadjuvant behandling.</p> <p>Vil inngå som standard neoadjuvant behandling for pasienter som man tenker kan tåle kombinasjonsbehandling med enfortumab vedotin/ pembrolizumab.</p>

<p>3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?</p>	<p>I følge blærekreftregisteret årsrapport fra 2024, så fikk bare 32% av radikalt opererte neoadjuvant kjemoterapi.</p> <p>Cirka 50 får gjort cystektomi i Helse Vest årlig. Antar cirka 15 av disse er fra Helse Stavanger.</p> <p>Antall pasienter fra Helse Stavanger som denne behandlingen kan være aktuell for: 3-5.</p>
<p>4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?</p>	<p>I denne aktuelle studien kunne man også bli med dersom man ikke ville ha cisplatinbasert behandling (cirka 20%).</p> <p>Data fra studie der pasienter som kunne få cisplatin (EV304) er presentert på ASCO GU 2026. Man randomiserte da mellom enfortumab vedotin/pembrolizumab mot cisplatin/ gemcitabin. Studien er per i dag ikke publisert. Det er rapportert økt hendelsesfri overlevelse, totaloverlevelse og patologisk komplett respons sammenlignet med behandling med cisplatin/ gemcitabin.</p>
<p>5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv 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).

Internasjonalt adboard vedrørende Niagara studien som er standard behandling p.t. til pasienter som kan få cisplatin (juni 2025). Det er planlagt internasjonalt adboard vedrørende denne studien i april 2026 (dato ikke satt)

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus

Stavanger Universitetssykehus

Avdeling	Onkologisk avdeling
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Maria Nyre Vigmostad
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_009

Spørsmål	Faglige innspill
<p>1. Dagens behandling – alternativ</p> <p>- Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag?</p> <p>- Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering?</p> <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p>	<p>Pasienter som ikke kan få cisplatin neoadjuvant får pr. i dag ingen neoadjuvant behandling men kan få adjuvant immunterapi dersom svulsten ved operasjon er > T2 og PD-L1 positiv. Komparator vil da være ingen behandling eller adjuvant immunterapi hos de som fyller kriteriene</p>
<p>2. Plass i norsk klinisk praksis</p> <p>- Er det klinisk behov for metoden?</p> <p>- Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?</p> <p>Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p>	<p>Det er klinisk behov for metoden. En del pasienter i god almentilstand kan ikke få cisplatin grunnet nedsatt nyrefunksjon. Disse vil nå kunne få en perioperativ behandling som øker sannsynligheten for kurasjon.</p> <p>Behandlingen kommer i tillegg da disse pasientene pr i dag ikke har noe behandlingstilbud. På den annen side vil behandlingen hindre tilbakefall, og ved tilbakefall er den aktuelle behandlingen førstevalg.</p> <p>Behandlingen får en svært sentral rolle for de få pasientene som er kandidat for perioperativ behandling men som ikke kan få cisplatin</p>

3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Det er vanskelig å anslå hvor mange pasienter dette er aktuelt for, men et sted mellom 5-10 totalt fra Helse Vest (HUS, SUS og Førde)
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Gevinsten av behandling vist ved studien var nok så overbevisende
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv 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).

Jeg skal delta på et internasjonalt Ad-board for firmaet som produserer Pembrolizumab senere i 2026. Tidligere år har jeg mottatt honorar for forelesninger både fra dette firmaet og konkurrerende firma.

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	Haukeland Universitetssjukeus
Avdeling	Kreftklinikken
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Christian Ekanger, Onkolog
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>

Saksnummer 059-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2026_012 Decitabine og cedazuridine (Inaqovi) og venetoklaks (Venclyxto) i kombinasjon for behandling av voksne pasienter med nylig diagnostisert akutt myelogen leukemi (AML) som ikke er kvalifisert for standard induksjonskjemoterapi.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren som søker om markedsføringstillatelse (MT): Otsuka Pharma Scandinavia AB.
- Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse for kjente virkestoff. Nye metoder har tidligere vurdert Decitabine og cedazuridine (Inaqovi) som monoterapi ([ID2023_023](#)), og venetoklaks (Venclyxto) i kombinasjon med hypometylerende agens (HMA) [ID2020_087](#).
- Dagens behandling: Norske retningslinjer anbefaler azacitidine og venetoklaks.
- Leverandør viser til at kombinasjonen azacitidine og venetoklaks har lik virkningsmekanisme som Inaqovi og venetoklaks, og at det finnes tilbud på terapiområdet.
- Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) i Norge for indikasjonen: Juli 2026.
- Forventet tidspunkt for levering av dokumentasjon til DMP: Juni 2026.
- Leverandør foreslår en kostnadsminimeringsanalyse.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnetthetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Inaqovi muliggjør oral administrasjon av et kjent virkestoff (decitabin) som tradisjonelt har blitt administrert intravenøst. Effekt av behandling med Inaqovi kan ifølge de medisinske fagekspertene som bisto i den tidligere metodevurderingen sidestilles med andre tilgjengelige HMA (decitabin i.v., azacitidin s.c.). Av disse er det azacitidin som brukes mest i norsk klinisk praksis i dag.
- Den orale formuleringen av Inaqovi vurderes å ha fordeler for pasientene sammenlignet både med subkutan og intravenøs behandling, siden pasientene kan redusere antall sykehusbesøk.
- Anbefaling fra DMP: DMP har opplyst saken i egnetthetsvurderingen og tidligere metodevurdering ([ID2023_023](#)), og vurderer at en metodevurdering i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker. DMP mener opplysninger i egnetthetsvurdering, sammen med et prisnotat, kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: 1 innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF): Ingen innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Kan påvirke nasjonalt handlingsprogram for maligne blodsykdommer

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret for Inaqovi ble plassert hos RHF-ene
1.3.2023

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av):

Fyll ut dato for innsending av skjema: 17.02.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Otsuka Pharma Scandinavia AB
1.2 Navn kontaktperson	Anna Lindgren
1.3 Stilling kontaktperson	Market Access Manager, Nordics & BeNeLux
1.4 Telefon	+46 76 115 0433
1.5 E-post	anna.lindgren@otsuka.se
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	N/A
1.7 Telefon og e-post	N/A

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	Et nytt virkestoff <input type="checkbox"/> En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon <input checked="" type="checkbox"/> En ny styrke eller formulering <input type="checkbox"/>
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Inaqovi i kombinasjon med venetoklaks er indisert for behandling av voksne pasienter med nylig diagnostisert akutt myelogen leukemi (AML) som ikke er kvalifisert for standard induksjonskemoterapi.

<p><i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i></p> <p><i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i></p>	<p>Inaqovi in combination with venetoclax is anticipated to be indicated for the treatment of adult patients with newly diagnosed acute myeloid leukaemia (AML) who are ineligible for standard induction chemotherapy (SIC).</p>
<p>2.3 Handelsnavn</p>	<p>Inaqovi®</p>
<p>2.4 Generisk navn/virkestoff</p>	<p>Decitabine/Cedazuridine</p>
<p>2.5 ATC-kode</p>	<p>L01BC58</p>
<p>2.6 Administrasjonsform og styrke</p> <p><i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i></p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Inaqovi 35 mg/100 mg film-coated tablets (oral) + venetoclax 400 mg (oral).</p> <p>Treatment is recommended to be continued for a minimum of 4 cycles (28-day cycle) until disease progression or unacceptable toxicity.</p>
<p>2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme.</p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Antineoplastic agents, antimetabolites, pyrimidine analogues; cytidine deaminase inhibitor.</p> <p>Decitabine is a nucleoside metabolic inhibitor that is believed to exert its antineoplastic effects after phosphorylation and direct incorporation into DNA and inhibition of DNA methyltransferase, causing hypomethylation of DNA and cellular differentiation and/or apoptosis. Decitabine induced hypomethylation in neoplastic cells may restore normal function to genes that are critical for the control of cellular differentiation and proliferation. In rapidly dividing cells, the cytotoxicity of decitabine may also be attributed to the formation of covalent adducts between DNA methyltransferase and decitabine incorporated into DNA. (Patel et al., 2021; EMA, 2023)</p> <p>Cytidine deaminase (CDA) is an enzyme that is responsible for the degradation of cytidine nucleosides, including the cytidine analog decitabine. High levels of CDA in the gastrointestinal tract and liver rapidly degrade these nucleosides and prohibit or limit their oral</p>

	bioavailability. Cedazuridine inhibits CDA. Oral administration of cedazuridine with decitabine increases the systemic exposure of decitabine via inhibition of first pass metabolism of decitabine in the gut and liver by CDA. (Patel et al., 2021; EMA, 2023)
--	--

3 Historikk – virkestoff og indikasjon	
3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> ID-nummer: ID2023_023
3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> ID-nummer: ID2020_087
3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng? <i>Hvis ja, oppgi referanse</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Referanse: However, Inaqovi has been assessed as monotherapy in the following Nordic countries: Inaqovi monotherapy - Sweden: Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV). Inaqovi ingår i högkostnadsskyddet. Decision 24 January 2025. Available at: https://www.tlv.se/beslut/beslut-lakemedel/generell-subvention/arkiv/2025-01-24-inaqovi-ingar-i-hogkostnadsskyddet.html Inaqovi monotherapy - Finland: Kansaneläkelaitos (Kela). <i>Desitabiinin ja sedatsuridiinin yhdistelmävalmisteesta peruskorvaus 1.7.2025 alkaen korvausoikeudella 3095</i> . 4 June 2025. Available at: https://www.kela.fi/ajankohtaista/desitabiinin-ja-sedatsuridiinin-yhdistelmävalmiste-1.7.2025-alkaen

4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring	
4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner? <i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Dato for MT for første indikasjon: 15.09.2023
4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/>

<p>4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon?</p> <p><i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i></p> <p><i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i></p> <p><i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i></p>	<p>MT i Norge: Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Prosedyrenummer i EMA: EMA/VR/0000304730</p> <p>Hvis metoden ikke har MT:</p> <p>Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): April 2026</p> <p>Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): July 2026</p> <p>Hvis metoden har MT:</p> <p>Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>
<p>4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Beskrivelse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for «orphan drug designation»: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>

5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

<p>5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
---	--

6 Sammenlignbarhet og anbud	
<p>6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Kommentar: Azacitidine + venetoclax is an HMA–venetoclax combination regimen, and therefore has a broadly similar mechanism of action concept to Inaqovi (decitabine/cedazuridine) + venetoclax, since both combine a hypomethylating agent with BCL-2 inhibition. They both incorporate into DNA and inhibits DNA methyltransferases, leading to DNA hypomethylation and reactivation of silenced genes, which can restore normal cell differentiation and induce leukemic cell death. Azacitidine is indicated for the treatment of adult patients who are not eligible for hematopoietic stem cell transplantation (HSCT).</p>
<p>6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Legemiddel og ID-nummer: Azacitidine + venetoclax is the combination relevant as comparator (ID2020_087).</p>
<p>6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Kommentar: LIS 2507 - Onkologi</p>

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)	
<p>7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB?</p> <p><i>Hvis nei, begrunn kort</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Begrunnelse: No. Inaqovi is an outpatient drug that is expected to be assessed through a cost-minimization analysis and is already reimbursed for monotherapy in most of the Nordic countries. Hence it does not match the criteria set out by JNHB's for products suitable for JNHB assessment.</p>

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)	
<p>8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for søknad til EMA:</p> <p>Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse	
<p>9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren?</p> <p><i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i></p> <p><i>Begrunn forslaget</i></p>	<p>Cost minimization analysis and a budget impact analysis. Possibility to show the costs reduction with Inaqovi as combination therapy.</p>
<p>9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.</p>	<p>Adult patients with newly diagnosed AML who are eligible for treatment with venetoclax+HMA.</p>
<p>9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.)</p> <p><i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i></p>	<p>Indirect treatment comparison (ITC) used for comparison of azacitidine + venetoclax and Inaqovi + venetoclax.</p>
<p>9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.</p>	<p>The pricing strategy is not finalised therefore an expected budget impact cannot be provided. A comprehensive budget impact analysis will be prepared for the full HTA submission stage.</p>
<p>9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF.</p> <p><i>Tidspunkt må oppgis</i></p>	<p>June 2026</p>

10 Sykdommen og eksisterende behandling	
<p>10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon</p> <p><i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i></p>	<p>AML is an aggressive, rapidly progressing haematological cancer that is characterised by the overproduction and accumulation of abnormal myeloblasts in the BM and peripheral blood of affected patients (De Kouchkovsky I et al., 2016; Kumar CC, 2011) . AML is a clinically heterogeneous disease which is characterised by a range of chromosomal abnormalities and genetic mutations that can disrupt almost all aspects of cell transformation (Licht JD et al., 2005). As AML results in impaired differentiation of haematopoietic stem cells and abnormal, uncontrolled proliferation of immature myeloid precursor cells (myoblasts), patients are left with insufficient erythrocytes, platelets and neutrophils (De Kouchkovsky I et al., 2016).</p>
<p>10.2 Fagområde</p> <p><i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i></p>	<p>Velg fagområde fra menyen:</p> <p>Blodsykdommer</p>
<p>10.3 Kreftområde</p> <p><i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i></p>	<p>Velg kreftområde fra menyen:</p> <p>Blod- beinmargs- og lymfekreft</p>
<p>10.4 Dagens behandling</p> <p><i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i></p>	<p>For patients unfit for SIC the Norwegian guidelines recommend the use of azacitidine + venetoclax as the first choice as it is approved by Nye metoder. For patients with high risk karyotype or TP53 (gene encoding tumour protein p53) mutations, decitabine (20 mg/m² per day, day 1-10 in a 28 day cycle) is recommended. Furthermore, the guidelines also mention the fact that demethylating treatment with azacitidine has been shown to provide survival outcomes at least comparable to best alternative therapy, primarily low-dose cytarabine, in older patients with AML. At the same time, Inaqovi monotherapy represents an option for less fit patients in inducing disease control or bridge to transplant per individual assessment. (Helsedirektoratet, 2025)</p>
<p>10.5 Prognose</p> <p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p>	<p>The prognosis for AML is poor, and AML has the worst survival outcomes of any leukemia, with an estimated five-year survival rate of 17.0% in Europe (Maynadie, M., et al., 2013).</p>

<p>10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen</p>	<p>Inaqovi in combination with venetoclax is expected as a first-line treatment for patients with AML who are ineligible for SIC, in line with ESMO 2020, ELN 2022 and Young SIOC and EMBT Trainee Committee 2023 guidelines currently recommending a combination treatment with venetoclax + HMAs (azacitidine or decitabine).</p>
<p>10.7 Pasientgrunnlag</p> <p><i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i></p> <p><i>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</i></p> <p><i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i></p>	<p>According to NORDCAN, the 5 years prevalence for AML in Norway was 333 patients in 2023. At the same time, Helsedirektoratet shows that the annual incidence is around 150 patients with AML. Most cases occur in adults rather than children; the median age at diagnosis is just under 70 years, and the disease is slightly more common in men than in women (Döhner et al., 2017).</p> <p>Due to the high incidence of AML in the elderly population, and because age is one of the factors considered when assessing eligibility for SIC, a substantial proportion of patients diagnosed with AML are not candidates for SIC. In current clinical practice, it is estimated that 40.0–50.0% of all patients diagnosed with AML are not eligible for SIC (Griffiths EA et al., 2020; Cortes JE et al., 2021). Inaqovi in combination with venetoclax will not cover the full 50% of all patients diagnosed with AML who are ineligible for SIC. A smaller proportion is expected to be covered by the in-focus treatment option.</p>

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
<p>11.1 Studie-ID</p> <p><i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i></p>	<p>ASCERTAIN-V (NCT04657081)</p>	<p>AML Patient Preference Study</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<p>11.2 Studietype og -design</p>	<p>Phase I/II, single-arm, open-label, multicentre, non-randomised interventional study. The trial has three parts: Phase I, Phase II Part A and Phase II Part B, all consisting of multiple cycles.</p>	<p>Observational study with the following components: scoping (TLR), qualitative research and patient interviews.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.3 Formål</p>	<p>ASCERTAIN-V aimed to evaluate the PK, efficacy and safety of INAQOVI + venetoclax for the treatment of AML.</p>	<p>To explore and describe patient experiences of living with AML and their preferences of RoA of HMAs as well as the drivers of treatment preferences among patients with AML in Germany, the UK and Spain, using one-to-one qualitative interviews.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.4 Populasjon</p> <p><i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i></p>	<p>Phase I: 30 patients. Phase II Part A: 58 patients. Phase II Part B: 101 patients. Adults with newly diagnosed AML who are aged 75 years or older, or who have comorbidities that preclude the use of SIC.</p>	<p>Interview: 21 patients with AML (and six clinicians) Key inclusion criteria: ≥18 years old, diagnosed with AML (de novo or secondary), treatment-naïve or in first-line treatment, not a candidate for SIC or patient was using/has used HMA for AML treatment within the last 6 months, access to a telephone or cell phone and an internet browser or application to access the screen sharing platform, receiving care for their AML in the UK, Germany or Spain. Key exclusion criteria: relapsed/refractory AML, used oral HMAs for any other condition,</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

		current condition that involved cognitive deficits or severe visual impairment that could interfere with the ability to understand or interpret the questions posed in the interview, concurrently participating in an AML clinical trial.	
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	In Phase I, during Cycle 1, INAQOVI (35 mg decitabine and 100 mg cedazuridine) was given in combination with venetoclax on Days 1–5. Venetoclax was dosed as a ramp-up on Day 1 (100 mg) and Day 2 (200 mg), followed by 400 mg daily on Days 3–28. During Cycle 2 and beyond, patients receive INAQOVI + venetoclax 400 mg daily in combination on Days 1–5, and venetoclax 400 mg daily alone on Days 6–28.	5 months (January 2022–May 2022)	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	N/A	N/A	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.7 Endepunkter	In Phase I, the primary endpoints were venetoclax AUC _{0–24} and C _{max} on Day 5 with	<ul style="list-style-type: none"> To describe the perspectives of patients with AML on their treatment experiences 	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<p><i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i></p>	<p>INAQOVI and Day 15 without INAQOVI in Cycle 2. In Phase II Part A and B, the treatment dosing schedule remained the same as Phase I. However, in Phase II Part A the co-primary endpoints were CR rate and venetoclax AUC_{0–24} and C_{max} on Day 5 with INAQOVI and Day 15 without INAQOVI in Cycle 2; in Phase II Part B, the pivotal portion of the ASCERTAIN-V trial, the primary endpoint was CR rate.</p>	<p>of parenteral HMA treatment and on the treatment profile of INAQOVI</p> <ul style="list-style-type: none"> • To elicit the perspectives of patients with AML on the profile of oral INAQOVI (presented as a hypothetical oral product) and other aspects of the patient experience on parenteral HMA treatment and within the healthcare system • To identify factors that determine patients' preferences for using oral INAQOVI vs injectable HMA for the treatment of AML • To describe the relative importance that patients place on different treatment-related characteristics and the extent of influence that each characteristic has on treatment preference, comparing treatment characteristics of INAQOVI with other (injectable) HMA treatments 	
<p>11.8 Relevante subgruppeanalyser</p> <p><i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i></p>	<p>Phase II Part B: A subgroup analysis of CR rates based on age, gender, race, baseline Eastern Cooperative Oncology Group (ECOG) performance status (PS), prior systemic therapy, region, ethnicity and cytogenetic classification was performed.</p>	<p>N/A</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<p>11.9 Oppfølgingstid</p> <p><i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i></p>	<p>Phase I: Median follow-up: 34.3 months. Phase II Part A: Median follow-up: 26.0 months. Phase II Part B: Median follow-up: 11.2 months.</p> <p>Primary Completion (Actual): 2024-09-30. Study Completion (Estimated): 2026-12-31.</p> <p>As the primary completion occurred in 2024, there are no other follow-up time data relevant for this assessment.</p>	5 months (Completed).	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
<p>11.10 Tidsperspektiv resultater</p> <p><i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i></p>	Ongoing.	Completed.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
<p>11.11 Publikasjoner</p> <p><i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i></p>	Otsuka Data on File. ASTX727 in Combination with Venetoclax in Adult Patients with Acute Myeloid Leukemia. Clinical Study Report, 2025. Expected date of publication: March/April 2026.	Delmas A, Batchelder L, Arora I, et al. Exploring preferences of different modes of administration of hypomethylating agent treatments among patients with acute myeloid leukemia. <i>Front Oncol</i> 2023;13:1160966.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

12 Igangsatte og planlagte studier	
<p>12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>ASCERTAIN-V (NCT04657081); Primary Completion (Actual): 30 September 2024. Study Completion (Estimated): 31 December 2026.</p> <p>Venetoclax and ASTX727 for the treatment of relapsed, refractory, or newly diagnosed AML (NCT04746235). Expected primary completion: 31 October 2026.</p>
<p>12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>An open-label, multicentre, extension study for subjects who participated in prior clinical studies of ASTX727 (standard dose) (NCT04093570); a phase Ib, open-label, parallel group, multiple-dose study to evaluate the pharmacokinetics, safety, and tolerability of oral decitabine and cedazuridine (ASTX727) in cancer patients with severe renal impairment and cancer patients with normal renal function (NCT04953897); a phase Ib, open-label, parallel group, multiple-dose study to evaluate the pharmacokinetics, safety, and tolerability of oral decitabine and cedazuridine (ASTX727) in cancer patients with moderate and severe hepatic impairment (NCT04953910); a phase I-II study investigating the all oral combination of the menin inhibitor SNDX-5613 with decitabine/cedazuridine (ASTX727) and venetoclax in AML (SAVE) (NCT05360160); A phase I-II study investigating the all oral combination of the menin inhibitor SNDX-5613 with decitabine/cedazuridine (ASTX727) and venetoclax in AML (SAVE) (NCT05360160); a phase I study of Lintuzumab-Ac-225 in combination with venetoclax and ASTX-727 in adults with newly diagnosed AML (NCT06802523); a phase I study of oral decitabine and cedazuridine (ASTX727) in combination with defactinib (VS-6063) as therapy of MDS and low-blast AML (NCT05636514). ASTX727, venetoclax, and gilteritinib for the treatment of newly diagnosed, relapsed or refractory FLT3-mutated AML or high-risk MDS (NCT05010122); Randomised phase II trial of oral ASTX727 and venetoclax compared with ASTX727, venetoclax, and enasidenib for newly diagnosed older adults with IDH2 Mutant AML: A MyeloMATCH Treatment Trial (NCT06672146).</p>

