

	<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 legeforsking [Internett]. 13. mars 2023 [siteret 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.