--	--

13 Diagnostikk	
<p>13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>13.2 Er testen etablert i klinisk praksis?</p> <p><i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</p> <p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
<p>13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk</p>	<p>N/A</p>

14 Andre relevante opplysninger	
<p>14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i></p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Professor Bjørn Tore Gjertsen, Department of hematology, Haukeland University Hospital, Bergen</p>
<p>14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene?</p> <p><i>Hvis ja, begrunn kort.</i></p> <p><i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>At the same time, we would like to kindly request a pre-meeting to clarify and better understand the DMP requirements, given the fact that the previous submission for Inaqovi monotherapy was a simplified assessment in Norway (ID2023_023).</p>

<p>Nærmere informasjon og skjema: Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF</p>	
<p>14.3 Andre relevante opplysninger?</p>	<p>References:</p> <p>Patel AA, Cahill K, Saygin C, et al. Cedazuridine/decitabine: from preclinical to clinical development in myeloid malignancies. <i>Blood Adv</i> 2021;5:2264-2271.</p> <p>European Medicines Agency (EMA). INAQOVI Summary of Product Characteristics. Available at:https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/inaqovi-epar-product-information_en.pdf. Last accessed: December 2025.</p> <p>De Kouchkovsky I, Abdul-Hay M. Acute myeloid leukemia: a comprehensive review and 2016 update. <i>Blood Cancer J</i> 2016;6:e441.</p> <p>Kumar CC. Genetic abnormalities and challenges in the treatment of acute myeloid leukemia. <i>Genes Cancer</i> 2011;2:95-107.</p> <p>Licht JD, Sternberg DW. The molecular pathology of acute myeloid leukemia. <i>Hematology Am Soc Hematol Educ Program</i> 2005:137-142.</p> <p>Helsedirektoratet. Maligne blodsykdommer – handlingsprogram. Oslo: Helsedirektoratet; updated 2025.</p> <p>Maynadie, M., et al., Survival of European patients diagnosed with myeloid malignancies: a HAEMACARE study. <i>Haematologica</i>, 2013. 98(2): p. 230-8.</p> <p>NORDCAN 2.0 (ANCR/IARC), AML prevalence, both sexes, ages 20+, Norway. Version 9.4 (29 Aug 2024). https://nordcan.iarc.fr/en/dataviz/prevalence Accessed 12 Jan 2026.</p> <p>Griffiths EA, Carraway HE, Chandhok NS, et al. Advances in non-intensive chemotherapy treatment options for adults diagnosed with acute myeloid leukemia. <i>Leuk. Res</i> 2020;91:106339.</p> <p>Cortes JE, Mehta P. Determination of fitness and therapeutic options in older patients with acute myeloid leukemia. <i>Am. J. Hematol</i> 2021;96:493-507.</p>

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

	<p>azacitidin eller decitabin aktuelt, eventuelt lavdose cytarabin. Venetoklaks legges ofte til. Dette bekreftes også av innspill fra medisinsk fagekspert som peker på azacitidin + venetoklaks og decitabin + venetoklaks som de mest relevante sammenligningsalternativene for metoden i norsk klinisk praksis. Behandlingene regnes som likeverdige.</p> <p>Inaqovi er tidligere metodevurdert og innført som monoterapi til behandling av voksne pasienter med nylig diagnostisert AML som ikke er egnet for standard induksjonskjemoterapi (ID2023_023), dvs. til samme indikasjon som anmodningen gjelder, men brukt uten tillegg av venetoklaks.</p> <p>Inaqovi skiller seg fra andre tilgjengelige HMA-preparater ved å ha en annen administrasjonsform. Inaqovi administreres peroralt, mens azacitidin injiseres subkutan (s.c.) og decitabin gis intravenøst (i.v.).</p>
<p>Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter</p>	<p>Inaqovi muliggjør oral administrasjon av et kjent virkestoff (decitabin) som tradisjonelt har blitt administrert intravenøst. Effekt av behandling med Inaqovi kan ifølge de medisinske fagekspertene som bistod i den tidligere metodevurderingen sidestilles med andre tilgjengelige HMA (decitabin i.v., azacitidin s.c.). Av disse er det azacitidin som brukes mest i norsk klinisk praksis i dag.</p> <p>Den orale formuleringen av Inaqovi vurderes å ha fordeler for pasientene sammenlignet både med subkutan og intravenøs behandling, siden pasientene kan redusere antall sykehusbesøk for å motta behandling mot AML. De medisinske fagekspertene rekruttert til ID2023_023 påpekte også at hvis Inaqovi kunne kombineres med venetoklaks, ville det øke relevansen for norsk klinisk praksis. Dette fordi kombinasjonsbehandling med HMA og venetoklaks har vist en overlevelsesfordel for pasienter med AML, og begge administreres peroralt. Venetoklaks er fra før innført i spesialisthelsetjenesten for bruk i kombinasjon med et HMA til behandling av aktuell pasientpopulasjon².</p> <p>DMP vurderer at en sammenligning av månedlige legemiddel- og administrasjonskostnader for de ulike behandlingsoptimalene (venetoklaks i kombinasjon med hhv. (1) decitabin og cedazuridin p.o. (Inaqovi), (2) decitabin i.v. eller (3) azacitidin s.c.) vil være hensiktsmessig i denne saken, og antar at det ikke forventes vesentlige forskjeller i behandlingsvarighet mellom preparatene.</p> <p>Ettersom Inaqovi administreres peroralt av pasienten selv, til forskjell fra subkutan (azacitidin) eller intravenøs (decitabin) administrasjon på sykehus, vil en eventuell innføring av Inaqovi for gjeldende indikasjon kunne gi gevinster på variabler som vanligvis ikke synliggjøres i en ren prissammenstilling, men som kan tillegges vekt i en skjønnsmessig totalvurdering. Peroral behandling vil kunne gi besparelser i form av å kreve mindre helsepersonellressurser, i tillegg til fordeler for den enkelte pasient. For pasienter som bor langt unna et behandlingssted, vil tilgang til Inaqovi kunne gi besparelser i form av mindre tapt fritid, samt lavere transportkostnader og behov for overnattinger i forbindelse med behandling på etterfølgende dager.</p>

² Nye metoder ID2020_087: [Venetoklaks \(Venclyxto\) - Nye metoder](#)

Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	<p>DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen og tidligere metodevurdering (ID2023_023), og vurderer at en metodevurdering i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker.</p> <p>DMP mener opplysninger i egnethetsvurdering, sammen med et prisnotat, kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.</p>
---	---

Versjonslogg*

Dato	Hva
15.04.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP
<p>*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se Legemiddelsøk.no. Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.</p>	

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_012

Spørsmål	Faglige innspill
<p>1. Dagens behandling – alternativ</p> <p>- Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag?</p> <p>- Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering?</p> <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p>	<p>Etablert behandling er enten azacitidin + venetoclax eller decitabin + venetoclax. Disse to behandlingene regnes som likeverdige og er aktuelle komparatorer.</p>
<p>2. Plass i norsk klinisk praksis</p> <p>- Er det klinisk behov for metoden?</p> <p>- Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?</p> <p>Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p>	<p>Det er klinisk behov for metoden fordi det tillater i større grad hjemmebehandling hos pasienter som har noen få år igjen å leve, altså er livskvalitet essensielt. Inaqovi vil erstatte azacitidin som gis subcutant på sykehusene eller erstatte decitabin som gis intravenøst på sykehusene. Inaqovi + venetoclax vil nok bli den nye standardbehandlingen hvis det blir godkjent.</p>
<p>3. Pasientpopulasjonen i Norge</p> <p>- Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?</p>	<p>Ingen kommentar til pasientpopulasjonen, annet enn at noen få pasienter vil få dette før stamcelletransplantasjon.</p>
<p>4. Andre forhold</p> <p>- Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?</p>	<p>Azacitidin og decitabin gis vanligvis 5 eller 7 dager hver 28. dag på sykehusenes poliklinikk. Mange får denne behandlingen i ett eller flere år. All denne</p>

	behandlingen vil bli erstattet av hjemmebehandling hvis Inaqovi + ventoclox godkjennes.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<h3>6. Interesser og eventuelle interessekonflikter</h3> <p>Beskriv 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).</p>
Ingen interessekonflikter

<h3>7. Avsender av faglig innspill</h3>	
Sykehus	Akershus universitetssykehus
Avdeling	Hematologi
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Anders E. A. Dahm, professor og overlege
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>

Saksnummer 060-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2025_015 Belumosudil mesilate (Rezurock) til behandling av voksne og barn (12 år og eldre med en kroppsvekt på minst 40 kg) med kronisk transplantat-mot-vert-sykdom (cGVHD) når andre behandlingsalternativer gir begrenset klinisk nytte, ikke er egnet eller er uttømt.

Bakgrunn:

- Leverandør anmodet om vurdering i februar 2025, og Bestillerforum ga et oppdrag om en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse) 28.04.2025.
- Oppdraget ble avbestilt 08.12.2025 etter at leverandøren informerte om at legemiddelet ikke ble anbefalt for markedsføringstillatelse i EU av den vitenskapelige komitéen CHMP.
- Leverandør har sendt en ny anmodning etter at metoden fikk positiv opinion i EMA til en justert indikasjon.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren som har markedsføringstillatelse (MT): Sanofi-Aventis.
- Anmodningen gjelder et nytt virkestoff.
- Om sykdommen: cGVHD er en senkomplikasjon etter allogene stamcelletransplantasjon, og medfører kronisk inflammasjon og fibrose i forskjellige organer.
- Dagens behandling: Avhenger av alvorlighetsgrad. For moderat og alvorlig tilstand brukes kortikosteroider og ruksolitinib.
- Pasientgrunnlag: Leverandør estimerer at under 35 pasienter årlig er aktuelle for behandling.
- Tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) i Norge for indikasjonen: Mars 2026.
- Leverandør foreslår en kostnad-per-QALY-analyse.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnehetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Det europeiske legemiddelbyrået (EMA) sa først nei til å anbefale markedsføringstillatelse (MT) i oktober 2025. Legemiddelet fikk betinget MT 24. mars 2026 etter revurdering. Innen 4. kvartal 2029 må leverandør sende inn de endelige resultatene fra en randomisert, åpen, multisenter fase III-studie av belumosudil versus beste tilgjengelige behandling.
- Innspill fra fagmiljøet i tidligere og nåværende anmodningsprosess beskriver at dagens behandling inkluderer bruk av ekstrakorporal fotoforese (ECP), kortikosteroider (bl.a. prednisolon), ciklosporin og øyedråper, avhengig av affisert organ og funksjon. Bruk av ruksolitinib nevnes også. Ruksolitinib har MT, men er ikke vurdert i Nye metoder for denne indikasjonen.
- Vurdering fra DMP: Den kliniske studien er uten kontrollgruppe. Leverandør foreslår en kostnad-nytte-analyse i anmodningen, men beskriver ikke hvordan de vil etablere relativ effekt av belumosudil sammenlignet med relevant komparator i norsk klinisk praksis.
- Anbefaling fra DMP: DMP mener det er nødvendig å belyse prioriteringskriteriene ved anmodet bruk. Det er usikkert hvorvidt det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse. Dersom det i tråd med leverandør sitt forslag bestilles en

kostnad-nytte-analyse, bør leverandør bes om å avtale et formøte med DMP for å diskutere norsk PICO, samt utarbeidelsen av en kostnad-nytte-analyse.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- Barnelegeforeningen: 1 innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Ingen nasjonale handlingsprogram eller retningslinjer påvirkes.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret overført til RHF-ene 15.12.2024.

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av):

Fyll ut dato for innsending av skjema: 04.02.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Sanofi-Aventis AS
1.2 Navn kontaktperson	Zina Zolic-Karlsson
1.3 Stilling kontaktperson	Value Access Manager
1.4 Telefon	+47 91381773
1.5 E-post	zina.zolic-karlsson@sanofi.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.7 Telefon og e-post	

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	Et nytt virkestoff <input checked="" type="checkbox"/> En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon <input type="checkbox"/> En ny styrke eller formulering <input type="checkbox"/>
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Rezurock er indisert til behandling av voksne og barn (12 år og eldre med en kroppsvekt på minst 40 kg) med

<p><i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i></p> <p><i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i></p>	<p>kronisk transplantat-mot-vert-sykdom (chronic graft versus host disease - cGVHD) når andre behandlingsalternativer gir begrenset klinisk nytte, ikke er egnet eller er uttømt (foreløpig norsk oversettelse, ikke godkjent av norske myndigheter enda).</p> <p>Rezurock is indicated for the treatment of adults and paediatric patients (12 years and older with a body weight of at least 40 kg) with chronic graft-versus-host disease (cGVHD) when other treatment options provide limited clinical benefit, are not suitable, or have been exhausted.</p> <p>Kilde: Rezurock European Medicines Agency (EMA)</p>
2.3 Handelsnavn	Rezurock
2.4 Generisk navn/virkestoff	Belumosudil mesilate
2.5 ATC-kode	L04AA48
<p>2.6 Administrasjonsform og styrke</p> <p><i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstidspunkt</i></p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Tablett, 200 mg</p> <p>Anbefalt dosering: 200 mg daglig inntil sykdomsprogresjon.</p>
<p>2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme.</p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Selective immunosuppressant</p> <p>Belumosudil is a selective kinase inhibitor of Rho-associated coiled-coil containing protein kinase 2 (ROCK2). Inhibition of the ROCK2 pathway re-establishes the immune homeostasis and regulates profibrotic processes to address the underlying pathophysiologic drivers of cGVHD.</p>

<h3>3 Historikk – virkestoff og indikasjon</h3>	
<p>3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	
<p>3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi referanse</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Referanse:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Metodevurdert og anbefalt i Storbritannia (NICE): 1 Recommendations Belumosudil for treating chronic graft-versus-host disease after 2 or more systemic treatments in people 12 years and over Guidance NICE 2. Metodevurdert og anbefalt i Canada (CADTH): Belumosudil (Rezurock) 3. Metodevurdert og anbefalt i Skotland (Scottish Medicines Consortium): belumosudil (Rezurock)

<h4>4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring</h4>	
<p>4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner?</p> <p><i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for MT for første indikasjon: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>
<p>4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon?</p> <p><i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i></p> <p><i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i></p> <p><i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i></p>	<p>MT i Norge: Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Prosedyrenummer i EMA: EMA/H/C/006421</p> <hr/> <p>Hvis metoden ikke har MT:</p> <p>Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): 29.01.2026</p> <p>Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): 02.03.2026</p> <hr/> <p>Hvis metoden har MT:</p> <p>Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>

<p>4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Beskrivelse: A study is planned to collect data to confirm the beneficial effect of Rezero. The company has been requested to provide regular updates to EMA on the progress of the study.</p> <p>Reference: Rezero (belumosudil)</p>
<p>4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Dato for «orphan drug designation»: 17.10.2019</p>

5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

<p>5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
---	--

6 Sammenlignbarhet og anbud

<p>6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Kommentar: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Legemiddel og ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>

	Kommentar: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
--	---

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)	
7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB? <i>Hvis nei, begrunn kort</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Begrunnelse: Rezurock is a tablet formulation. As for other outpatient drugs FIMEA has confirmed they will not do an HTA assessment in Finland.

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)	
8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)? <i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Dato for søknad til EMA: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse	
9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	Kostnad-per-QALY-analyse. Standard valg, nytt virkestoff.
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Iht. godkjent indikasjon.
9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.) <i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i>	To enarmede kliniske studier. ITC.

9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Legemiddelpris er ikke kjent enda.
9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF. <i>Tidspunkt må oppgis</i>	Oktober 2026 (med forbehold om endring).

10 Sykdommen og eksisterende behandling

<p>10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon</p> <p><i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i></p>	<p>Graft-versus-host disease (GVHD) arises following allo-hematopoietic stem cell transplant (HCT) when donor cells target tissues in the recipient of the transplant, causing allo-immune reactions (Mawardi, Hashmi et al. 2019). GVHD may manifest as acute or chronic. The majority of cGVHD patients develop manifestations within the first-year post-HCT, however the onset can be variable (Jagasia, Greinix et al. 2015). The pathology of cGVHD is driven by T-cells, B-cells, macrophages, dendritic cells, and neutrophils (Cooke, Luznik et al. 2017). The complex interactions of these systems lead to inflammation, immune dysregulation, and fibrotic (or sclerotic) manifestations (Cooke, Luznik et al. 2017).</p> <p>cGVHD may present affecting one organ or multiple organs (Jagasia, Greinix et al. 2015). A study found that 65% of patients had ≥ 3 organs involved at the time of diagnosis, and that the skin, mouth, and eyes were the most commonly affected tissues (Salhotra, Eiznhamer et al. 2020). Other inflammatory and fibrotic manifestations of cGVHD include fasciitis, dry eye syndrome, scleroderma, and bronchiolitis obliterans syndrome (Jagasia, Greinix et al. 2015, Mawardi, Hashmi et al. 2019, Salhotra, Eiznhamer et al. 2020).</p>
<p>10.2 Fagområde</p> <p><i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i></p>	<p>Velg fagområde fra menyen:</p> <p>Immunologi</p>
<p>10.3 Kreftområde</p>	<p>Velg kreftområde fra menyen:</p>

<p><i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i></p>	<p>Velg et element.</p>
<p>10.4 Dagens behandling</p> <p><i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i></p>	<p>Mild cGVHD is treated with local therapies e.g. topical steroids. For moderate to severe disease systemic therapies are indicated. First line treatment is oral corticosteroids. At steroid refractory disease, and to reduce the risk of side effects due to long term steroid use, ruxolitinib is frequently used with extracorporeal photopheresis as an alternative. (Dragesund Rørvik et. al, Tidsskr Nor Legeforen 2023 Vol. 143. doi: 10.4045/tidsskr.22.0525)</p>
<p>10.5 Prognose</p> <p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p>	<p>cGVHD is a leading cause of mortality in patients post transplantation (DeFilipp, Alousi et al. 2021). An international study conducted between 2008 and 2017 demonstrated that allo-transplant patients with cGVHD have a significantly higher risk of non-relapse mortality (NRM) regardless of age (Bhatt, Wang et al. 2022).</p> <p>QoL as measured by the EQ-5D-5L was found to be significantly negatively affected by increasing disease severity and steroid-refractory/dependent status (Lachance, Hamad et al. 2021).</p>
<p>10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen</p>	<p>Rezurock skal gis iht. godkjent indikasjon; til voksne og barn (12 år og eldre med en kroppsvekt på minst 40 kg) med kronisk transplantat-mot-vert-sykdom (chronic graft versus host disease - cGVHD) når andre behandlingsalternativer gir begrenset klinisk nytte, ikke er egnet eller er uttømt.</p> <p>Kilde: Rezurock European Medicines Agency (EMA)</p>
<p>10.7 Pasientgrunnlag</p>	<p>According to the European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT) approximately 130 allogeneic stem cell transplantations are conducted in Norway per year.</p>

<p>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</p> <p>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</p> <p>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</p>	<p>cGVHD is one of the most common post-transplant complications with a reported incidence rate of approximately 50% after alloHCT (Arora, Cutler et al. 2016).</p> <p>Among those patients about 50% are estimated to require third line systemic treatment.</p> <p>The number of patients in the indicated population is estimated to be less than 35 patients annually.</p>
--	--

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
<p>11.1 Studie-ID</p> <p>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</p>	<p>ROCKstar/KD025-213 NCT03640481 https://clinicaltrials.gov/study/NCT03640481</p>	<p>KD025-208 NCT02841995 https://clinicaltrials.gov/study/NCT02841995</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.2 Studietype og -design</p>	<p>Phase 2, randomized, multicentre, US study; primary analysis at 6 months and follow-up analysis at 12 months</p>	<p>Phase 2a, dose-finding, open-label, US study; at data cut-off, median follow-up of 29 months</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.3 Formål</p>	<p>Evaluate the efficacy and safety of belumosudil in subjects with SR cGVHD.</p>	<p>Evaluate the safety and efficacy of belumosudil in patients with cGVHD.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.4 Populasjon</p> <p>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</p>	<p>Patients ≥12 years who had received alloHCT and were experiencing persistent cGVHD manifestations after failure of ≥2 prior lines of systemic therapy</p>	<p>Patients ≥18 years who had received allogeneic bone marrow transplant or alloHCT and were experiencing persistent cGVHD manifestations after receiving 1 to 3 prior lines of treatment</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

		and currently receiving CS treatment ± CNI ± concurrent ECP.	
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Belumosudil 200 mg once daily (n=77) Belumosudil 200 mg twice daily (n=75) Belumosudil was administered continuously until clinically significant progression of cGVHD or unacceptable toxicity.	Belumosudil 200 mg once daily (n=17) Belumosudil 200 mg twice daily (n=16) Belumosudil 400 mg once daily (n=21). Belumosudil was administered until disease progression or unacceptable toxicity.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	None.	None.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Primary: Best ORR at any time, defined as the proportion of subjects who achieved CR or PR according to the 2014 NIH Consensus Criteria Secondary: DOR, time to response, response by organ system , changes in LSS summary score, FFS, TTNT , changes in CS and CNI doses, OS, and patient self-reported	Primary: Best ORR, defined as the proportion of subjects who achieved CR or PR according to the 2014 NIH Consensus Criteria Secondary: DOR, TTR, response by organ system, LSS, changes in CS and CNI doses , TTNT, FFS, OS, pulmonary function tests , and patient self-reported symptom	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	symptom activity cGVHD assessment	activity cGVHD assessment	
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	<ul style="list-style-type: none"> • Severe cGVHD at screening (yes/no) • Duration of cGVHD prior to enrolment (>50th percentile; ≤50th percentile) • Number of organs involved at baseline (≥4; <4) • Number of prior systemic LOTs (≤3; >3) • Baseline CS dose level (>50th percentile; ≤50th percentile) • Prior ibrutinib (yes/no) • Prior ruxolitinib (yes/no) • Receiving concomitant PPI on C1D1 (yes/no) • Lung involvement at baseline (yes/no) • Sex (male/female) • Age groups (<65 years; ≥65 years) • Race (White/non-White) • Best response to the last prior treatment (PR + CR; SD + PD) 	<ul style="list-style-type: none"> • 200 mg once daily; 200 mg twice daily; 400 mg once daily • Refractory to prior line (yes; no) • Prior lines (≥ 2; 1) • cGVHD severity at baseline (severe, non-severe) • Number of organs involved at baseline (≥ 4; <4) • Receiving concomitant PPI on C1D1 (yes/no) • Response status to last prior line therapy (response/non-response) • Duration of cGVHD prior to enrolment (>50th percentile; ≤50th percentile) • cGVHD severity at baseline (severe/not severe) 	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<p>11.9 Oppfølgingstid</p> <p><i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i></p>	<p>The primary analysis was conducted after a 12-months follow up period. Data cut off August 2020. Patients on treatment has been included in a long-term follow up for 3 years.</p>	<p>The primary analysis was conducted after 24-36 months follow up period, depending on treatment group. Data cut off February 2020.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.10 Tidsperspektiv resultater</p> <p><i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i></p>	<p>Completed.</p>	<p>Completed.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.11 Publikasjoner</p> <p><i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publisasjon</i></p>	<p>Belumosudil for chronic graft-versus-host disease after 2 or more prior lines of therapy: the ROCKstar Study, Cutler et al, Blood. 2021;138(22):2278-2289.</p> <p>Belumosudil for chronic graft-versus-host disease after 2 or more prior lines of systemic therapy: 3-Year follow-up of the ROCKstar study. Lee SJ et al, Poster presented at: Tandem Meetings; February 21-24, 2024; San Antonio, TX</p>	<p>ROCK2 Inhibition With Belumosudil (KD025) for the Treatment of Chronic Graft-Versus-Host Disease, Jagasia et al, J Clin Oncol 2021 Jun 10;39(17):1888-1898</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

12 Igangsatte og planlagte studier	
12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden? <i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Betinget markedsføringstillatelse fra EMA. Mer informasjon etter forespørsel (venter på informasjon fra global regulatory).
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> <ul style="list-style-type: none"> - EFC17801, ROCKaspire study, NCT06082037, Phase 3, primary completion date 2026-09-17 A Study to Test How Effective Belumosudil Tablets Are for Treating Adult Participants With Chronic Lung Allograft Dysfunction - ACT16482, NCT04643002, Phase 1/2, primary completion date 2027-07-28: Isatuximab in combination with novel agents in RRMM – Master protocol (Substudy 5 including belumosudil). Study ongoing in Norway.

13 Diagnostikk	
13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør? <i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/>
13.2 Er testen etablert i klinisk praksis? <i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag? Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/>
13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

14 Andre relevante opplysninger	
<p>14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i></p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fagekspert i Nye metoder)</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <ul style="list-style-type: none"> - Overlege Tobias Gede-Dahl (Oslo universitetssykehus) - Overlege Anders Myhre (Oslo universitetssykehus) <p>Discussions on current treatment practice in Norway and possibility to access prevalence and treatment data from registries.</p>
<p>14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene?</p> <p><i>Hvis ja, begrunn kort.</i></p> <p><i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i></p> <p><i>Nærmere informasjon og skjema:</i> Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Conditions requiring managed entry agreements may be fulfilled.</p>
<p>14.3 Andre relevante opplysninger?</p>	<p>Patients in Norway may receive Rezurock through a Compassionate Use Named Patient (CUNP) program.</p>

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

	<p>Effektdata fra ROCKstar er basert på 132 pasienter (≥ 12 år), hvorav 66 pasienter mottok 200 mg belumosudil en gang daglig, og 66 pasienter mottok 200 mg belumosudil to ganger daglig. Primært utfallsmål var beste totale responsrate (ORR). Median oppfølgingstid var 14 måneder. Studieresultatene er publisert (3).</p> <p>EMA påpeker at det er usikkerhet knyttet til hvor stor nytten er, både på grunn av hvordan hovedresultatene ble målt og fordi pasientene samtidig fikk andre behandlinger. Belumosudil har fått betinget MT, og leverandør må levere ytterligere data til EMA. Innen 4. kvartal 2029 må leverandør sende inn de endelige resultatene fra en randomisert, åpen, multisenter fase III-studie av belumosudil versus beste tilgjengelige behandling.</p> <p>Ved forrige anmodningsprosess antok fagmiljøet at mellom 10-25 pasienter årlig vil kunne være aktuelle for behandling med belumosudil, etter svikt eller intoleranse på tidligere behandlinger. En pediater har i denne anmodningsprosessen skissert at maksimalt 2 barn årlig vil kunne være aktuelle for metoden.</p>
Begrunnelse i forslag	Anmoder foreslår en kostnad-nytte-analyse.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Den kliniske studien er uten kontrollgruppe. Leverandør foreslår en kostnad-nytte-analyse i anmodningen, men beskriver ikke hvordan de vil etablere relativ effekt av belumosudil sammenlignet med relevant komparator i norsk klinisk praksis.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP mener det er nødvendig å belyse prioriteringskriteriene ved anmodet bruk. Det er usikkert hvorvidt det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse. Dersom det i tråd med leverandør sitt forslag bestilles en kostnad-nytte-analyse, bør leverandør bes om å avtale et formøte med DMP for å diskutere norsk PICO, samt utarbeidelsen av en kostnad-nytte-analyse.

Kilder:

1. European Medicines Agency (EMA): Refusal of the marketing authorisation for Rezurock (belumosudil), [Rezurock \(belumosudil\)](#)
2. Rørvik SD, Abrahamsen IW, Myhre AE, Vo CD, Ødegaard EM, Bruserud Ø, mfl. Kronisk transplantat-mot-vert-sykdom. Tidsskrift for Den norske legeförening [Internett]. 13. mars 2023 [siter 26. februar 2025]; Tilgjengelig på: <https://tidsskriftet.no/2023/03/klinisk-oversikt/kronisk-transplantat-mot-vert-sykdom>
3. Cutler C, Lee SJ, Arai S, Rotta M, Zoghi B, Lazaryan A, mfl. Belumosudil for chronic graft-versus-host disease after 2 or more prior lines of therapy: the ROCKstar Study. Blood. 2. desember 2021;138(22):2278–89.

Versjonslogg*

Dato	Hva
08.04.2025	Egnettsvurdering ferdigstilt hos DMP
15.04.2026	Oppdatert i henhold til utfall av revurdering i EMA og 1 nytt innspill fra fagmiljøet.

*Egnettsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](#). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.

Innspill til Nye metoder fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2025_015 Belumosudil mesilate (Rezurock)

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	1. linje steroider 2. linje ruxolitinib +/- ekstrakorporal elektroforese (ECP) Omsøkt indikasjon er 3. linje. Det finnes ingen andre medikamenter for 3. linjes behandling.
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Ja. Belomosudil vil brukes hos barn i tilfeller hvor steroider og ruxolitinib og/eller ECP gir utilstrekkelig effekt, eller hvor disse medikamentene ikke kan gis til pasienten på grunn av medisinske kontraindikasjoner/alvorlige bivirkninger. Belomosudil vil ha en sentral rolle i tredjelinjens behandling, og i tidligere linje dersom o.n. medikamenter/behandlinger ikke kan brukes.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Barn mellom 12-18 år med cGvHD og behov for belomosudil: maks 2 pasienter per år.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	cGvHD hos barn er en svært alvorlig tilstand som påvirker livskvaliteten på en grunnleggende måte, og som potensielt er dødelig (særlig i lungene).

	Medikamenter som kan motvirke cGvHD med god sikkerhetsprofil i studier er svært tiltrengt.
5. For metoder som ikke er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv 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).

Belomosudil utvikles av Sanofi. U.t. har vært PI for en Sanofi-initiert legemiddelutprøving (isatuximab), på en annen indikasjon enn cGvHD (leukemi hos barn). U.t. har ikke mottatt personlig kompensasjon fra firmaet, kun OUS iht inngåtte avtaler (Inven2). Ingen interessekonflikter. U.t. leder en akademisk arbeidsgruppe utnevnt av EBMT for å lage konsensus-retninglinjer for behandling av barn med cGvHD.

7. Avsender av faglig innspill

Fagmedisinsk forening	Barnelegeforeningen IG hematologi og onkologi
Navn, stilling og arbeidsplass	Jochen Büchner, fagansvarlig overlege pediatriske stamcelletransplantasjoner. Barneavdeling for kreft og blodsykdommer, OUS.
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>

Saksnummer 061-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2024_029 Efanesoctocog alfa (Altuvoct) til behandling og profylakse av blødning hos pasienter med hemofili A (medfødt faktor VIII-mangel). Til bruk i alle aldersgrupper. Anmoder om vurdering av bruk til subgrupper.

Informasjon fra sekretariatet:

- Beslutningsforum for nye metoder besluttet 28.04.2025 (sak 067-2025) at metoden ikke innføres. Av begrunnelsen fremgår det blant annet at leverandøren ikke har tilbudt en pris som står i et rimelig forhold til dokumentert klinisk nytte.
- Leverandør ønsker avgrensning til undergrupper.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er Swedish Orphan Biovitrum AB (Sobi).
- Anmodningen gjelder et nytt virkestoff: Efanesoctocog alfa (Altuvoct).
- Anmodningen gjelder ikke en ny metodevurdering, men en avgrensning til subgrupper;
 - Barn eller eldre pasienter som har vanskeligheter med å stikke seg, eller som opplever injeksjoner som en stor belastning
 - Blødningskontroll ved kirurgiske inngrep
 - Pasienter med veldig høyt fysisk aktivitetsnivå eller med synovitt
- Legemidlet fikk markedsføringstillatelse (MT) i Norge for aktuell indikasjon 17.06.2024.
- Leverandøren er ikke kjent med at Nye metoder har vurdert andre virkestoff for samme eller lignende indikasjon. Leverandøren viser også til at Sykehusinnkjøp skal ha plassert anskaffelsen av Altuvoct i det scenario som gjelder legemidler der det ikke finnes et faglig likeverdig alternativ innenfor aktuelt bruksområde.
- Dagens behandling: Standardbehandling ved hemofili A er behandling med faktor VIII-konsentrater.
- Plass i behandlingen: Altuvoct er ment brukt hos en begrenset undergruppe av pasienter der behandling med eksisterende faktor VIII-konsentrater er vurdert som uegnet eller har utilstrekkelig effekt.
- Pasientgrunnlag: Den foreslåtte undergruppen er anslått til om lag 30 pasienter i Norge på sikt (etter 5 år).
- Type helseøkonomisk analyse: Leverandøren viser til tidligere metodevurdering (ID2024_029), og foreslår at anmodningen kan håndteres uten ny metodevurdering, da tilgjengelig dokumentasjon er uendret.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- 1 innspill (Norsk selskap for hematologi)

Innspill fra fagperson:

- 1 innspill

Innspill fra pasientforening:

- 1 innspill

Innspill fra Helsedirektoratet

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Påvirker på nåværende tidspunkt ingen nasjonale faglige retningslinjer.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret ble overført til RHF-ene 01.05.2017.

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av):

Fyll ut dato for innsending av skjema: 02.02.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Swedish Orphan Biovitrum AB
1.2 Navn kontaktperson	Judith Thanner
1.3 Stilling kontaktperson	Associate Director Patient Access
1.4 Telefon	+46 76 001 17 42
1.5 E-post	judith.thanner@sobi.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.7 Telefon og e-post	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	Et nytt virkestoff <input checked="" type="checkbox"/> En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon <input type="checkbox"/> En ny styrke eller formulering <input type="checkbox"/>
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Denne anmodningen gjelder ikke en ny vurdering, men en anmodning om følgende begrensning av en populasjon i forbindelse med videre forhandlinger med Sykehusinnkjøp og beslutningen (sak 067-2025):

<p><i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i></p> <p><i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i></p>	<p>"Behandling og profylakse av blødning hos pasienter med hemofili A (medfødt faktor VIII-mangel) der behandling med nåværende FVIII med standard eller forlenget halveringstid (SHL/EHL) er vurdert som uegnet eller der effekt av behandling med nåværende FVIII (SHL/EHL) er utilstrekkelig. Kan brukes i alle aldersgrupper."</p> <p>Denne undergruppen kan defineres ut fra følgende kriterier:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Barn eller eldre pasienter som har vanskeligheter med å stikke seg, eller som opplever injeksjoner som en stor belastning • Blødningskontroll ved kirurgiske inngrep • Pasienter med veldig høyt fysisk aktivitetsnivå eller med synovitt
<p>2.3 Handelsnavn</p>	<p>Altuvoct</p>
<p>2.4 Generisk navn/virkestoff</p>	<p>Efanesoctocog alfa</p>
<p>2.5 ATC-kode</p>	<p>B02BD02</p>
<p>2.6 Administrasjonsform og styrke</p> <p><i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i></p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Intravenous infusion</p>
<p>2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme.</p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Mechanism of action: Clotting factor 8 (FVIII) interacts with von Willebrand factor (VWF) and platelets to generate a normal haemostatic response. VWF acts as a chaperone for FVIII and, under normal conditions, >95% of FVIII circulating in plasma is bound to VWF in a high-affinity non-covalent association, and during clotting, thrombin cleavage releases activated FVIII from VWF. However, the FVIII-VWF interaction imposes a biological limit on the half-life of FVIII replacement products, as the complex is subject to the VWF clearance pathway with a half-life of about 16 hours (VWF half-life ceiling) (Hermans and Pierce 2023, Malec and Matino 2023).</p> <p>Efanesoctocog alfa has a half-life of about 47 hours (observed in Phase 3 XTEND-1 study in patients with haemophilia A [PwHA] aged ≥ 12 years [NCT04161495]) and overcomes the VWF-imposed half-life ceiling via three mechanisms (von Drygalski et al. 2023):</p> <ul style="list-style-type: none"> - Fc domain facilitates recycling through the neonatal Fc receptor pathway

	<ul style="list-style-type: none"> - Covalent linkage to a VWF D'D3 FVIII binding domain decouples recombinant FVIII from endogenous VWF - Two XTEN polypeptides shield efanesoctocog alfa from proteolytic degradation and clearance <p>Efanesoctocog alfa thus belong to a new generation of clotting factors with a greatly improved half-life, enabling longer dosing intervals and higher factor trough levels than extended half-life (EHL) products currently on the market. This enables the achievement of normal coagulation and efanesoctocog alfa will thus prevent long term joint damage.</p>
--	---

3 Historikk – virkestoff og indikasjon

<p>3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: ID2024_029</p>
<p>3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi referanse</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Referanse: Medisinrådet Danmark: Efanesoctocog alfa - Hæmofili A</p>

4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring

<p>4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner?</p> <p><i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Dato for MT for første indikasjon: 17.06.2024</p>
<p>4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
<p>4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon?</p> <p><i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i></p>	<p>MT i Norge: Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Prosedyrenummer i EMA: EMA/H/C/005968</p>

<p><i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i></p> <p><i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i></p>	<p>Hvis metoden ikke har MT:</p> <p>Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p> <p>Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Beskrivelse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Dato for «orphan drug designation»: 28.06.2019</p>

5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

<p>5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
---	--

6 Sammenlignbarhet og anbud

<p>6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Kommentar: Sykehusinköp definisjon av scenario 1 för anskaffelser av Altuvoct: Nytt legemiddel der det ikke finns faglig likeverdig alternativ innenfor aktuelt bruksområde.</p>
--	--

<p>6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Legemiddel og ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Kommentar: 2612 Blodkoagulasjonsfaktorer</p>

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)

<p>7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB?</p> <p><i>Hvis nei, begrunn kort</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Begrunnelse: Altuvoc has already positive reimbursement recommendations in Denmark, Finland and Sweden</p>
--	--

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)

<p>8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for søknad til EMA: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>
---	--

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse

<p>9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren?</p> <p><i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i></p> <p><i>Begrunn forslaget</i></p>	<p>See metodevurdering ID2024_029</p>
<p>9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.</p>	<p>The relevant patient population with a very high clinical unmet need proposed under 2.2 is estimated by treating physicians to approximately 12,5% after 5</p>

	<p>years, corresponding to about 30 patients out of an eligible population of 240, see detailed patient assumptions below:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Barn eller eldre pasienter som har vanskeligheter med å stikke seg, eller som opplever injeksjoner som en stor belastning. Spesielt når hyppige injeksjoner fører til redusert compliance, noe som kan resultere i lavere faktornivå enn tilsiktet og økt blødningsrisiko. Totalt ca. 20 pasienter (20% voksne; 80% barn) • Blødningskontroll ved kirurgiske inngrep. 1–2 injeksjoner anbefales i stedet for kontinuerlig faktorinfusjon over 7–9 dager, som er dagens standardbehandling, i henhold til en klinisk ekspert. • Pasienter som behøver et høyere og mer stabilt faktornivå, for eksempel pasienter med høyt fysisk aktivitetsnivå eller med synovitt som har økt blødningsrisiko. Totalt ca. 10 pasienter (80% voksne; 20% barn)
<p>9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.)</p> <p><i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i></p>	<p>See metodevurdering ID2024_029</p>
<p>9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.</p>	<p>The patient population is estimated to ca. 30 patients after 5 years, see detailed patient estimates above.</p> <p>Annual cost calculated based on an average AUP of 15.23 NOK per IU, excluding any discounts: Altuvoct total 30 patients = 62 701 520 kr - 12 adults (86,6 kg) = 41 261 031 kr - 18 children (30 kg) = 21 440 489 kr</p>
<p>9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF.</p> <p><i>Tidspunkt må oppgis</i></p>	<p>Sobi proposes a limited patient population with a very high clinical unmet need for recommendation without initiating a new method assessment, since the available study data remained unchanged</p>

10 Sykdommen og eksisterende behandling

<p>10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon</p>	<p>Haemophilia A is an inherited bleeding disorder associated with the partial or total deficiency of clotting factor VIII (FVIII). Haemophilia A is caused by</p>
---	--

<p><i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i></p>	<p>mutations of the FVIII gene in the X chromosome, meaning that males are affected while female carriers are typically asymptomatic (De Caterina et al. 2013).</p> <p>In normal haemostasis, coagulation is activated when a blood vessel is damaged resulting in the formation of a stable platelet and fibrin clot at the site of injury (De Caterina et al. 2013). In PwHA, there is a deficiency in the plasma glycoprotein FVIII, resulting in a failure to generate adequate thrombin for stable clot formation (Bolton-Maggs and Pasi 2003). This disruption of normal coagulation results in spontaneous bleeding, or severe or excessive bleeding in response to trauma or surgery (Srivastava et al. 2013). Haemorrhage frequency and severity correlates with FVIII levels (Srivastava et al. 2020). There are three degrees of severity in haemophilia. Whereas normal levels of FVIII are between 0.4 and 1.5 IU/mL (40–150%), patients with mild, moderate, and severe haemophilia have FVIII levels of 0.05 – 0.4 IU/mL (5–40%), 0.01-0.05 IU/mL (1–5%) and <0.01 IU/mL (<1%) respectively (World Federation of Hemophilia 2022).</p>
<p>10.2 Fagområde</p> <p><i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i></p>	<p>Velg fagområde fra menyen:</p> <p>Blodsykdommer</p>
<p>10.3 Kreftområde</p> <p><i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i></p>	<p>Velg kreftområde fra menyen:</p> <p>Velg et element.</p>
<p>10.4 Dagens behandling</p> <p><i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i></p>	<p>FVIII concentrates are the standard of care replacement therapy for haemophilia A internationally as well as in Norway (Nordic Hemophilia Council 2022, Srivastava et al. 2020). Standard half-life (SHL) FVIII concentrates have half-lives of 10–14 hours, meaning that prophylaxis typically requires infusions every other day. Currently licensed EHL FVIII products show a 1.4- to 1.6-fold improvement in half-life compared with SHL FVIII, typically requiring infusions every 3-5 days or longer (Marchesini et al. 2021). SHL and EHL are first line choices in prophylactic treatment in Norway, with ranking according to tender outcomes (Sykehusinnkjøp 2023).</p> <p>In the past, the aim of prophylactic treatment of haemophilia A has been to convert a person with</p>

	<p>severe haemophilia (baseline FVIII level <1 IU/dL [1%]) to a bleeding phenotype typical of moderate or mild haemophilia by maintaining factor trough levels above 1 IU/dL (1%). However, factor trough levels of 1–3 IU/dL (1%–3%) are insufficient to totally prevent bleeds in all people, and this regimen is ineffective in preventing joint damage in the long run. Low factor trough levels allow occasional clinical and subclinical bleeds, resulting in gradual progression of joint disease over a lifespan. The higher the factor trough levels, the less the bleeding, and most clinicians prefer to target higher trough levels (>3%-5%, or higher) (Srivastava et al. 2020, Skinner et al. 2020, Malec and Matino 2023). However, trough levels are limited by the short half-life of currently available FVIII concentrates, and higher trough levels may therefore require higher doses or more frequent infusions of factor concentrates.</p>
<p>10.5 Prognose</p> <p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p>	<p>Factor levels are limited by the short half-life of FVIII concentrates, and a major challenge with all current FVIII products is the need for frequent administration to maintain trough levels high enough to prevent spontaneous bleeding (Soucie et al. 2018). The proposed patient population—where treatment with FVIII is considered unsuitable or where the effect of FVIII treatment is insufficient—is at increased risk of bleeding due to inadequate factor levels. This risk is particularly pronounced in cases of poor compliance with frequent weekly injections, in highly physically active individuals, or in patients with synovitis.</p> <p>Joint bleeds lead to iron deposition, causing chronic synovitis and cartilage damage, which in turn increases the risk of further bleeding (Knobe and Berntorp 2011). A single joint bleed can initiate a vicious cycle that ultimately results in arthropathy. Subacute joint bleeds occur after repeated bleeding episodes in the same joint; at this stage, the joint and surrounding soft tissues sustain irreversible damage. Clinical signs of joint damage persist and are detectable between bleeding episodes, including reduced mobility, joint swelling due to effusion or synovial hypertrophy, and muscle, ligament, and capsular contractures.</p> <p>There is a significant medical need for sustained high factor levels with a once weekly injection, particularly for the proposed subgroup. Treatment should maintain FVIII activity consistently above the minimum protective threshold, ideally within the normalized haemostasis range for a substantial portion of time, while minimizing treatment burden. This enables</p>

	people with haemophilia (PwH) to achieve a quality of life comparable to individuals without haemophilia.
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Efanesoctocog alfa is a once-weekly FVIII replacement therapy, which achieves non-haemophilia activity levels (>40%) for a significant part of the week, with a mean of 15% after 7 days. Efanesoctocog alfa is expected to be an important treatment alternative for patients with haemophilia A for the patient population below.
10.7 Pasientgrunnlag <i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i> <i>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</i> <i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i>	See metodevurdering ID2024_029 The relevant patient population with a very high unmet clinical need proposed in this request is estimated by treating physicians to approximately 12,5% after 5 years, corresponding to about 30 patients out of an eligible population of 240. See detailed patient assumptions under 9.2

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	XTEND-1, NCT04161495, A Phase 3 Open-label Interventional Study of Intravenous Recombinant Coagulation Factor VIII Fc-von Willebrand Factor-XTEN Fusion Protein, Efanesoctocog	XTEND kids, NCT04759131, Phase 3, open-label, two age cohorts (<6 years and 6–<12 years). https://clinicaltrials.gov/study/NCT04759131 (ClinicalTrials.gov 2023c)	XTEND-ed, NCT04644575, Long-term, open-label extension study. Previously treated patients of all ages with severe haemophilia A. https://clinicaltrials.gov/study/NCT04644575

	Alfa (BIVV001), in Patients With Severe Hemophilia A https://clinicaltrials.gov/study/NCT04161495		(ClinicalTrials.gov 2023a)
11.2 Studietype og - design	Eligible participants (12 years and older) received efanesoctocog alfa 50 IU/kg once-weekly as a prophylaxis regimen for up to 52 weeks (Arm A), or received efanesoctocog alfa 50 IU/kg as an on-demand regimen for bleeding episodes for 26 weeks, and then efanesoctocog alfa 50 IU/kg once-weekly prophylaxis for another 26 weeks (Arm B). Bleeding episodes were treated with a single dose of efanesoctocog alfa 50 IU/kg, and if the bleeding episode did not resolve, additional doses of efanesoctocog alfa 30 or 50 IU/kg could be administered every 2-3 days.	The study comprised two age cohorts of children (<6 years and 6 to <12 years), and consisted of a screening period of up to 8 weeks, a 52-week open-label treatment period, and a 2- to 3-week safety follow-up period only for participants who did not enter the open-label extension study.	Participants received efanesoctocog alfa once weekly for a total of at least 100 exposure days to efanesoctocog alfa (including exposure during a efanesoctocog alfa parent study, if applicable). Participants have the opportunity to continue in this study for up to 4 years.
11.3 Formål	<p>Primary Objective:</p> <ul style="list-style-type: none"> - To evaluate the efficacy of efanesoctocog alfa as a prophylaxis treatment in prophylaxis treatment arm. <p>Secondary Objectives:</p> <ul style="list-style-type: none"> - To evaluate the efficacy of efanesoctocog alfa as a prophylaxis treatment. - To evaluate the efficacy of efanesoctocog alfa in 	<p>Primary Objective:</p> <ul style="list-style-type: none"> - To evaluate the safety of efanesoctocog alfa in previously treated pediatric subjects with haemophilia A <p>Secondary Objectives:</p> <ul style="list-style-type: none"> - To evaluate the efficacy of efanesoctocog alfa as a prophylaxis treatment - To evaluate the efficacy of efanesoctocog alfa in 	<p>To evaluate long-term safety and efficacy of efanesoctocog alfa, including perioperative management and durability of effect.</p> <p>Inclusion criteria:</p> <ul style="list-style-type: none"> - For participants rolling over into Arm A o Participants who have completed the studies EFC16923, EFC16925, Arm B or Arm C of the

	<p>the treatment of bleeding episodes.</p> <ul style="list-style-type: none"> - To evaluate efanesoctocog alfa consumption for the prevention and treatment of bleeding episodes. - To evaluate the effect of efanesoctocog alfa prophylaxis on joint health outcomes. - To evaluate the effect of efanesoctocog alfa prophylaxis on Quality of Life outcomes. - To evaluate the efficacy of efanesoctocog alfa for perioperative management. - To evaluate the safety and tolerability of efanesoctocog alfa treatment. - To assess the pharmacokinetics (PK) of efanesoctocog alfa based on the 1-stage activated partial thromboplastin time (aPTT) and 2-stage chromogenic coagulation factor VIII (FVIII) activity assays. 	<p>the treatment of bleeding episodes</p> <ul style="list-style-type: none"> - To evaluate efanesoctocog alfa consumption for prevention and treatment of bleeding episodes - To evaluate the effect of efanesoctocog alfa prophylaxis on joint health outcomes - To evaluate the effect of efanesoctocog alfa prophylaxis on Quality of Life (QoL) outcomes - To evaluate the efficacy of efanesoctocog alfa for perioperative management - To evaluate the safety and tolerability of efanesoctocog alfa treatment - To assess the pharmacokinetics (PK) of efanesoctocog alfa 	<p>current study, or any other potential BIVV001 study.</p> <ul style="list-style-type: none"> - For participants new to BIVV001 (Arm B and C) <ul style="list-style-type: none"> o Previous treatment for hemophilia A (prophylaxis or on-demand) with any recombinant and/or plasma-derived FVIII, or cryoprecipitate for at least 150 EDs or 50 EDs for participants aged <6 years. o Platelet count $\geq 100\,000$ cells/μL at screening. o A participant known to be human immunodeficiency virus (HIV) antibody positive, either previously documented or identified from screening assessments, must have the following results prior to enrollment: CD4 lymphocyte count > 200 cells/mm^3 and viral load of $< 400\,000$ copies/mL <p>Exclusion criteria</p> <ul style="list-style-type: none"> - For participants rolling over into Arm A <ul style="list-style-type: none"> o History of inhibitors - For participants new to BIVV001 (Arm B and Arm C) <ul style="list-style-type: none"> o History of a positive inhibitor (to FVIII) test defined as ≥ 0.6 BU/mL, or any value greater than or equal to the lower sensitivity cut-off for laboratories with cut-offs for inhibitor detection between 0.7 and 1.0 BU/mL, or clinical signs or
--	---	--	---

			<p>symptoms of decreased response to FVIII administrations. Family history of inhibitors will not exclude the participant.</p> <ul style="list-style-type: none"> o History of inhibitors o Emicizumab use within the 20 weeks prior to screening. o Major surgery within 8 weeks prior to screening.
<p>11.4 Populasjon</p> <p><i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i></p>	<p>Eligibility criteria were severe haemophilia A, defined as <1 IU/dL (<1%) endogenous FVIII or a documented genotype known to produce severe haemophilia A, and had received previous treatment for haemophilia A including any recombinant and/or plasma-derived FVIII concentrate, or cryoprecipitate for at least 150 exposure days.</p>	<p>Participants enrolled in this study were PTPs previously treated patients with severe haemophilia A defined as <1 IU/dL [<1%] endogenous FVIII or a documented genotype known to produce severe haemophilia A. Previous treatment of haemophilia A (prophylaxis or on-demand) was defined as any recombinant and/or plasma-derived FVIII replacement product, or cryoprecipitate for at least 150 exposure days for patients aged 6 to <12 years and for at least 50 exposure days for patients aged <6 years. Participants with a history of a positive inhibitor test or with a positive inhibitor result at study screening were excluded.</p>	<p>Inclusion criteria:</p> <ul style="list-style-type: none"> - For participants rolling over into Arm A <ul style="list-style-type: none"> o Participants who have completed the studies EFC16923, EFC16925, Arm B or Arm C of the current study, or any other potential BIVV001 study. - For participants new to BIVV001 (Arm B and C) <ul style="list-style-type: none"> o Previous treatment for hemophilia A (prophylaxis or on-demand) with any recombinant and/or plasma-derived FVIII, or cryoprecipitate for at least 150 EDs or 50 EDs for participants aged <6 years. <ul style="list-style-type: none"> o Platelet count $\geq 100\,000$ cells/μL at screening. o A participant known to be human immunodeficiency virus (HIV) antibody positive, either previously documented or identified from screening assessments, must have the following results prior to enrollment: CD4 lymphocyte count >200

			<p>cells/mm³ and viral load of <400 000 copies/mL</p> <p>Exclusion criteria</p> <ul style="list-style-type: none"> - For participants rolling over into Arm A <ul style="list-style-type: none"> o History of inhibitors - For participants new to BIVV001 (Arm B and Arm C) <ul style="list-style-type: none"> o History of a positive inhibitor (to FVIII) test defined as ≥0.6 BU/mL, or any value greater than or equal to the lower sensitivity cut-off for laboratories with cut-offs for inhibitor detection between 0.7 and 1.0 BU/mL, or clinical signs or symptoms of decreased response to FVIII administrations. Family history of inhibitors will not exclude the participant. o History of inhibitors o Emicizumab use within the 20 weeks prior to screening. o Major surgery within 8 weeks prior to screening.
<p>11.5 Intervensjon (n)</p> <p><i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i></p>	<p>Arm A: prophylaxis, efanesoctocog alfa (n=133), 50 IU/kg QW, once weekly, up to 52 weeks</p> <p>Arm B: on-demand, then prophylaxis, efanesoctocog alfa (n=26), 50 IU/kg as needed for treatment of bleeding episodes from week 1 to week 26. At week 26, participants switched to prophylaxis treatment, 50 IU/kg QW,</p>	<p>The eligible participants received efanesoctocog alfa (n=75), at a dose of 50 IU/kg IV, QW, once weekly for 52 weeks.</p>	<p>Efanesoctocog alfa (n=261), at a dose of 50 IU/kg IV, once weekly, QW, up to 4 years.</p>

	once weekly, until week 52.		
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	NA	NA	NA
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	<p>Primary: Annualized Bleeding Rate (ABR) intra-patient comparison of FVIII versus efanesoctocog alfa (key secondary endpoint)</p> <p>Secondary:</p> <ul style="list-style-type: none"> - Joint health - HRQoL - Pain - Treatment of bleeds - Perioperative management - PK parameters - Safety, including inhibitor development 	<p>Primary: Inhibitor development (primary endpoint)</p> <p>Secondary:</p> <ul style="list-style-type: none"> - ABR - Efanesoctocog alfa consumption - Joint health - HRQoL - Treatment of bleeds - Perioperative management - Safety - PK parameters 	<ul style="list-style-type: none"> - ABR - FVIII activity - Joint health - HRQoL - PK parameters - Safety
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	Surgery subgroup - Surgery data: 11 patients underwent 12 major surgeries (6 orthopaedic, 6 non-	Surgery subgroup - Surgery data: 2 patients underwent 2 major surgeries. 8 patients underwent 9	Long-term data (up to 4 years) confirm sustained efficacy and safety of once-weekly efanesoctocog alfa

	<p>orthopaedic). 15 patients underwent 18 minor surgeries. All major and minor surgeries achieved 100% haemostatic efficacy, with no inhibitor development, no serious complications, and no need for blood transfusion.</p>	<p>minor surgeries. All major and minor surgeries achieved 100% haemostatic efficacy, with no inhibitor development, no serious complications, and no need for blood transfusion.</p>	<p>prophylaxis in adults, adolescents, and children. No new safety signals or inhibitor development observed. (Staber J, et al.; Susen S, et al., Blood 2025)</p> <p>Long-term follow-up includes patients from XTEND-1 and XTEND-Kids, but perioperative data not available yet.</p>
<p>11.9 Oppfølgingstid</p> <p><i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i></p>	52 weeks	52 weeks	Up to 4 years
<p>11.10 Tidsperspektiv resultater</p> <p><i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i></p>	Completed	Completed	Ongoing Interim data cut-off: 22 February 2024.
<p>11.11 Publikasjoner</p> <p><i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i></p>	<p>Efanesoctocog Alfa Prophylaxis for Patients with Severe Hemophilia A, Von Drygalski et al. N Engl J Med 2023, 388: 310-8.</p>	<p>Malec L, et al. "Efanesoctocog Alfa Prophylaxis for Children with Severe Hemophilia A." NEJM 2024; 391: 235-46. Klamroth R, et al.</p>	<p>taber J, et al. "Clinical Outcomes Over 3 Years of Once-Weekly Efanesoctocog Alfa Treatment..." Blood 2025; 146 (Suppl 1): 539. Susen S, et al.</p>

	<p>Klamroth R, et al. "Perioperative Management With Efanesoctocog Alfa in Patients With Haemophilia A in the Phase 3 XTEND-1 and XTEND-Kids Studies." Haemophilia 2025; 31: 391-400.</p> <p>(ClinicalTrials.gov 2023b, von Drygalski et al. 2023)</p>	<p>Haemophilia 2025; 31: 391-400.</p> <p>Klamroth R, et al. "Perioperative Management With Efanesoctocog Alfa in Patients With Haemophilia A in the Phase 3 XTEND-1 and XTEND-Kids Studies." Haemophilia 2025; 31: 391-400.</p> <p>(ClinicalTrials.gov 2023c)</p>	<p>Blood 2025; 146 (Suppl 1): 539.</p> <p>(ClinicalTrials.gov 2023a)</p>
--	--	---	--

12 Igangsatte og planlagte studier	
<p>12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Yes, XTEND-ed (in the right column in the table above) which is estimated to be completed 15.01.2027.</p>
<p>12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

13 Diagnostikk	
<p>13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
<p>13.2 Er testen etablert i klinisk praksis?</p> <p><i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</p> <p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>

13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

14 Andre relevante opplysninger	
<p>14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i></p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fagekspert i Nye metoder)</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Pål André Holme, Rikshospitalet Heidi Knudsen, Rikshospitalet</p> <p>Sobi has been in contact with treating physicians to discuss and define the patient population proposed in this document.</p>
<p>14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene?</p> <p><i>Hvis ja, begrunn kort.</i></p> <p><i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i></p> <p><i>Nærmere informasjon og skjema:</i> Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Sobi proposes a limited patient population with a very high clinical unmet need for recommendation without initiating a new method assessment, since the available study data remains unchanged.</p>
14.3 Andre relevante opplysninger?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Innspill til Nye metoder fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2024_029

Spørsmål	Faglige innspill
<p>1. Dagens behandling – alternativ</p> <p>- Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag?</p> <p>- Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering?</p> <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p>	<p>Rekombinant koagulasjonsfaktor VIII med forlenget halveringstid (EHL) er standard behandling.</p> <p>Pasientene følger i all hovedsak LIS-anbud, for tiden Jivi og Esperoct for voksne og Elocta for barn.</p>
<p>2. Plass i norsk klinisk praksis</p> <p>- Er det klinisk behov for metoden?</p> <p>- Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?</p> <p>Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p>	<p>Det er et klart behov for Altuvoct i Norge. Norske pasienter ønsker det samme tilbudet somflertallet i naboland som Finland allerede får. Altuvoct vil være et bedre alternativ til standard EHL-produkter, spesielt for pasienter med stikkevansker, de som trenger en høyere bunnverdi av FVIII, og ved operative inngrep som ellers krever faktorpumpe.</p> <p>- Betydelig økt livskvalitet (QoL): Færre injeksjoner og en vedvarende høyere FVIII-bunnverdi gir tilnærmet normal hemostase.</p> <p>- Økt samfunnsdeltakelse: Tryggheten et normalisert faktornivå gir betyr mindre behov for tilrettelegging i både arbeidsliv og hverdag.</p> <p>Frigjøring av sykehusressurser: Ved operative inngrep vil overgangen fra kontinuerlig faktorpumpe til sannsynligvis 1–2 injeksjoner med</p>

	Altuvoct redusere både faktorforbruket og antall liggedøgn på sykehuset.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Pasientpopulasjonen som er aktuell for metoden virker rimelig.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Altuvoct gi blødningsutsatte pasienter en reell sjanse til å oppnå nær normal hemostase og en hverdag helt uten blødninger. Dette representerer et betydelig medisinsk fremskritt.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv 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).

Ingen interessekonflikter.

7. Avsender av faglig innspill

Fagmedisinsk forening	Norsk selskap for hematologi
Navn, stilling og arbeidsplass	Christian Qvigstad, overlege, Avdeling for blodsykdommer OUS Rikshospitalet
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>

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_029
Metodens navn:	Efanektokog alfa (Altuvoc)

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Heidi Knudsen
Eventuell organisasjonstilhørighet/arbeidsplass/firma	Overlege Barneklubben (BKB)/Senter for sjeldne diagnoser
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	heidkn@ous-hf.no

3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) <i>Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.</i>
Skriver her som barnelege med ansvar for behandling av alle barn med Hemofili A i Norge. Nesten alle pasienter med moderat og alvorlig form får profylaktisk behandling 2-3 ganger per uke. Det er for denne pasientgruppen ønskelig å kunne benytte seg av et faktorkonsentrat som kan gis kun en gang per uke. Fører til <ul style="list-style-type: none">• Færre stikk• Færre besøk på sykehus• Bedre beskyttelse enn nåværende produkt

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: Alle aldersgrupper

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

Beskriv kortfattet: Det finnes på markedet faktor VIII konsentrat, men ikke med like lang halveringstid, som fører til hyppigere stikk/injeksjoner

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: Som barnelege behandler jeg pasienter opptil 18 år, for denne pasientgruppen er det viktigste å stikke sjeldnere. Det er også en fase i småbarnsalder hvor sjeldnere stikk vil føre til færre beseøk på sykehus, samt barn i den alderen kan være redde for stikk og slipper unna med 30-50% mindre stikk i året, som tilsvarer 50-100 stikk mindre i løpet av et år.

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

Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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: Ingen.

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_029
Metodens navn:	Altuvoct

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
Eventuell organisasjon/stilhørighet/arbeidsplass/firma	Foreningen for blødere i Norge (FBIN)
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	julie.andersland@gmail.com/ tlf. 41611572

3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) <i>Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.</i>
Foreningen for blødere i Norge jobber for å spre kunnskap om blødersykdommer og bidra til at blødere lever et mest mulig normalt liv. Selv om blødere i Norge i dag får god behandling, er det for mange knyttet utfordringer til at medisinen må settes intravenøst. Færre stikk vil gi bedre livskvalitet for de alle fleste blødere. Langtidsvirkende preparater har derfor stor betydning for hvor normalt blødere kan leve og medfører mindre ubehag knyttet til behandlingssituasjonen. Hvis en pasient med Hemofili A kan få redusert antall behandlinger med én i uken, betyr det 50 færre stikk i året. For noen kan behandling med Altuvoct bety reduksjon i 1-2 stikk i uken, altså et betydelige antall i løpet av et år.

I tillegg kan langtidsvirkende behandling også bety bedre beskyttelse mot blødninger, da faktornivået ikke nødvendigvis synker ned på de laveste nivåene før neste dose settes. Det betyr bedre livskvalitet og mulighet for å leve et aktivt liv for den enkelte bløder. Det at langtidsvirkende faktorkonsentrat gjør at faktornivået totalt sett blir høyere, vil bidra til at mikroblødninger som er vanskelige å fange opp, ikke vil forekomme. Dette vil på sikt føre til mindre artrose og skader i ledd, noe som både gir bedre livskvalitet for den enkelte bløder, men vil også kunne bidra til bedre deltakelse i yrkeslivet og mindre sykefravær. Høyt sykefravær er i dag en stor økonomisk belastning for samfunnet.

Mange små barn opplever stikkene som belastende og det kan være vanskelig å treffe tynne blodårer. Stikkesituasjonen kan bety mange tårer og ubehag for barna, noe som også påvirker foreldrene som opplever det som tungt og vanskelig å påføre barnet sitt smerte og tvang. Noen barn opplever traumer på sikt.

Stikkene kan også være en påkjenning når foreldre selv skal lære seg å stikke sitt eget barn, og når bløderne som ungdommer skal sette faktor selv. Færre stikk, gir mindre ubehag, bekymring og en mer normal hverdag for blødere i alle aldre.

Altuvoco er et tilgjengelig produkt for behandling av Hemofili A i andre land, f.eks. i Danmark, og Foreningen for blødere i Norge mener dette bør være en mulighet for denne pasientgruppen også i Norge. Det vil kunne bety en stor forbedring i livskvalitet for f.eks. barn med Hemofili A med vanskelige blodårer eller skrekk for å stikke, og dermed også en betydelig bedre livssituasjon for deres pårørende og familier.

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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

10. Andre kommentarer

Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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: Foreningen for blødere i Norge er en medlemsorganisasjon for blødere, deres familier og andre som ønsker å støtte foreningens arbeid. Foreningen jobber for medlemmenes interesser.

Saksnummer 062-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2026_ 010 Dupilumab - Dupixent - til behandling av eosinofil øsofagitt (EoE) hos voksne, ungdom og barn ≥ 1 år med kroppsvekt ≥ 15 kg som er utilstrekkelig kontrollert av, ikke tåler eller ikke er kandidat for konvensjonell medisinsk behandling.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren har markedsføringstillatelse (MT): Sanofi.
- Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse.
- Administrasjonsform: subkutant.
- Farmakoterapeutisk gruppe: Et rekombinant, humant, monoklonalt IgG4-antistoff.
- Det aktuelle virkestoffet er tidligere behandlet i Nye metoder og innført til andre indikasjoner: [ID2023_059](#) (alvorlig atopisk dermatitt), [ID2022_114](#) (prurigo nodularis), [ID2021_121](#) (alvorlig astma), [ID2020_036](#) (atopisk dermatitt), [ID2019_068](#) (CRSwNP), [ID2019_015](#) (atopisk dermatitt), [ID2018_101](#) (moderat til alvorlig astma), [ID2017_055](#), [ID2018_113](#), [ID2019_082](#) (Alvorlig atopisk dermatitt)
- Markedsføringstillatelse (MT) i Norge: 04.11.2024.
- Legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen: Etter behandling med PPI/og eller kortikosteroider.
- Sykdomsbeskrivelse: Eosinofil øsofagitt er en kronisk, immunmediert/antigenmediert spiserørssykdom karakterisert klinisk ved symptomer relatert til dysfunksjon av spiserøret og histologisk ved inflammasjon med eosinofile granulocytter i spiserørsslimhinnen.
- Dagens behandling: Standard medikamentell behandling består av behandling med PPI, lokale steroider eller en kombinasjon av begge. I tillegg eller alternativt: Diettbehandling.
- Dokumentasjon som skal ligge til grunn: H2H.
- Forventet levering av dokumentasjon: Desember 2026.
- Pasientgrunnlag: Pasienttallene varierer fra kilder til kilder. Lev. skriver at de vil komme tilbake til pasientpopulasjonen, samt verifisere med norske KOL'er.
- Leverandør foreslår en kostnad-per-QALY analyse ettersom det ikke er noen andre legemidler med lik virkningsmekanisme for behandling av EoE på markedet per i dag.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (vedlagt):

- I innspill til Nye metoder fra Norsk indremedisinsk forening beskrives dagens behandling som protonpumpehemmer (PPI) eller lokale steroider, som oftest er tilstrekkelig. Av steroider nevnes budesonid i form av astmaspray og Jorveza (budesonid smeltetablett). DMP har vurdert Jorveza (ID2019_011 og ID2021_103), og metoden er innført. Det beskrives et klinisk behov for dupilumab hos utvalgte pasienter, men behandlingen forventes ikke å erstatte annen etablert behandling. Innspillet viser også til at prevalens tidligere er anslått til 50 per 100 000 pasienter, men påpeker at dette trolig er en underestimering
- Vurdering fra DMP: Leverandør foreslår en kostnad-per-QALY-analyse i anmodningen. Leverandør plasserer behandling med dupilumab etter behandling med protonpumpehemmere og/eller kortikosteroider. DMP vurderer at data fra TREET-studien kan være egnet for en helseøkonomisk analyse.

- Anbefaling fra DMP: DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse).

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- 1 innspill Norsk Indremedisinsk Forening

Innspill fra Helsedirektoratet:

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Ingen nasjonale faglige retningslinjer vil bli påvirket.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret overført til RHF-ene 01.02.2018.

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av):

Fyll ut dato for innsending av skjema: 30.01.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Sanofi
1.2 Navn kontaktperson	Navneet Bhuller
1.3 Stilling kontaktperson	Senior Market Access Manager
1.4 Telefon	48203547
1.5 E-post	Navneet.bhuller@sanofi.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.7 Telefon og e-post	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	Et nytt virkestoff <input type="checkbox"/> En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon <input checked="" type="checkbox"/> En ny styrke eller formulering <input type="checkbox"/>
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Eosinofil øsofagitt (EoE)

<p><i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i></p> <p><i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i></p>	<ul style="list-style-type: none"> • Indisert hos voksne, ungdom og barn ≥ 1 år med kroppsvekt ≥ 15 kg som er utilstrekkelig kontrollert av, ikke tåler eller ikke er kandidat for konvensjonell medisinsk behandling.
2.3 Handelsnavn	Dupixent
2.4 Generisk navn/virkestoff	Dupilumab
2.5 ATC-kode	D11AH05
<p>2.6 Administrasjonsform og styrke</p> <p><i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i></p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Dupilumab dose ved subkutan administrering hos voksne, ungdom og barn fra 1 år med EoE</p> <p>Dupilumab er til langtidsbehandling</p> <p>Kroppsvekt: 15 kg til under 30 kg: Dose 200 mg annenhver uke</p> <p>Kroppsvekt: 30 kg til under 40 kg: Dose 300 mg annenhver uke</p> <p>Kroppsvekt: 40 kg eller mer 300 mg Dose hver uke</p>
<p>2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme.</p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Farmakoterapeutisk gruppe: Andre dermatologiske midler, midler mot dermatitt, ekskl. kortikosteroider, ATC-kode: D11AH05</p> <p>Virkningsmekanisme Dupilumab er et rekombinant, humant, monoklonalt IgG4-antistoff som hemmer interleukin-4- og interleukin-13-signaler. Dupilumab hemmer IL-4-signaler via type I-reseptorer (IL-4Rα/γc) og både IL-4- og IL-13-signaler via type II-reseptorer (IL-4Rα/IL-13Rα). IL-4 og IL-13 er viktige drivere av type 2 inflammasjonssykdom hos mennesker, som atopisk dermatitt, astma, CRSwNP, PN, EoE og kols. Blokkering av IL-4/IL-13-signalveien med dupilumab hos pasienter reduserer mange av mediatoene for type 2-inflammasjon.</p>

3 Historikk – virkestoff og indikasjon	
<p>3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: ID2023_059, ID2022_114, ID2021_121, ID2020_036, ID2019_068, ID2019_015, ID2018_101, ID2017_055, ID2018_113, ID2019_082</p>
<p>3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi referanse</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Referanse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring	
<p>4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner?</p> <p><i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Dato for MT for første indikasjon: 26.09.2017</p>
<p>4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
<p>4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon?</p> <p><i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i></p> <p><i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i></p> <p><i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i></p>	<p>MT i Norge: Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Prosedyrenummer i EMA: Dupixent EMEA/H/C/004390/II/0081 variation Type II-81 "Labeling Change/Extension add new indication - Eosinophilic Esophagitis (EoE) Pediatric 1-12 years</p> <p>Hvis metoden ikke har MT:</p> <p>Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p> <p>Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

	<p>Hvis metoden har MT:</p> <p>Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen:</p> <p>04.11.2024</p>
<p>4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Beskrivelse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for «orphan drug designation»: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>

5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

<p>5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
---	--

6 Sammenlignbarhet og anbud

<p>6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Kommentar: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Legemiddel og ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Kommentar: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

--	--

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)

<p>7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB?</p> <p><i>Hvis nei, begrunn kort</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Begrunnelse: Ikke aktuell på grunn av ulike prosesser/finansieringsløp og interne tidslinjer i de respektive landene.</p>
--	--

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)

<p>8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for søknad til EMA:</p> <p>Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>
---	--

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse

<p>9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren?</p> <p><i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i></p> <p><i>Begrunn forslaget</i></p>	<p>Kostnad-per-QALY analyse ettersom det ikke er noen andre legemidler med lik virkningsmekanisme for behandling av EoE på markedet per i dag.</p>
<p>9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.</p>	<p>Pasienttallene varierer fra kilder til kilder. Vi må komme tilbake til pasientpopulasjonen, samt verifisere med norske KOL'er.</p>
<p>9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.)</p> <p><i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i></p>	<p>H2H</p>

9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Vi må komme tilbake til dette, ettersom pasienttallene varierer fra kilde til kilde og må verifiseres med norske KOL
9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF. <i>Tidspunkt må oppgis</i>	Desember 2026

10 Sykdommen og eksisterende behandling

<p>10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon</p> <p><i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i></p>	<p>Eosinofil øsofagitt er en kronisk, immunmediert/antigenmediert spiserørssykdom karakterisert klinisk ved symptomer relatert til dysfunksjon av spiserøret og histologisk ved inflammasjon med eosinofile granulocytter i spiserørsslimhinnen (4). Både de kliniske og de patologiske kriteriene må være oppfylt før diagnosen kan stilles.</p> <p>Symptomer</p> <p>Symptomene på eosinofil øsofagitt er aldersavhengige. Hos voksne rapporterer over 90 % om dysfagi for fast føde, enten intermitterende eller kronisk persisterende, og opptil 60 % møter helsevesenet første gang med fastsittende mat i spiserøret (26). Om lag en femdel av de voksne har samtidig halsbrann (27). Hos barn er den kliniske presentasjonen annerledes. De minste barna har oftest symptomer som kan minne om gastroøsofageal refluks – spisevegring og dårlig vekst i småbarnsalderen og etter hvert gulpning, oppkast og magesmerter. Hos de eldste barna likner symptomene dem man ser hos voksne (10).</p> <p>Referanse: Eosinofil øsofagitt Tidsskrift for Den norske legeforening</p>
10.2 Fagområde	Velg fagområde fra menyen:

<p>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</p>	<p>Mage- og tarmsykdommer</p>
<p>10.3 Kreftområde</p> <p>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</p>	<p>Velg kreftområde fra menyen:</p> <p>Velg et element.</p>
<p>10.4 Dagens behandling</p> <p>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</p>	<p>Standard medikamentell behandling består av behandling med PPI, lokale steroider eller en kombinasjon av begge. I tillegg eller alternativt: Diettbehandling : Eosinofil øsofagitt - Gastroenterologen.</p> <p><i>ESPGHAN 2024 Guidelines for Management and Monitoring of EoE in children: Amil-Dias J, et al. J Pediatr Gastroenterol Nutr. 2024;79(2):394-437.</i></p>
<p>10.5 Prognose</p> <p>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</p>	<p>PPI behandling (20-40 mg/dag: Forbedring av symptomer hos 60-80% av pasientene (<18 år). Hirano I. <i>Gastroenterology</i>. 2018;155:601–606. Gutiérrez-Junquera C, et al. <i>Front Pediatr</i>. 2018;6.</p> <p>PPI behandling resulterte i histologisk remisjon hos ca 50% av pasientene (<18 år). Steinbach EC, et al. <i>J Allergy Clin Immunol Pract</i>. 2018;6:1483–1495 Gutiérrez-Junquera C, et al. <i>Front Pediatr</i>. 2018;6.</p> <p>I diettbehandling av EoE, brukes forskjellige typer eliminasjonsdietter: 2- food-elimination-diet: 43% histologisk remisjon, 4-food: 64% remisjon og 6-food: 72% remisjon. Visaggi P, et al. <i>Ther Adv Gastroenterol</i>. 2020;14:1–17.</p> <p>Topikale kortikosteroider: Budesonide: Kliniske studier har vist klinisk forbedring og histologisk remisjon (alder 11-17 år): ca 50% av pasientene. Gupta SK, et al. <i>Clin Gastroenterol Hepatol</i>. 2015;13:66–76.e Gupta S, et al. <i>JACI</i>. 2021;147:AB913.</p> <p>Det samme effekten har blitt vist med Fluticasone (histologisk respons i ca 50% (<18 år). .Miehlke S, et al. <i>Ther Adv Gastroenterol</i>. 2020; 13:1–15.</p>

10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Etter behandling med PPI/og eller kortikosteroider
<p>10.7 Pasientgrunnlag</p> <p><i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i></p> <p><i>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</i></p> <p><i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i></p>	Må komme tilbake til dette etter bekreftelse på tall fra KOL.

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
<p>11.1 Studie-ID</p> <p><i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i></p>	<p>NCT04394351</p> <p>Dupilumab for Eosinophilic Esophagitis in Patients 1 to 11 Years of Age (EoE KIDS)</p> <p>Study Details NCT04394351 Study to Investigate the Efficacy and Safety of Dupilumab in Pediatric Patients With Active Eosinophilic Esophagitis (EoE) ClinicalTrials.gov</p>		<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.2 Studietype og -design</p>	<ul style="list-style-type: none"> EoE KIDS fase 3-studien var en randomisert, dobbeltblind, 		<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

	<p>placebokontrolle rt studie som evaluerte effekt og sikkerhet av Dupixent hos barn i alderen én til elleve år med eosinofil øsofagitt (EoE). Studien består av 3 deler: Del A var en 16- ukers, randomisert, dobbelblind, placebokontrolle rt fase.</p> <ul style="list-style-type: none"> • Del B var en 36- ukers utvidet aktiv behandlingsfase der pasientene visste at de mottok aktiv behandling, men ikke kjente til behandlingsregi met. • Del C er en pågående 108- ukers åpen forlengelsesfase. 		
11.3 Formål	Formålet med EoE KIDS- studien var å evaluere effekt og sikkerhet av dupilumab hos barn i alderen 1–11 år med aktiv eosinofil øsofagitt (EoE) som ikke hadde respondert på behandling med protonpumpehemmere (PPI).		Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<p>11.4 Populasjon</p> <p><i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i></p>	<p>De viktigste inklusjonskriteriene i EoE KIDS-studien var pediatriske pasienter i alderen 1–11 år med EoE som ikke hadde respondert på ≥ 8 ukers behandling med protonpumpehemmere (PPI), en baseline topp intraepitelial eosinofiltelling (PEC) på ≥ 15 eosinofile celler per synsfelt (hpf) i ≥ 2 områder av spiserøret, samt en historikk med EoE-symptomer i måneden før screening.</p> <p>De viktigste eksklusjonskriteriene i EoE KIDS-studien var kroppsvekt < 5 kg eller ≥ 60 kg, historikk med eosinofile gastrointestinale sykdommer (EGID) annet enn EoE (inkludert eosinofil gastritt (EoG), hypereosinofilt syndrom (HES) og eosinofil granulomatose med polyangiitt (EGPA)), ikke-EoE-relaterte årsaker til eosinofili i spiserøret, samt behandling med systemiske kortikosteroider (STC) < 8 uker før baseline.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.5 Intervensjon (n)</p>	<p>Dupilumab-doseringen ble tilpasset barnets kroppsvekt og eksponeringsnivå:</p>		<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<p>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</p>	<ul style="list-style-type: none">• Høyere eksponering:<ul style="list-style-type: none">• Doser gitt hver uke (qw) eller annenhver uke (q2w), med økende dose ved høyere vekt.• Eksempel: 100 mg q2w for barn 5–15 kg, opp til 300 mg qw for barn \geq60 kg.• Lavere eksponering:<ul style="list-style-type: none">• Doser gitt hver fjerde uke (q4w) eller annenhver uke (q2w), med lavere total eksponering.• Eksempel: 200 mg q4w for barn 5–15 kg, opp til 300 mg q2w for barn \geq60 kg.		
--	---	--	--

	<ul style="list-style-type: none"> • Åpen forlengelsesfas e (Del C): <ul style="list-style-type: none"> • Justert dosering, f.eks. 200 mg hver tredje uke (q3w) for de minste barna, og opptil 300 mg qw for de største. 		
<p>11.6 Komparator (n)</p> <p><i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i></p>	<p>Randomiseringen ble stratifisert etter kroppsvekt ved baseline (5 til <15 kg, 15 til <30 kg og 30 til <60 kg), uten stratifisering basert på alvorlighetsgrad av symptomer.</p> <p>I Del A ble pasientene tilfeldig fordelt i forholdet 2:2:1:1 til enten høyere-eksponering eller lavere-eksponering subkutan dupilumab, eller til matchende placebo (to grupper) for en periode på 16 uker. Placebogruppene mottok identiske placeboformuleringer.</p> <p>I Del A ble doseringen basert på kroppsvekt ved oppstart (pasienter</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

	<p>med vekt ≥ 5 til < 60 kg ble inkludert). Etter hvert som barna vokste i løpet av studien, forble de i samme eksponeringsgruppe, men dosen ble justert i henhold til kroppsvekten:</p> <p>I Del B, fra uke 16 til 32, ble doseringen basert på kroppsvekt ved uke 16. Fra uke 32 til 52, ble doseringen basert på kroppsvekt ved uke 32.</p> <p>Høyere-eksponering dupilumab-regimet i Del C var forskjellig fra regimene brukt i Del A og B.</p>		
<p>11.7 Endepunkter</p> <p><i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i></p>	<p>Det primære endepunktet i EoE KIDS-studien var histologisk remisjon, definert som $PEC \leq 6/hpf$ ved uke 16 i Del A.</p> <p>De viktigste sekundære endepunktene i EoE KIDS-studien, vurdert ved uke 16 i Del A, inkluderte følgende:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Andel pasienter med $PEC \leq 15 eos/hpf$ • Endring fra baseline i PEC • Absolutt endring fra baseline i EoE- 		<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

	<p>HSS grad- og stadie-score</p> <ul style="list-style-type: none"> • Relativ endring fra baseline i NES (normalized enrichment score) for type 2-inflammasjon og EoE-diagnostisk genekspressjonssignatur • Absolutt endring fra baseline i total EREFS-score (Endoscopic Reference Score) <p>Endring fra baseline i andel dager med ≥ 1 tegn på EoE, vurdert ved hjelp av PESQ-C (Pediatric EoE Symptom Questionnaire – Caregiver version)</p>		
<p>11.8 Relevante subgruppeanalyser</p> <p><i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i></p>	<p>Flere subanalyser av EoE KIDS-data basert på baseline-karakteristika har blitt presentert på nylige kongresser i 2024 og 2025.:</p> <ul style="list-style-type: none"> o Chehade M, et al. Dupilumab in children with EoE and prior use of STC: results from the EoE KIDS study. ESPGHAN. 2024. o Spergel JM, et al. Dupilumab improves histologic, symptomatic, 		<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

	<p>and endoscopic outcomes in children with EoE in the EoE KIDS study, regardless of history of elimination diet or concomitant food allergy. EAACI. 2024. D3.448 o Spergel JM, et al. Dupilumab is efficacious in children (aged 1 to <12 years) with EoE regardless of prior history of comorbidities. EAACI. 2024. Cianferoni A, et al. Dupilumab is Efficacious in Children Aged 1–11 Years Weighing ≥15 kg With Eosinophilic Esophagitis Irrespective of Individual Atopic Comorbidities: 16-Week Results From the Phase 3 EoE KIDS Study. EAACI 2025</p>		
<p>11.9 Oppfølgingstid</p> <p><i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i></p>	<p>Del C er en pågående 108-ukers åpen forlengelsesfase.</p>		<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<p>11.10 Tidsperspektiv resultater</p> <p><i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i></p>	<p>Part A og B er avsluttet og resultater publisert.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.11 Publikasjoner</p> <p><i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publisering</i></p>	<p>Dupilumab for Eosinophilic Esophagitis in Patients 1 to 11 Years of Age New England Journal of Medicine</p>		<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

12 Igangsatte og planlagte studier

<p>12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p><i>A Randomized Study Evaluating 2 Dose Regimens of Dupilumab in Children ≥6 Months of Age Weighing ≥5 to <15 kg With Active Eosinophilic Esophagitis (studie ID: R668-EE-2423). Ikke startet rekrutering</i></p>
<p>12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Studie ID: NCT07012928, NCT06705387, NCT06693531, NCT06665971, NCT06101095, NCT06352073</p>

13 Diagnostikk

<p>13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
--	--

<p>13.2 Er testen etablert i klinisk praksis?</p> <p><i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</p> <p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
<p>13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk</p>	<p>NA</p>

<h3>14 Andre relevante opplysninger</h3>	
<p>14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i></p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fagekspert i Nye metoder)</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene?</p> <p><i>Hvis ja, begrunn kort.</i></p> <p><i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i></p> <p><i>Nærmere informasjon og skjema:</i> Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>14.3 Andre relevante opplysninger?</p>	<p>NA</p>

--	--

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

	<p>prevalens tidligere er anslått til 50 per 100 000 pasienter, men påpeker at dette trolig er en underestimering.</p> <p>Studieprogrammet for dupilumab ved EoE for voksne og ungdom over 12 år inkluderte en tredelt protokoll opp til 52 uker (TREET-studien) bestående av:</p> <ul style="list-style-type: none"> - to separat randomiserte, dobbeltblindede, multisenter, placebokontrollerte, 24-ukers behandlingsstudier med parallelle grupper: TREET del A (n=81) og TREET del B (n=240) - en 28-ukers forlengelsesstudie med aktiv behandling: TREET C. <p>Studiepasientene hadde i ulik grad forsøkt tidligere behandlinger, og korrigerende behandling med systemiske og/eller topikale kortikosteroider oralt eller akutt dilatasjon av øsofagus under studien var tillatt etter utprøvers skjønn. De to ko-primære endepunktene var; andelen pasienter som oppnådde histologisk remisjon (maksimalt intraepitelialt eosinofiltall i øsofagus ≤ 6 eos/hpf), og LS gjennomsnittlig absolutt endring fra baseline i DSQ-score (0-84)¹.</p> <p>For den pediatrike populasjonen (1-11 år) ble dupilumab evaluert i en todelt studie i opptil 52 uker (EoE KIDS del A & del B). Alle pasienter som ble inkludert måtte ha mislyktes med konvensjonell medisinsk behandling (protonpumpehemmere). Del A var placebokontrollert med en varighet på 16 uker. Primærendepunktet var andelen pasienter som oppnådde histologisk remisjon (maksimalt intraepitelialt eosinofiltall i øsofagus ≤ 6 eos/hpf).</p>
Preliminær PICO²	<p>P: I tråd med endelig godkjent indikasjon</p> <p>I: Dupilumab brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtale.</p> <p>C: Dagens standardbehandling.</p> <p>O: Sykdomsaktivitet og symptomer på EoE, komplikasjoner (øsofagusstriktur), bivirkninger, helserelatert livskvalitet, ressursbruk</p>
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	<p>Leverandør foreslår en kostnad-per-QALY-analyse i anmodningen. Leverandør plasserer behandling med dupilumab etter behandling med protonpumpehemmere og/eller kortikosteroider.</p> <p>DMP vurderer at data fra TREET-studien kan være egnet for en helseøkonomisk analyse.</p>
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	<p>DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse).</p>

Kilder:

1. SPC
2. OUS, [Allergisk spiserørsbetennelse \(eosinofil øsofagitt\) - Oslo universitetssykehus HF](#)

¹ Total DSQ-score varierer fra 0 til 84; høyere score indikerer høyere frekvens og alvorlighetsgrad av dysfagi

² Pasientpopulasjon, intervensjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering

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.

Innspill til Nye metoder fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_ xxx)

ID2026_010

Spørsmål	Faglige innspill
<p>1. Dagens behandling – alternativ</p> <p>- Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag?</p> <p>- Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering?</p> <p>Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.</p>	<p>Disse pasientene behandles oftest ganske greit med enten protonpumpehemmer (PPI) eller lokale steroider. PPI betraktes som førstelinjebehandling. I en viss andel av pasientene hjelper ikke dette, kanskje 1/3? I de tilfellene bruker vi da enten budesonid (astmaspray) eller heller nå Jorveza som er samme stoffet men i en formulering som gjør at det holder seg i spiserøret. En bivirkning av Jorveza kan være at de får soppproblemer.</p>
<p>2. Plass i norsk klinisk praksis</p> <p>- Er det klinisk behov for metoden?</p> <p>- Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?</p> <p>Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.</p>	<p>Ja det er klinisk behov for metoden i utvalgte tilfeller. Sykdommen kan være meget plagsom for dem det gjelder. Effekten en dupilumab er godt dokumentert og er aktuell ved en rekke allergiske lidelser.</p> <p>Vi tviler på at denne behandlingen vil erstatte annen, etablert behandling.</p>
<p>3. Pasientpopulasjonen i Norge</p> <p>- Har du kommentarer til pasientpopulasjonen</p>	<p>For voksne anslo Holme et al i 2011 prevalens 50 per 100 000 pasienter. Det er ganske sikkert minimumstall, lidelsen er vanligere enn antatt. En meta-analyse fra 2023 PMID 37331411 konkluderte</p>

som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	med økende prevalens i perioden 1976-2022. En del av dette skyldes sikkert økende kunnskap om sykdommen de siste 25 år.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Nei
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Ikke relevant

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv 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).

Ingen relevante

7. Avsender av faglig innspill

Fagmedisinsk forening	Norsk Indremedisinsk Forening
Navn, stilling og arbeidsplass	Knut E. A. Lundin Overlege, Seksjon for gastromedisin, Oslo Universitetssykehus Rikshospitalet Professor, Institutt for klinisk medisin, Det medisinske fakultet, Universitetet i Oslo
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemeter.no (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	<input checked="" type="checkbox"/>

Saksnummer 063-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2026_019 Human albumin (Albumin Grifols) til gjenoppretting og opprettholdelse av sirkulerende blodvolum hos pasienter når hypovolemi er påvist og bruk av et kolloid er hensiktsmessig..

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er Grifols Nordic AB
- Anmodningen gjelder et albumin-produkt: Human albumin som leverandøren Albumin Grifols tilbyr i ulike konsentrasjoner og størrelser på hetteglass.
- Leverandøren skriver at de ikke kjenner til at andre albuminpreparater er blitt metodevurdert, men at deres preparat er sammenlignbart med andre albuminpreparater (ATC B05AA01).
- Følgende albuminer (ATC B05AA01) er på markedet i Norge: Alburex og Alburnorm.
- MT for første indikasjon: 15.09.2021.
- Legemidlet markedsføres ikke i Norge på nåværende tidspunkt.
- Type helseøkonomisk analyse: Leverandøren foreslår at et prisnotat med en prissammenligning er tilstrekkelig.
- Forventet levering av dokumentasjon: Målet er å kunne delta i kommende anbud Ref. 2722 Plasma-deriverte legemidler, 9. april 2026.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Dette er et albumin-produkt som kan være aktuelt for anskaffelsen for plasmaderiverte produkter.

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](#)

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av):

Fyll ut dato for innsending av skjema: 20.03.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Instituto Grifols, S.A. (representative in Norway: Grifols Nordic AB)
1.2 Navn kontaktperson	Anki Book
1.3 Stilling kontaktperson	General Manager
1.4 Telefon	+46705570617
1.5 E-post	anki.book@grifols.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.7 Telefon og e-post	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	Et nytt virkestoff <input type="checkbox"/> En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon <input type="checkbox"/> En ny styrke eller formulering <input type="checkbox"/>
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Gjenoppretting og opprettholdelse av sirkulerende blodvolum når hypovolemi er påvist og bruk av et kolloid er hensiktsmessig.

<p><i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i></p> <p><i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i></p>	
<p>2.3 Handelsnavn</p>	<p>Albumin Grifols</p>
<p>2.4 Generisk navn/virkestoff</p>	<p>Human albumin</p>
<p>2.5 ATC-kode</p>	<p>B05AA01</p>
<p>2.6 Administrasjonsform og styrke</p> <p><i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i></p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Human Albumin Grifols 50g/l, solution for infusion.</p> <ul style="list-style-type: none"> • A vial of 100 ml contains 5 g of human albumin • A vial of 250 ml contains 12.5 g of human albumin • A vial of 500 ml contains 25 g of human albumin <p>Human Albumin Grifols 200g/l solution for infusion.</p> <ul style="list-style-type: none"> • A vial of 10 ml contains 2 g of human albumin • A vial of 50 ml contains 10 g of human albumin. • A vial of 100 ml contains 20 g of human albumin. <p>Human Albumin Grifols 50g/l and 200 g/l has a hyperoncotic effect.</p> <p>The concentration of the albumin preparation, dosage and the infusion-rate should be adjusted to the patient's individual requirements.</p> <p>The dose required depends on the size of the patient, the severity of trauma or illness and on continuing fluid and protein losses. Measures of adequacy of circulating volume and not plasma albumin levels should be used to determine the dose required.</p>
<p>2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme.</p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Pharmacotherapeutic group: plasma substitutes and plasma protein fractions, ATC code: B05AA01.</p> <p>Human albumin accounts quantitatively for more than half of the total protein in the plasma and represents about 10% of the protein synthesis activity of the liver.</p>

	<p>Physico-chemical data: Human albumin 50g/l and 200g/l has a corresponding hyperoncotic effect.</p> <p>The most important physiological function of albumin results from its contribution to oncotic pressure of the blood and transport function. Albumin stabilises circulating blood volume and is a carrier of hormones, enzymes, medicinal products and toxin</p>
--	--

3 Historikk – virkestoff og indikasjon	
<p>3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: There are no individual assessments of albumins (ATC B05AA01), but Albumin Grifols is comparable to other albumins</p>
<p>3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: See 3.1 above</p>
<p>3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi referanse</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Referanse: See section 14.3 for information on Albumin Grifols introduction in other markets.</p>

4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring	
<p>4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner?</p> <p><i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Dato for MT for første indikasjon: 15.09.2021</p>
<p>4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon?</p> <p><i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i></p>	<p>MT i Norge: Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Prosedyrenummer i EMA: National authorisation in Norway MT 21-13857</p>

<p><i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i></p> <p><i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i></p>	<p>Hvis metoden ikke har MT:</p> <p>Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p> <p>Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p> <p>Hvis metoden har MT:</p> <p>Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: 15.09.2021</p>
<p>4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Beskrivelse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for «orphan drug designation»: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>

5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

<p>5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
---	--

6 Sammenlignbarhet og anbud

<p>6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Kommentar: Albumin Grifols has MT in Norway (MT 21-13857) and are comparable to other albumins (ATC B05AA01). The following albumins (ATC B05AA01) are marketed in Norway: Alburex and Albunorm</p>
--	---

<p>6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Legemiddel og ID-nummer: There are no individual assessments of albumins (ATC B05AA01), but Albumin Grifols is comparable to the albumins mentioned above</p>
<p>6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Kommentar: Upcoming tender albumin, ATC B05AA01, Ref 2722 Plasma-deriverte Legemidler.</p>

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)

<p>7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB?</p> <p><i>Hvis nei, begrunn kort</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Begrunnelse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
--	--

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)

<p>8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for søknad til EMA: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>
---	--

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse

<p>9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren?</p> <p><i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i></p> <p><i>Begrunn forslaget</i></p>	<p>Albumin Grifols is comparable to other albumins (ATC B05AA01). Albumins are currently covered within national tenders, therefore a price note and a price comparison are suggested.</p>
---	--

<p>9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.</p>	<p>The target population consist of patients eligible for treatment with albumin in Norway. The population includes patients with acute or critical conditions associated with hypovolemia. No change in the patient population and number of patients receiving treatment with albumin is expected.</p>
<p>9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.)</p> <p><i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i></p>	<p>Albumin Grifols was first authorised in Europe, in Spain, in 1968. Due to the worldwide experience in the therapeutic use of human albumin, a bibliographic review has been considered sufficient to demonstrate the safety and efficacy of human albumin when administered for the indication; restoration and maintenance of circulating blood volume where volume deficiency has been demonstrated and use of a colloid is appropriate.</p>
<p>9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.</p>	<p>Neutral or positive budget impact</p>
<p>9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF.</p> <p><i>Tidspunkt må oppgis</i></p>	<p>Depending on the scope of the assessment decide by the ordering forum. The target is to be able to participate in the upcoming tender Ref 2722 Plasma-deriverte Legemidler, 9 April 2026</p>

10 Sykdommen og eksisterende behandling

<p>10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon</p> <p><i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i></p>	<p>Reduced circulating blood volume (hypovolemia) may occur in a range of clinical situations such as trauma, surgery, sepsis or other causes of fluid loss. If untreated, hypovolemia may lead to impaired tissue perfusion and organ dysfunction.</p> <p>Human albumin is the main contributor to plasma oncotic pressure and plays a key role in maintaining intravascular volume. Albumin solutions are therefore used as plasma volume expanders when restoration or maintenance of circulating blood volume is required. (EMA Guideline on core SmPC for human albumin solutions).</p>
<p>10.2 Fagområde</p> <p><i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i></p>	<p>Velg fagområde fra menyen:</p> <p>Blodsykdommer</p>

<p>10.3 Kreftområde</p> <p><i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i></p>	<p>Velg kreftområde fra menyen:</p> <p>Velg et element.</p>
<p>10.4 Dagens behandling</p> <p><i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i></p>	<p>Albumin is an established treatment for several conditions. Several comparable albumin products (ATC B05AA01) are currently marketed in Norway, these include Alburex and Albunorm. Alburex is currently the first and Albunorm the second choice in national tenders.</p>
<p>10.5 Prognose</p> <p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p>	<p>The prognosis depends on the underlying condition causing hypovolemia. Without adequate fluid resuscitation, hypovolemia may result in organ failure and increased mortality.</p> <p>Albumin does not treat the underlying disease but contributes to stabilisation of the patient by restoring circulating blood volume when clinically indicated. (EMA core SmPC for human albumin solutions).</p>
<p>10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen</p>	<p>Albumin Grifols has the exact same place in the treatment algorithm, as the current albumins.</p>
<p>10.7 Pasientgrunnlag</p> <p><i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i></p> <p><i>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</i></p> <p><i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i></p>	<p>The introduction of an additional albumin is not expected to change the number of patients receiving treatment, as albumin (ATC B05AA01) is already an established treatment in Norway.</p> <p>The inclusion in the upcoming tender for plasma derived products means that Albumin Grifols potentially can replace other established albumins.</p>

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.2 Studietype og -design	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.9 Oppfølgingstid <i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
--	---	---	---

12 Igangsatte og planlagte studier	
12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden? <i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

13 Diagnostikk	
13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør? <i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/>
13.2 Er testen etablert i klinisk praksis? <i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag? Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/>
13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

14 Andre relevante opplysninger	
<p>14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i></p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene?</p> <p><i>Hvis ja, begrunn kort.</i></p> <p><i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i></p> <p><i>Nærmere informasjon og skjema:</i> Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>14.3 Andre relevante opplysninger?</p>	<p>Albumin Grifols with the name Albutein, is available in Sweden, Finland and Iceland.</p>

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Saksnummer 064-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning om revurdering: ID2021_076 Velmanase alfa (Lamzede) til behandling av ikke-nevrologiske manifestasjoner hos pasienter med mild til moderat alfa-mannosidose.

Tidligere saksbehandling:

- Metoden er tidligere metodevurdert to ganger og behandlet i Beslutningsforum, men ikke innført. Sist gang 21.01.2023.
- Lenke til metodesiden med historikk: [Velmanase alfa \(Lamzede\) - Nye metoder](#)

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om revurdering av legemidlet er leverandøren som har markedsføringstillatelse (MT): Chiesi Pharma AB.
- Leverandør foreslår å begrense en metodevurdering til initiering av behandling til pasienter under 18 år (subgruppe), ettersom de mener at den største verdien av behandlingen er i denne pasientgruppen. Andre land, som Sverige og England, har valgt å se på subgrupper.
- Klinisk praksis er ikke endret siden forrige metodevurdering. Finnes fortsatt ikke en aktiv behandling for denne pasientgruppen.
- Om nye data skriver leverandøren følgende: *”Det har uteklats en ny helseøkonomisk modell baserat på nya/uppdaterade data. Det har också genomförts en ny studie av nyttovikter för olika hälsotillstånd vid sjukdomen som är viktiga både vid analys av kostnadseffektivitet och för beräkning av total hälso/QALY-förlust av sjukdomen»*
- Leverandøren foreslår en kostnadseffekt/nytte-vurdering.
- Leverandør estimerer at de kan levere dokumentasjon i mars/april 2026.
- Leverandør skriver at analysen inkluderer en oppdatert litteraturgjennomgang av tilgjengelige data om komparator og gjeldende behandlingspraksis.

Egnehetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (vedlagt):

- Vurdering fra DMP: Oppfølgingsstudien som Chiesi henviser til (Guffon et al, 2025), er en enarmet, åpen studie (N=21), hvor 14 pasienter var <18 år og 7 pasienter ≥18 år første gang de mottok VA. 13 pasienter har blitt fulgt i omkring 9-12 år. I publikasjonen er det påpekt at siden det mangler kontrollgrupper er det vanskelig å fastslå i hvilken grad eventuelle endringer skyldes behandlingen eller andre faktorer, som klinisk heterogenitet og aldersrelaterte endringer. Dette gjelder særlig endringer i motorisk funksjon. Ved naturlig forløp er det rapportert stor heterogenitet i kliniske fenotyper når det gjelder motorisk funksjon hos både barn og voksne med alfa-mannosidose, uten at det er observert klare trender i noen av pasientgruppene. DMP vurderer at den dokumentasjonen Chiesi forespeiler å levere, trolig ikke vil løse de tidlige beskrevne utfordringene knyttet til kvantifisering av relativ effekt. DMP vurderer at dette gjelder både voksne og pediatriske pasienter. DMP vurderer også at det ikke foreligger ny informasjon som kan belyse hvorvidt kriteriene for ordningen for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand er oppfylt, og henviser til at vurderingene fra ID2021_076 fortsatt gjelder.
- Anbefaling fra DMP: DMP har opplyst saken i egnehetsvurderingen, og mener at det ikke er vesentlig endret grunnlag for å belyse nytten av behandlingen sammenlignet med dagens behandlingalternativer. DMP vurderer at opplysningene som leverandøren viser til, sannsynligvis ikke er tilstrekkelige til å endre gjeldende beslutning, gitt prisnivået leverandøren har valgt for velmanase alfa.

Anmodning om revurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker en revurdering av en legemiddelindikasjon som tidligere er metodevurdert og har en beslutning i Nye metoder, skal anmode om revurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfylt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

En anmodning om revurdering skal gjelde samme indikasjon som den opprinnelige metodevurderingen. Hvis anmodningen gjelder en annen indikasjon, eller en undergruppe, så skal «Anmodningsskjema for vurdering av legemiddel» benyttes.

Dersom det ikke foreligger nye kliniske data, kun ny pris eller forslag om en alternativ prisavtale, er det ikke nødvendig å anmode om revurdering. Ta da direkte kontakt med Sykehusinnkjøp¹.

Nye metoder vurderer på bakgrunn av anmodningen om det er grunnlag for å gi et oppdrag om en ny metodevurdering. Anmodningen må begrunnes.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen For leverandører (nyemetoder.no).

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av):

Dato for innsending av skjema: 21.01.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Chiesi Pharma AB
1.2 Navn kontaktperson	Jonas Lundkvist
1.3 Stilling kontaktperson	Value & Access lead
1.4 Telefon	+46 767637992
1.5 E-post	j.lundkvist@chiesi.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.7 Telefon og e-post	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

¹ E-post til Sykehusinnkjøp HF: nyelegemidler@sykehusinnkjop.no

2 Informasjon om metoden	
2.1 ID-nummer i Nye metoder	ID2017_119, ID2021_076
2.2 Virkestoff	Velmanase alfa
2.3 Handelsnavn	Lamzede
2.4 Indikasjon <i>En anmodning om revurdering skal gjelde samme indikasjon som den opprinnelige metodevurderingen. Hvis anmodningen gjelder en annen populasjon eller en undergruppe, så skal «Anmodningsskjema for vurdering av legemiddel» benyttes (se nyemetoder.no).</i>	Behandling av ikke-nevrologiske manifestasjoner hos pasienter med mild til moderat alfa-mannosidose. Chiesi foreslår att begrensa utvärdering till inititering av behandling till patienter < 18 år, eftersom det största värdet av behandlingen är i den patientgruppen. Andra länder som Sverige och England har valt att subventionera den begränsade användningen av Lamzede.
2.5 Gjeldende beslutning fra Beslutningsforum for nye metoder <i>Oppgi dato for beslutning</i>	Velmanase alfa (Lamzede) innføres ikke til behandling av ikke-nevrologiske manifestasjoner hos pasienter med mild til moderat alfa-mannosidose. 23/01/2023

3 Informasjon om eksisterende metodevurdering og grunnleggende forutsetninger for revurdering	
3.1 Klinisk praksis <i>Er beskrivelsen av norsk klinisk praksis i den opprinnelige metodevurderingen fortsatt gjeldende, herunder komparator, forutgående behandling osv.?</i> <i>Kommenter kort.</i>	Klinisk praksis är samma som i tidigare utvärderingar, finns fortfarande ingen aktiv behandling för denna patientgrupp
3.2 Nye data for bruken av legemiddelet til aktuell indikasjon <i>Beskriv kort hvorfor det er grunnlag for en ny metodevurdering av legemiddelet. Beskriv tilgjengelige nye data for legemiddelet.</i>	Det har utecklats en ny hälsoekonomisk modell baserat på nya/uppdaterade data. Det har också genomförts en ny studie av nyttovikter för olika hälsotillstånd vid sjukdomen som är viktiga både vid analys av kostnadseffektivitet och för beräkning av total hälso/QALY-förlust av sjukdomen

<p>3.3 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren?</p> <p><i>Type metodevurdering</i></p> <p><i>Begrunn kort</i></p>	<p>Kostnadeffekt/nyttø-analys</p>
<p>3.4 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter</p> <p><i>Tidspunkt må oppgis</i></p>	<p>Mars/april 2026</p>
<p>3.5 Nye data for komparator</p> <p><i>Beskriv eventuelle nye data for komparator</i></p>	<p>Analysen inneholder oppdaterad litteraturgenomgang av tilgjengelige data kring komparator och nuvarande behandlingspraxis</p>
<p>3.6 Øvrige forhold</p> <p><i>Beskriv eventuelle andre forhold som er endret siden forrige metodevurdering</i></p>	<p>Chiesi föreslår att begränsa utvärdering till initiering av behandling till patienter < 18 år, eftersom det största värdet av behandlingen är i den patientgruppen. Detta har gjorts i utvärderingar av TLV och NICE.</p>

<h4>4 Relevansen av nye data</h4>	
<p>4.1 Beskriv hvordan de nye dataene kan bidra til at prioriteringskriteriene kan bli oppfylt.</p> <p><i>Redegjør for de nye dataene sammenlignet med de opprinnelige resultatene som lå til grunn for gjeldende beslutning i Beslutningsforum.</i></p>	<p>Den nya hälsoekonomiska modellen är mer detaljerad, tillförlitlig och baserat på uppdaterade data vilket gör att den ger en mindre osäker uppskattning av kostnadseffektiviteten. Modellen innehåller bland annat nya data från en expert elicitation panel.</p> <p>En ny studie på nyttovikter ger viktig information för både analys av kostnadseffektivitet och för beräkning av total hälso/QALY-förlust av sjukdomen.</p> <p>Det har även publicerats nya data på hur sjukdomen påverkar annehöriga (Hennermann JB et al. Quality of life and burden of caregivers of patients with alpha-mannosidosis: Results from an international survey. Abstract for SSIEM</p>

	<p>2024 samt Sgro A et al. Real world reflections of the patient odyssey in alpha-mannosidosis: Insights and Challenges in diagnosis from caregiver interviews. Abstract WORLD congress 2025</p> <p>Utöver detta har långstidsdata från kliniska studier av Lamzede publicerats (Guffon N, Borgwardt L, Tytki-Szymańska A, Ballabeni A, Donà F, Joseph A, Nienhuis H, Maugeri C, Lund A. Extended long-term efficacy and safety of velmanase alfa treatment up to 12 years in patients with alphasidosis. J Inher Metab Dis. 2025 Jan;48(1))</p> <p>Samantaget gör dessa nya data att det finns större möjlighet att Lamzedebehandling borde kunna klassificeras som ”særskilt liten pasientgruppe med svært alvorlig tilstand”, vilken har stor betydelse för chansen till en positiv utvärdering.</p>
--	---

	<p>både barn og voksne med alfa-mannosidose, uten at det er observert klare trender i noen av pasientgruppene.</p> <p>DMP vurderer at den dokumentasjonen Chiesi forespeiler å levere, trolig ikke vil løse de tidligere beskrevne utfordringene knyttet til kvantifisering av relativ effekt. DMP vurderer at dette gjelder både voksne og pediatriske pasienter.</p> <p>DMP vurderer også at det ikke foreligger ny informasjon som kan belyse hvorvidt kriteriene for ordningen for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand er oppfylt, og henviser til at vurderingene fra ID2021_076 fortsatt gjelder.</p>
<p>Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)</p>	<p>DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen, og mener at det ikke er vesentlig endret grunnlag for å belyse nytten av behandlingen sammenlignet med dagens behandlingsalternativer. DMP vurderer at opplysningene som leverandøren viser til, sannsynligvis ikke er tilstrekkelige til å endre gjeldende beslutning, gitt prisnivået leverandøren har valgt for velmanase alfa.</p>

Kilder:

- 1: "[Lamzede, INN-velmanase alfa](#)"
- 2: [Extended long-term efficacy and safety of velmanase alfa treatment up to 12 years in patients with alpha-mannosidosis - PMC](#)

Versjonslogg*

Dato	Hva
15.04.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP
<p>*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonordlyd. For informasjon om endringer, se Legemiddelsøk.no. Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.</p>	

Saksnummer 065-26 Oppsummering fra sekretariatet

Forslag om revurdering: ID2017_095 Kaplacizumab (Cablivi) til behandling av voksne og ungdom ≥ 12 år (≥ 40 kg) med en episode av ervervet trombotisk trombocytopenisk purpura (aTTP), i tillegg til plasmautskiftning og immunsuppresjon.

Tidligere saksbehandling:

- Metoden er tidligere metodevurdert og behandlet i Beslutningsforum 25.05.2020.
Beslutningen ble som følger:
 1. Kaplasizumab (Cablivi) innføres ikke til behandling av ervervet trombocytopenisk purpura (aTTP).
 2. Det er betydelig usikkerhet knyttet til størrelsen på den dokumenterte effekt, og prisen er altfor høy.

Kort om metoden forslaget:

- Metoden kommer inn som et forslag fra kliniker ved Universitetssykehuset Nord-Norge HF.
- Forslagstiller skriver:
- aTTP er en akutt, sjelden og svært alvorlig sykdom.
- Tilstanden er potensielt dødelig, og død inntreffer etter median 5-10 dager etter diagnose. Uten behandling er tilstanden nesten alltid dødelig.
- Kaplasizumab gis som tillegg til standardbehandling.
- Standardbehandlingen (uten kaplacizumab) består av høydose kortikosteroider, dagelige plasmautskiftning og rituksimab, og har initial effekt hos 80–90 %, men rundt 10 % (ca. 1 pas. per år i Norge) utvikler behandlingsresistent sykdom med høy mortalitet. I tillegg får 30–40 % sykdomsoppbluss etter initial respons.
- Uutfordrende å inkludere de dårligste pasientene med denne sykdommen i studier, bl.a. fordi de mangler samtykkekompetanse på diagnosetidspunktet. Estimer av akutt mortalitet ved aTTP uten bruk av kaplasizumab varierer stort i litteraturen (se forslagsskjema for detaljer).
- Selv ved overlevelse er tilstanden forbundet med seinskader bl.a. cerebralt og kardialt, som følge av iskjemi/infarkter, og det er av antatt stor betydning med rask behandlingseffekt.
- Kaplacizumab gir rask effekt på den patologiske prosessen og reduserer varighet av plasmautskiftning, liggedøgn på sykehus og intensivbehandling, andel pasienter med refraktær sykdom samt reduserer mortalitet. Det ses økt antall blødninger hos pasienter som behandles med kaplacizumab, og behandlingen bør kanskje ikke gis til de pasientene med høyest blødningsrisiko, men risikoen for alvorlige blødninger er liten. Det er mangel på livskvalitetsdata etter behandling med kaplasizumab, men det er grunn til å tro at pasienter får færre seinplager ved kaplacizumabbehandling. For å avgjøre dette så trengs langtidsdata.
- Kost/nytte ved behandling med kaplasizumab bør beregnes på nytt, og flere faktorer bør tas hensyn til enn i den opprinnelige metodevurderingen. Forventet mortalitet ved aTTP uten behandling med kaplasizumab er i den første metodevurderingen estimert for lavt.
- Internasjonalt så regnes kaplacizumab som del av standardbehandlingen, og det er ikke planlagt flere placebokontrollerte studier av denne behandlingen, trolig fordi en slik studie vurderes som uetisk. Har ikke gode nok stratifiseringsverktøy til å predikere hvilke pasienter som eventuelt ikke «trenger» kaplacizumab-behandling, og det foreligger per tid ingen evidens for at en slik tilnærming er trygg for enkelte pasienter.

- Vist at kaplasizumab kan ha direkte livreddende effekt ved refraktær sykdom. Kost/nytte ved bruk av kaplasizumab ved alvorlig aTTP vil være betydelig større enn i gruppen som helhet. En utfordring er at vi mangler fullgode verktøy til å identifisere disse pasientene før de blir svært alvorlig syke, refraktære mot behandlingen eller dør. Det er etisk problem at denne subgruppen ikke mottar nødvendig helsehjelp i en akutt situasjon der den forventede ressursbruken står i et rimelig forhold til den forventede nytten av helsehjelpen.
- Studier viser at oppstart med kaplasizumab på diagnosetidspunktet bedrer overlevelse, reduserer behovet for og varigheten av plasmautskifting og intensiv- og sykehusopphold betydelig.
- Det vil bli publisert et nytt norsk handlingsprogram for TTP i 2026. Dette utgis i regi av norsk hematologisk selskap.
- Brukes sporadisk ved refraktær sykdom etter at refusjon har blitt innvilget av Fagdirektør/Tilgangsordningen.
- Antall pasienter som er aktuelle for behandlingen: Ca 15-30 per år.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (vedlagt):

- Tidligere indikasjon: Kaplasizumab er indisert for behandling av voksne som opplever en episode av aTTP, i tillegg til plasmautskifting og immunsuppresjon. Dette var indikasjonen da kaplasizumab ble metodevurdert i 2019.
- Vurdering fra DMP: DMP har gjennomført et enkelt litteratursøk og finner at det siden den forrige metodevurderingen i 2020 er publisert resultater fra flere observasjonsstudier om kaplasizumab, inkludert studier som belyser mortalitet, forekomst av refraktær sykdom og eksaserbasjoner, behov for plasmautskifting og sikkerhet. Ved en eventuell revurdering vil det være nødvendig å gjennomføre et systematisk litteratursøk. 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. 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).
- Anbefaling fra DMP: DMP mener at det kan være endret grunnlag for å belyse nytten av behandlingen sammenlignet med dagens behandlingalternativer. 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.

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):
- Forslagsstiller har fylt ut punkt 18 nedenfor: «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):
- 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 forlagsstiller kjent med dokumentet [Veiledende kriterier for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder](#) (link) (kryss av):

Opplysninger om forlagsstiller

Navn/kontaktperson	Nils Morten Leknes
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Universitetssykehuset Nord-Norge HF
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	nils.morten.leknes@unn.no
Dato for innsending av forslag	26.01.2026

Opplysninger om metoden som foreslås

1. Forslagstillers tittel på forslaget:*

*Denne kan endres under den videre behandlingen i systemet for Nye metoder:

Godkjent indikasjon og norsk markedsføringstillatelse: *Voksne og ungdom ≥12 år (≥40 kg):* Pasienter med en episode av ervervet trombotisk trombocytopenisk purpura (aTTP), i tillegg til plasmautskiftning og immunsuppresjon.

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Kaplasizumab gis som tillegg til standardbehandling til pasienter med immunmediert trombocytopenisk purpura som beskrevet i godkjent SPC (Felleskatalogtekst): Første dose bør gis i.v. før plasmautskiftning, påfølgende doser gis s.c daglig inntil 30 dager etter hver plasmautskiftning (kaplasizumab bør avsluttes ved oppnådd ADAMTS13-aktivitet >10%). Ved tegn på vedvarende immunologisk sykdom ved slutten av perioden, anbefales optimalisering av immunsuppressivt regime og fortsatt bruk av 10 mg kaplasizumab s.c. daglig inntil tegn på bedring av underliggende immunologisk sykdom (ADAMTS13-aktivitetsnivå >10%).

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

aTTP er en akutt, sjelden og svært alvorlig sykdom. Standardbehandlingen (uten kaplacizumab) har initial effekt hos 80–90 % og består av høydose kortikosteroider, daglige plasmautskiftninger og rituksimab. Behandlingsresistent sykdom forekommer hos ca. 10 %, det vil si hos omtrent én pasient per år i Norge. Svikter standardbehandlingen, er dette forbundet med svært dårlig prognose og høy risiko for mortalitet. Oppbluss/eksaserbasjon av sykdommen etter initial effekt forekommer hos 30-40% ved overnevnte standardbehandling.

Det er utfordrende å inkludere de dårligste pasientene med denne sykdommen i studier, bl.a. fordi de mangler samtykkekompetanse på diagnosetidspunktet. Estimerer av akutt mortalitet ved aTTP uten bruk av kaplasizumab varierer stort i litteraturen. I den svenske helseøkonomiske bedømmingen av kaplasizumab er mortaliteten antatt til å være mellom 10 og 20%. Data fra Skåne og Stockholm angir akutt mortalitet på > 15% før innføringen av kaplasizumab. I en stor retrospektiv kohort var 3-måneders mortalitet på 7% (historiske kontroller i Capla 1000+). Pasientene dør raskt, etter median 7dager i overnevnte kohort. Mortalitet ved aTTP med tillegg av kaplacizumab er på ca. 1%, noe som er vist i flere studier inkludert den placebokontrollerte fase III studien Hercules.

Selv om pasientene overlever så er tilstanden forbundet med seinskader bl.a. cerebralt og kardialt, som følge av iskjemi/infarkter, og det er av antatt stor betydning med rask behandlingseffekt.

Kaplacizumab har svært rask effekt på den patologiske prosessen. Behandlingen reduserer varighet av plasmautskiftning, reduserer liggedøgn på sykehus, reduserer antall døgn med intensivbehandling, reduserer andel pasienter med refraktær sykdom, og reduserer mortalitet. Det ses økt antall blødninger hos pasienter som behandles med kaplacizumab, og behandlingen bør kanskje ikke gis til de pasientene med høyest blødningsrisiko, men risikoen for alvorlige blødninger er liten. Det er mangel på livskvalitetsdata etter behandling med kaplasizumab, men det er grunn til å tro at pasienter får færre seinplager ved kaplacizumabbehandling. For å avgjøre dette så trengs langtidsdata.

Kost/nytte ved behandling med kaplasizumab bør beregnes på nytt, og flere faktorer bør tas hensyn til enn i den opprinnelige metodevurderingen. Forventet mortalitet ved aTTP uten behandling med kaplasizumab er i den første metodevurderingen estimert for lavt.

Internasjonalt så regnes kaplacizumab som del av standardbehandlingen, og det er ikke planlagt flere placebokontrollerte studier av denne behandlingen, trolig fordi en slik studie vurderes som uetisk. Vi har ikke gode nok stratifiseringsverktøy til å predikere hvilke pasienter som eventuelt ikke «trenger» kaplacizumabbehandling, og det foreligger per tid ingen evidens for at en slik tilnærming er trygg for enkelte pasienter. De fleste pasientene som dør gjør det raskt, og refraktær sykdom regnes som manglende bedring etter 5 dager med plasmautskiftning.

Det har vært vist at kaplasizumab kan ha direkte livreddende effekt ved refraktær sykdom. Dessuten vil kost/nytte ved bruk av kaplasizumab ved alvorlig aTTP være betydelig større enn i gruppen som helhet. En utfordring er at vi mangler fullgode verktøy til å identifisere disse pasientene før de blir svært alvorlig syke, refraktære mot behandlingen eller dør. Det er etisk problem at denne subgruppen ikke mottar nødvendig helsehjelp i en akutt situasjon der den forventede ressursbruken står i et rimelig forhold til den forventede nytten av helsehjelpen.

4. 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.*

P: pasienter med immunologisk trombocytopenisk purpura.

I: kaplasizumab som tillegg til standardbehandling i dosering som beskrevet i godkjent SPC

C: placebo som tillegg til standardbehandling

O: 3-måneders overlevelse. Andel med refraktær sykdom. Andel med oppbluss av sykdommen. Antall døgn på intensivhet. Antall døgn innleggelse. Antall dager med plasmautskifting.

*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.

5. 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?)

Standardbehandling i Norge er steroider, plasmautskifting og immunsuppressive legemidler. Kaplasizumab kommer i tillegg til dette.

Studier viser at oppstart med kaplasizumab på diagnosetidspunktet bedrer overlevelse, reduserer behovet for og varigheten av plasmautskifting og intensiv- og sykehusopphold betydelig.

Kaplasizumab er godkjent av EMA, er metodevurdert og ble avslått av Beslutningsforum i 2020. Behandlingen er tatt i bruk i andre land og er anbefalt i flere behandlingsretningslinjer og oppslagsverk

For referanser: se Leknes NM og medarbeidere Tidsskr Nor Legeforen 2025, vol 145. DOI: 10.4045/tidsskr.25.0343.

Det vil også bli publisert et nytt norsk handlingsprogram for TTP i 2026. Dette utgis i regi av norsk hematologisk selskap.

- | 6. Forslaget gjelder: | Ja | Nei |
|--|-------------------------------------|-------------------------------------|
| En metode som er aktuell for spesialisthelsetjenesten | <input checked="" type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| En ny og innovativ metode | <input checked="" type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Et nytt bruksområde, eller en ny indikasjon for en etablert metode | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| En sammenligning mellom flere metoder | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Er metoden tatt i bruk? | <input checked="" type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Hvis ja – metode er tatt i bruk i klinisk praksis | <input checked="" type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Hvis ja – metode er tatt i bruk innen forskning/utprøving | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Revurdering/utfasing av en metode som er tatt i bruk i klinisk praksis | <input type="checkbox"/> | <input checked="" type="checkbox"/> |

Eventuelle kommentarer til bruken av metoden:

Brukes sporadisk ved refraktær sykdom etter at refusjon har blitt innvilget av Fagdirektør/Tilgangsordningen.

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

Legemiddel

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

Annet (beskriv)

8. Finansieringsansvar Ja Nei

Har spesialisthelsetjenesten et finansieringsansvar for metoden i dag?

Vil spesialisthelsetjenesten kunne få finansieringsansvar for metoden?

Eventuelle kommentarer:

Kaplasizumab er oppført i vedlegg til Forskrift om stønad til dekning av utgifter til viktige legemidler m.v (blåreseptforskriften).

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

Angi eventuelt hvilke og kommenter eventuelt behov for endringer:

TTP handlingsprogram 2026 (foreløpig ikke utgitt) som utgis av norsk hematologisk selskap.

10. Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)? Ja Nei

Angi eventuelt type strålekilde, utstyr og stråleeksponering:

11. Hvilke fagområde(r) gjelder metoden, og hvilke pasienter berøres? (Får metoden evt. også konsekvenser for andre grupper (som personell, pårørende?))

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

Klinisk effekt	<input checked="" type="checkbox"/>
Sikkerhet/bivirkninger	<input checked="" type="checkbox"/>
Kostnader/ressursbruk	<input checked="" type="checkbox"/>
Kostnadseffektivitet	<input checked="" type="checkbox"/>
Organisatoriske konsekvenser	<input type="checkbox"/>
Etiske	<input type="checkbox"/>
Juridiske	<input type="checkbox"/>

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

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

Tilstanden er potensielt dødelig, og død inntreffer etter median 5-10 dager etter diagnose. Uten behandling er tilstanden nesten alltid dødelig.

Forventet effekt

Redusert dødelighet
Overlevelse til et bedre funksjonsnivå
Redusert antall døgn med plasmautskifting, antall liggedøgn på sykehus og antall døgn i intensivenhet

Sikkerhet og bivirkninger

2-3% forekomst av stor (major) blødning i Capla 1000+.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Ca 15-30 per år

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Usikkert. Høyere medikamentkostnad, men det er usikkert om total ressursbruk øker. Det er viktig at kaplasizumabbehandling avbrytes ved ADAMTS-13-aktivitet >10%.

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

Metodevurdering av kaplasizumab 2020.

Capla 1000+ project: [https://www.thelancet.com/journals/eclinm/article/PIIS2589-5370\(25\)00100-2/fulltext](https://www.thelancet.com/journals/eclinm/article/PIIS2589-5370(25)00100-2/fulltext)

Hercules: <https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa1806311>

Oppdatert expert opinion: <https://ashpublications.org/hematology/article-abstract/2025/1/614/556911/Tailored-treatment-of-acute-immune-mediated?redirectedFrom=fulltext>

ISTH-guidelines2025:

<https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1538783625003605>

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. Hälsoekonomisk bedömning av Cablivi (kaplacizumab). [https://www.tlv.se/download/18.1a8d0c34179efdbb7af4de91/1623673527756/bes210601_he_bed_cablivi.pdf%20\(In%20Swedish](https://www.tlv.se/download/18.1a8d0c34179efdbb7af4de91/1623673527756/bes210601_he_bed_cablivi.pdf%20(In%20Swedish)

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

Sanofi

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

Godkjent i EMA (orphan drug) 2009

Norsk markedsføringstillatelse 31.august 2018 (gjelder hele Europa)

17. Fritekstrubrikk (Supplerende relevant informasjon, inntil 300 ord.)

18. 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.)

Ingen interessekonflikter

	<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>
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	<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=CuJu6MJC>].
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 indikasjonordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](https://legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.

Saksnummer: 066-26

Til:	Bestillerforum for nye metoder
Fra:	DMP ved Ingrid Kristine Ohm
Dato:	16.03.2026

DMP opplyser om tilbaketrasket artikkel som har inngått i ID2022_018 fullstendig metodevurdering av ketamin ved behandlingsresistent depresjon

Hva saken omhandler i korte trekk

DMP ønsker å opplyse om tilbaketrasket artikkel som har inngått i ID2022_018 fullstendig metodevurdering av ketamin ved behandlingsresistent depresjon, og konsekvensene dette kan få for konklusjonen i metodevurderingen.

Bakgrunn for saken

Bibliotekar ved DMP har oppdaget at én av artiklene som ble inkludert i fullstendig metodevurdering av ketamin ved behandlingsresistent depresjon (ID2022_018) er tilbaketrasket av redaktør i tidsskriftet den var publisert i. Dette gjelder følgende artikkel:

- Zolghadriha A, Anjomshoaa A, Jamshidi MR, Taherkhani F. Rapid and sustained antidepressant effects of intravenous ketamine in treatment-resistant major depressive disorder and suicidal ideation: a randomized clinical trial. BMC Psychiatry 2024;24(1):341. DOI: 10.1186/s12888-024-05716-0.

Dette ble oppdaget da bibliotekar ved DMP samler alle artikler som er inkludert i metodevurderinger utarbeidet ved Enhet for metodevurdering av medisinsk utstyr, i et EndNote-bibliotek, som er synkronisert opp mot Retraction Watch Database. Funksjonen flagger automatisk og fortløpende eventuelle titler som trekkes.

Saksfremstilling

I vår fullstendige metodevurdering inngikk resultater fra den tilbaketrukne Zolghadriha-artikkelen i analyse av enkeltinfusjon ketamin versus saltvann, ved 1-7 dager, samt 1-2 måneder etter infusjon. Når vi gjør sensitivetsanalyser av disse resultatene, dvs. fjerner Zolghadriha-studien, finner vi at konklusjonen forblir den samme ved måletidspunktene 1-7 dager. Ettersom Zolghadriha *et al.* var den eneste studien med måletidspunkt utover 1 uke, bortfaller resultatene for 1-2 måneder, og vi kan ikke si noe om effekten av enkeltinfusjon ketamin versus saltvann utover 7 dager.

Det er også viktig å merke seg at å fjerne Zolghadriha-studien kan påvirke vår tillit til resultatene, uten at vi har gjort ny vurdering av GRADE.

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: NA.

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: NA.

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: MT foreligger.

10. Andre kommentarer

NA.

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: Ansatt i Johnson & Johnson, som har utviklet og markedsfører metoden.

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*:	ID2019_006
Metodens navn:	Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma)

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Karen Marie Hanevik-Heggberget
Eventuell organisasjonstilhørighet/arbeidsplass/firma	Novartis Norge AS
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	Karen_marie.hanevik-heggberget@novartis.com

<p>3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) <i>Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.</i></p>
<p>For å kunne analysere de nyeste dataene grundig har DMP bedt om detaljerte data på individnivå. Novartis ønsker å levere et aggregert datasett, fordi dataene er svært personsensitive og hentes direkte fra underliggende kilder i to ulike databaser (kliniske studier og real-world data). Dette krever et særskilt uttrekk og analysearbeid som må utføres av Novartis' globale statistikerteam, som er godkjent for å håndtere slike data. Arbeidet omfatter etablering og godkjenning av en egen dataanalyseplan, gjennomføring av uttrekk og deretter analyse. Selv om sykdommen er sjelden, er datasettet relativt omfattende med mange kovariabler, og arbeidet tar derfor lengre tid enn først estimert.</p>

Standardinnleveringen med våre oppdaterte langtidsdata vil være klar innen 01.05.2026. Det er imidlertid ikke hensiktsmessig å levere denne først og ettersende den supplerende analysen, ettersom resultatene bør vurderes i sammenheng og leveres samlet. Det er blitt avholdt formøte med DMP og videre har vi hatt en god og grundig dialog med DMP på hvilke data som kreves til formålet. Vi har informert DMP om at vi trenger mer tid som følge av arbeidet med det aggregerte datasettet. Siden fristen 01.05.2026 er fastsatt av Nye metoder, søker vi herved om utvidet frist med to måneder, til 30.06.2026, for innlevering av oppdatert dokumentasjon fra oppfølgingsstudiene for Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) til Direktoratet for medisinske produkter

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: 2021

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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

10. Andre kommentarer

Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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: NA, ansatt i legemiddelfirmaet Novartis

Saksnummer: 069-26

NOTAT TIL BESTILLERFORUM

Til:	Bestillerforum
Fra:	Direktoratet for medisinske produkter (DMP)
Dato:	16.04.2026

Oppdrag som trenger oppmerksomhet fordi det er lenge siden oppdrag ble gitt

Bakgrunn for saken

En statusoppdatering på oppdrag gitt til Direktoratet for medisinske produkter, hvor leverandør ikke har levert dokumentasjon. Oversiktene inneholder kun oppdrag hvor utredning ikke er påbegynt da leverandør ikke har levert dokumentasjon.

Følgende oppdrag ble gitt av Bestillerforum til Direktoratet for medisinske produkter for mer enn et år siden:

Preparat	Virkestoff	Indikasjon	ID-nr	Dato bestilling
Afinitor	everolimus	Til behandling av nyrecellekarsinom	ID2017_045	24.04.2017
Jakavi	ruksolitinib	Til behandling av polycytemia vera (PV)	ID2017_044	24.04.2017
Soliris	ekulizumab	Til behandling av akutt trombotisk mikroangiopati hvor plasmaferese ikke er egnet behandling	ID2023_036	24.04.2023
Ekulizumab	ekulizumab	Til behandling av pasienter med paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (PNH)	ID2023_080	28.06.2023

Følgende oppdrag ble gitt av Bestillerforum til Direktoratet for medisinske produkter i 2025:

Preparat	Virkestoff	Indikasjon	ID-nr	Dato bestilling
Tepezza	teprotumumab	Til behandling av voksne med moderat til alvorlig Graves' orbitopati	ID2025_024	26.05.2025
Ziihera	zanidatamab	Til behandling av voksne med inoperabel lokalt avansert eller metastatisk HER2-positiv (IHC3+) galleveiskreft som tidligere er behandlet med minst én tidligere systemisk behandlingslinje.	ID2025_041	16.06.2025
Dupixent	dupilumab	Til behandling av bulløs pemfigoid.	ID2025_050	22.09.2025
Welireg	belzutifan	Som monoterapi til behandling av voksne pasienter med avansert klarcellet	ID2025_049	22.09.2025

		nyrecellekarsinom som har progrediert etter to eller flere behandlingslinjer som inkluderte en PD-(L)1-hemmer og minst to VEGF-målrettede behandlinger		
Zilbrysq	zilucoplan	Som tillegg til standardbehandling for behandling av generalisert myasthenia gravis (generalisert MG) hos voksne pasienter som er anti-acetylkolinreseptor (AChR)-antistoffpositive.	ID2023_057 (ny sak)	20.10.2025
Iqirvo	elafibranor	Til behandling av primær biliær kolangitt, i kombinasjon med UDCA eller som monoterapi hos pasienter som er intolerante mot UDCA, hos voksne som ikke er kvalifisert for behandling med fibrater.	ID2024_024 (ny sak)	20.10.2025
Winrevair	sotatercept	I kombinasjon med annen behandling av PAH, som langtidsbehandling av PAH hos voksne pasienter med WHO funksjonsklasse (FC) II, III og IV	ID2025_056	20.10.2025
Rezdiffra	resmetirom	I forbindelse med kosthold og mosjon for behandling av voksne med ikke-cirrhotisk MASH med moderat til avansert leverfibrose (i samsvar med fibrose i stadium F2 til F3)	ID2025_058	20.10.2025
Ultomiris	ravulizumab	Til behandling av voksne med neuromyelitis optica spektrumforstyrrelse (NMOSD) som er positive for antistoffer mot akvaporin-4 (AQP4)	ID2022_143 (Ny sak)	17.11.2025
Amvuttra	vutrisiran	Til behandling av villtype eller arvelig transthyretin amyloidose hos voksne pasienter med kardiomyopati (ATTR-CM).	ID2025_066	17.11.2025
Imaavy	nipocalimab	Som tillegg til standardbehandling for generalisert myasthenia gravis hos voksne og unge 12 år og eldre som er positive for antistoffer mot AChR eller MuSK	ID2025_074	17.11.2025
Zynyz	retifanlimab	I kombinasjon med karboplatin og paklitaksel til førstelinjebehandling av voksne pasienter med metastatisk eller inoperabelt lokalt residiverende plateepitelkarsinom i analkanalen (SCAC).	ID2025_071	17.11.2025
Cenrifki	tolebrutinib	Til behandling av non-relapsing secondary progressive multiple sclerosis (nrSPMS) for voksne	ID2025_082	08.12.2025

I tillegg er det gitt ti oppdrag til DMP i årets første tre måneder hvor leverandør ikke har levert dokumentasjon.

Følgende oppdrag ble gitt av Bestillerforum til Direktoratet for medisinske produkter i 2026:

Preparat	Virkestoff	Indikasjon	ID-nr	Dato bestilling
Zolgensma	onasemnogene abeparvovec	Til behandling av spinal muskeltrofi	ID2019_006 (Ny sak)	19.01.2026
Venclyxto	venetoklaks	I kombinasjon med rituksimab (VR) til behandling av voksne pasienter med KLL som tidligere har mottatt minst en behandling, spesifisert til der tidligere behandling har vært med BTK eller BCL-2-hemmer	ID2019_096 revurdering	19.01.2026
Kimmtrak	tebentafusp	Som monoterapi til behandling av humant leukocytantigen (HLA)-A*02:01-positive voksne pasienter med ikke-resektabelt eller metastatisk uvealt melanom	ID2022_009 revurdering	19.01.2026
Scemblix	askiminib	Til behandling av voksne pasienter med Philadelphiakromosom-positiv kronisk myelogen leukemi i kronisk fase (Ph+ KML-KF)	ID2025_086	19.01.2026
Darzalex	daratumumab	Som monoterapi til behandling av voksne med høyrisiko ulmende myelomatose	ID2025_088	19.01.2026
Keytruda	pembrolizumab	I kombinasjon med paklitaxel, med eller uten bevacizumab, til behandling av platinaresistent epitelial eggstokkreft, egglederkreft, eller primær peritonealkarsinom hos voksne med tumor som uttrykker PD-L1 med CPS ≥ 1 og som har fått én eller to tidligere systemiske behandlingsregimer	ID2025_101	09.02.2026
Wayrilz	rilzabritinib	Til behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) hos voksne pasienter som er refraktære overfor annen behandling	ID2025_104	16.03.2026
Nucala	mepolizumab	Til behandling av kronisk obstruktiv lungesykdom (kols)	ID2025_105	16.03.2026
Ezmekly	mirdametinib	Som monoterapi til behandling av symptomatiske, inoperable pleksiforme neurofibromer (PN) hos voksne pasienter med neurofibromatose type 1 (NF1)	ID2026_016	16.03.2026
Ogsiveo	nirogacestat	Som monoterapi til behandling av voksne pasienter med progredierende desmoide tumorer som krever systemisk behandling	ID2025_107	16.03.2026

Metode	Produkt	Indikasjon	ID-nr	Dato bestilling
Koronarstent	DynamX	Til perkutan koronar intervensjon (PCI)	ID2025_109	16.03.2026
Temperaturregulert laminær luftstrøm	Airsonett Air 4	Til behandling av alvorlig allergisk astma	ID2021_123	16.03.2026

Anbefaling

Det anbefales at videre håndtering av de eldste sakene diskuteres i Bestillerforum.

Direktoratet for medisinske produkter, 16.04.2026

Saksnummer: 070-26

Til:	Bestillerforum for nye metoder
Fra:	Sekretariatet for Nye metoder og Direktoratet for medisinske produkter
Dato:	16.04.2026

Videreutvikling: Prosess for anmodninger om legemidler som er omfattet av HTAR. Til orientering.**Hva saken omhandler i korte trekk**

Norge er en del av det europeiske samarbeidet om metodevurderinger innenfor Health Technology Assessment Regulation (HTAR), og dette innebærer behov for tilpasninger av enkelte nasjonale prosesser (se sak 050-26 i Bestillerforum 16.03.2026 for en status for dette arbeidet innen legemidler).

HTAR-samarbeidet omfatter felles metodevurderinger av relativ effekt og sikkerhet, i første omgang for nye legemidler innen kreft og avanserte terapier. Leverandører må fortsatt anmode om vurdering i Nye metoder og en arbeidsgruppe har laget et forslag til prosess og tidslinje for anmodninger om vurdering av metoder som er omfattet av HTAR-samarbeidet. De første anmodningene vil fungere som piloter, og Nye metoder vil vurdere behov for tilpasninger basert på erfaringene fra disse. Bestillerforum informeres med dette om prosessen som vil prøves ut.

Bakgrunn og saksfremstilling

For metoder som er omfattet av HTAR, vil det utarbeides en felles europeisk metodevurdering som vurderer relativ effekt og sikkerhet (Joint Clinical Assessment, JCA). En JCA skal være ferdig senest 30 dager etter at MT er vedtatt i EU-kommisjonen.

Leverandører av legemidler som går i HTAR, må fortsatt anmode om vurdering i Nye metoder. Anmodning kan tidligst sendes inn ved dag 120 (som i dag). I anmodningen krysses det av for om metoden omfattes av HTAR.

Arbeidsgruppen har diskutert tidslinjer og prosesser og kommet frem til et forslag basert på den informasjonen som er tilgjengelig nå. De første anmodningene om vurdering av legemidler som omfattes av HTAR vil fungere som piloter, og prosessen i Nye metoder vil tilpasses basert på erfaringer. Den første anmodningen av et legemiddel som skal gjennomgå en JCA behandles i Bestillerforum i april.

Følgende prosess vil inntil videre gjelde når en anmodning om et legemiddel omfattet av HTAR kommer inn til Nye metoder:

- Sekretariatet og DMP avklarer status og prosess ved mottak av anmodningen. Tidspunkt for behandling i Bestillerforum må vurderes i hvert tilfelle. Det avhenger blant annet av om leverandøren anmoder tidlig eller sent i godkjeningsprosessen i EMA (det europeiske legemiddelbyrået) og status for arbeidet med å utarbeide en JCA. Anmodninger settes tidligst opp i Bestillerforum etter at metoden har fått en positiv opinion fra CHMP (den vitenskapelige komiteen) i EMA-prosessen. Da er indikasjonen endelig, informasjon om norsk PICO er offentlig, og DMP og leverandør har tilgang til et utkast av JCA.

- Anmodninger behandles i etablerte prosesser før Bestillerforum med innhenting av innspill og utarbeidelse av egnethetsvurdering. Egnethetsvurderinger fra DMP vil inkludere status i HTAR og norsk PICO. Dagens muligheter for forenklet prosess for legemidler som er registrert i PD-(L)1-ordningen og ved tidlig faglig vurdering av sammenlignbarhet består. I disse tilfellene er det mulig å gi oppdrag om kun prisnotat.
- I Bestillerforum er oppdragstypene som brukes i dag relevante også for metoder som går i HTAR, og det vil brukes samme ordlyd.
- I Bestillerforum opplyses det om følgende:
 - Relativ effekt og sikkerhet vil bli (eller er) vurdert i den felles europeiske metodevurderingen (JCA), og metodevurderingen fra DMP vil derfor ikke inkludere egne vurderinger av relativ effekt og sikkerhet.
 - Hovedpunktene fra JCA vil inkluderes i et sammendrag på norsk i den norske metodevurderingen

Saksnummer: 071-26

Til:	Bestillerforum for nye metoder
Fra:	Sekretariatet for Nye metoder, Direktoratet for medisinske produkter og Sykehusinnkjøp
Dato:	16.04.2026

Medisinsk utstyr – ny prosess for vurdering av medisinsk utstyr i Nye metoder – orienteringssak til Bestillerforum**Hva saken omhandler i korte trekk**

Formålet med notatet er å gi en orientering til Bestillerforum for nye metoder om den nye prosessen for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder som trer i kraft 01.05.2026.

Bakgrunn for saken

De regionale helseforetakene (RHF-ene) fikk gjennom oppdragsdokumentet fra Helse- og omsorgsdepartementet for 2022 i oppdrag å utarbeide et strategisk dokument for videreutvikling av systemet Nye metoder, herunder håndtering av medisinsk utstyr.

RHF-ene, inkludert sekretariatet for Nye metoder, Direktoratet for medisinske produkter (DMP) og Sykehusinnkjøp har samarbeidet om å utarbeide konkrete forslag til forbedringer. Formålet med forslagene var å legge til rette for bedre prioritering, mer hensiktsmessige vurderinger og en mer robust implementering av medisinsk utstyr i spesialisthelsetjenesten.

Forslagene er beskrevet i et innspillsnotat som ble behandlet i RHF AD-møte 17. mars 2025 før det ble sendt på eksternt innspillrunde fra 11. april til 18. mai 2025. Arbeidsgruppen har deretter gjennomgått og vurdert mottatte innspill, og utarbeidet et endelig forslag til ny prosess for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder.

Det endelige forslaget ble lagt frem for RHF AD-møtet 16. mars 2026, som ga sin tilslutning til at de foreslåtte endringene trer i kraft fra 1. mai 2026.

Hovedtrekk ved ny prosess for håndtering av medisinsk utstyr

De viktigste momentene er:

Tre veier inn til Nye metoder:

1. Felleseuropeisk metodevurdering på medisinsk utstyr som startet januar 2026
2. Anmodning om vurdering fra leverandør eller forslag fra andre, f.eks. klinikere
3. Innmelding av saker fra innkjøpsfunksjoner i helseregionene og innkjøpskategoriene i Sykehusinnkjøp

Reviderte seleksjonskriterier for hvilke medisinske utstyr som skal vurderes i Nye metoder

Seleksjonskriteriene tydeliggjør hvilke metoder av typen medisinsk utstyr som spesialisthelsetjenesten har behov for å gjøre mer grundige vurderinger av og som skal meldes inn til

Nye metoder. Slik kan metodevurderingskapasiteten brukes på de mest relevante og prioriteringsmessig krevende metodene. Selv om en metode ikke oppfyller seleksjonskriteriene, kan den likevel innebære en prioriteringsutfordring og bør i så fall vurderes nasjonalt.

Seleksjonskriteriene er delt opp i 4 kategorier (A–D). Dersom alle kriteriene innenfor bokstav A, B, C og ett eller flere av kriteriene innenfor bokstav D er oppfylt med et «ja», skal metoden meldes inn til Nye metoder. Bestillerforum vil avgjøre om det skal gjøres en metodevurdering og hvilken type metodevurdering som eventuelt skal gjennomføres.

A – Utstyret er sykehusfinansiert

B – Utstyret er CE-merket

C - Utstyret representerer mernytte, dekker et udekket medisinsk behov eller erstatter eksisterende metode

D - Andre aspekter - minst ett av følgende kriterier må være oppfylt:

- Betydelige budsjettkonsekvenser
- Store organisatoriske konsekvenser
- Stor betydning for helsepersonellressurser

Vurdering og validering av seleksjonskriteriene

Det skal innhentes innspill fra fagmiljø til seleksjonskriteriene og metoden generelt for å sikre gode bestillinger av saker om medisinsk utstyr. Det er avgjørende at det kommer innspill som kan belyse behovet for metoden i tjenesten, anslag på reelle kostnader, samt vurdering av markeds- og konkurransesituasjonen. Alle anmodninger og forslag om vurdering av medisinsk utstyr vil sendes ut for innspill til fagmiljøene i RHF-ene og de fagmedisinske foreningene (FMF-ene) i Legeforeningen. Det er viktig at innspill som kommer er forankret hos RHF-ene /HF-ene/FMF-ene og gis på vegne av et samlet fagmiljø.

Innspill vil også hentes inn fra DMP og Sykehusinnkjøp, i tillegg vil det være mulighet for andre til også å gi innspill til metoden som f.eks. pasientorganisasjoner slik det er i dag.

Når en sak legges fram for Bestillerforum vil følgende elementer ligge ved saken:

- Innspill fra fagpersoner
- Innspill fra andre, f.eks. pasient- og brukerorganisasjoner (hvis kommet inn)
- DMP's egnethetsvurdering
- Sykehusinnkjøps innkjøpsfaglige innspill

Basert på dette skal Bestillerforum vurdere om det er behov for en nasjonal metodevurdering og eventuelt på hvilket nivå metodevurderingen skal gjennomføres.

Innkjøpsstopp

Den nye prosessen innebærer en ny praksis, hvor anskaffelse av nytt medisinsk utstyr skal avvendes til etter at saken er metodevurdert.



NYE METODER

- Det skal ikke gjennomføres anskaffelser på varer eller tjenester som er til behandling i Nye metoder.
- I Helseforetakene skal det ikke gjennomføres kjøp av varer eller tjenester som er til behandling i Nye metoder

Pipelinemøter

For å styrke planleggingen av både anskaffelser og prosessene i Nye metoder, etableres såkalte *pipelinemøter*. I disse møtene inviterer Sykehusinnkjøp leverandører til å gi en overordnet presentasjon av produkter i sin portefølje som forventes å komme på det norske markedet innenfor et tidsperspektiv på om lag 2–3 år.

Implementeringsmøte

Videre etableres det et steg i forkant av behandling i Beslutningsforum – et såkalt implementeringsmøte. Dette for å sikre en god og helhetlig tilnærming til implementering. Medisinsk utstyr har ofte lengre ledetider enn legemidler, og dette bør synliggjøres i blant annet prisnotater og beslutningsgrunnlag. Sykehusinnkjøp bør i denne sammenheng bidra med informasjon om relevante anskaffelseshensyn, slik at beslutningene også gir et tydelig grunnlag for praktisk implementering i sykehusene.

Spesielle forhold Bestillerforum bør være kjent med

Den nye prosessen for medisinsk utstyr trer i kraft 1. mai 2026. Det ble arrangert et digitalt informasjonsmøte for leverandører fredag, 17. april. I møtet ble den nye prosessen og anmodningsskjema gjennomgått.

Den nye prosessen vil bli evaluert i løpet av 1 til 2 år, avhengig av hvor mange metoder om medisinsk utstyr som har vært igjennom den nye prosessen

Nye metoder vil fortløpende foreta vurderinger av tilpasninger til den nye prosessen.

Informasjon om den nye prosessen er lagt ut på nettsidene til Nye metoder: [Medisinsk utstyr - Nye metoder](#)

Saksnummer: 072-26

Eventuelt