

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: 12.05.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Biogen Norway AS
1.2 Navn kontaktperson	Kasper Hoff
1.3 Stilling kontaktperson	Value and Access manager, Danmark & Norway
1.4 Telefon	+45 22200734
1.5 E-post	Kasper.hoff@biogen.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 checked="" type="checkbox"/>
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Spinraza er indisert til behandling av 5q spinal muskelatrofi (SMA).

<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>Spinraza</p>
<p>2.4 Generisk navn/virkestoff</p>	<p>Nusinersen</p>
<p>2.5 ATC-kode</p>	<p>M09AX07</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>Intratekal injeksjon av 50/28 mg, inkludert en induksjonsfase med to doser på 50 mg gitt med 14 dagers mellomrom, etterfulgt av en vedlikeholdsdose på 28 mg hver 4. måned (50/28 mg doseringsregime).</p> <p>Pasienter som nå behandles med Spinraza 12 mg kan overføres til doseringsregimet med 50/28 mg med én laddningsdose på 50 mg som gis minst 4 måneder (+/- 14 dager) etter siste dose på 12 mg. Vedlikeholdsdosen på 28 mg skal deretter administreres én gang hver 4. måned.</p>
<p>2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme.</p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Farmakoterapeutisk gruppe: Andre midler mot muskel- og skjelettsykdommer.</p> <p>Virkningsmekanisme: Nusinersen er et antisense-oligonukleotid (ASO) som øker andelen av ekson 7-inklusjon i SMN2 (survival motor neuron 2)-mRNA-transkripter ved binding til et sete i intron 7 i SMN2 pre-mRNA. Denne bindingen fortrenger undertrykkende spleisefaktorer, og gir retensjon av ekson 7 i SMN2-mRNA. Når SMN2-mRNA dannes kan det dermed translateres til funksjonelt SMN-protein av full lengde.</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>
---	---

<p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>ID-nummer: ID2017_001 — Nusinersen (Spinraza) – Ved behandling av spinal muskeltrofi (SMA) hos barn</p> <p>ID2020_031 — Nusinersen (Spinraza) – Behandling av spinal muskeltrofi (SMA) hos voksne pasienter</p> <p>ID2025_073 — Spinraza (nusinersen) – Nusinersen til SMA-pasienter med suboptimal klinisk respons på genterapi (onasemnogenaberparvovek, Zolgensma)</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: ID2020_104 — Risdiplam (Evrysdi) – Behandling av 5q spinal muskeltrofi (SMA) hos (i) barn med klinisk diagnose av type 3b SMA og (ii) voksne med klinisk diagnose av type 1, type 2 eller type 3 SMA (én til fire kopier av SMN2)</p> <p>ID2021_088 — Risdiplam (Evrysdi) til behandling av 5q spinal muskeltrofi (SMA) hos barn fra 2 måneder, med en klinisk diagnose av type 1, type 2 eller type 3a SMA</p> <p>ID2023_089 — Risdiplam (Evrysdi) – Behandling av 5q spinal muskeltrofi (SMA) hos barn før fylte 2 måneder med klinisk diagnose av type 1, 2 eller 3 SMA eller med 1–4 kopier av SMN2</p> <p>ID2024_042 — Risdiplam (Evrysdi) – Til behandling av voksne med SMA (inkl. undergrupper beskrevet i notat til Bestillerforum); relatert til tidligere vurdering i ID2020_104</p> <p>ID2025_010 — Risdiplam (Evrysdi) – Tablettformulering til bruk på godkjente indikasjoner</p> <p>ID2019_006 — Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) – Behandling av spinal muskeltrofi (SMA) (se spesifisert info. under oppdrag)</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: Nusinersen (Spinraza) (50/28 mg) - Spinal muskeltrofi (Medisinrådet, Danmark)</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: 15.07.2017</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: EMA/H/C/004312/X/0038</p> <hr/> <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> <hr/> <p>Hvis metoden har MT:</p> <p>Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: 09.01.2026</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»: 02.04.2012</p>

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 checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Kommentar: <i>Nusinersen (Spinraza) 12 mg</i>
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: ID2017_001 — Nusinersen (Spinraza) – Ved behandling av spinal muskelatrofi (SMA) hos barn ID2020_031 — Nusinersen (Spinraza) – Behandling av spinal muskelatrofi (SMA) hos voksne pasienter
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: Ikke alle nordiske land krever HTA-vurdering, da anmodningen gjelder et nytt doseringsregime for en allerede anbefalt metode
---	---

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	
<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>Vi foreslår at den helseøkonomiske vurderingen begrenses til en kostnadssammenligning mot dagens doseringsregime med Spinraza 12 mg.</p> <p>Tilgjengelige data indikerer at behandlingseffekten for 50/28 mg-doseringsregimet er minst like god som 12 mg regimet.</p> <p>50 mg/28 mg-regimet med nusinersen ble generelt godt tolerert, og rapporterte bivirkninger var i hovedsak i tråd med det som forventes ved spinal muskelatrofi (SMA) og med den kjente sikkerhetsprofilen for 12 mg-regimet med nusinersen.</p> <p>EMA har vurdert at sikkerheten ved høydoseregimet er tilstrekkelig dokumentert til å gi en ubetinget markedsføringstillatelse.</p> <p>På bakgrunn av dette vurderes det som hensiktsmessig at forskjellene mellom regimene belyses gjennom en kostnadssammenligning, for eksempel i form av et prisnotat fra Sykehusinnkjøp HF</p>
<p>9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.</p>	<p>NA</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>NA</p>
<p>9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.</p>	<p>NA</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>Juni 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>SMA er en sjelden, arvelig, autosomal recessiv nevro-muskulær lidelse forårsaket av delesjoner i survival motor neuron 1-genet (SMN1-genet). SMA er en progressiv nevrodegenerativ sykdom på tvers av alle SMA-undertyper, uavhengig av alder ved symptomdebut. Pasienter med SMA lider av degenerasjon av motornevroner i ryggmargen på grunn av mangel på SMN-protein. SMN2-genet er til stede i ≥ 1 kopi hos alle pasienter med SMA. Den lille mengden full-lengde SMN-protein produsert av SMN2 (~10%) kompenserer delvis for tapet av SMN1, slik at de fleste celletyper fungerer normalt. Det er imidlertid utilstrekkelig SMN-protein for overlevelse av motornevroner, noe som fører til progressiv muskelsvakhhet og atrofi.</p>
<p>10.2 Fagområde</p> <p><i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i></p>	<p>Velg fagområde fra menyen:</p> <p>Nevrologi</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><i>Nusinersen (Spinraza) 12 mg</i> <i>Risdiplam (Evrysdi)</i> <i>Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma)</i></p> <p>Se punkt 3.1 og 3.2</p>
<p>10.5 Prognose</p> <p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p>	<p>SMA er en arvelig sykdom som påvirker motonevronene. Alvorlighetsgraden varierer: Ubehandlet SMA type 1 fører ofte til død før fylte 2 år, type 2 gir rullestolavhengighet og ofte behov for pustestøtte og BPA, mens type 3 har stor variasjon fra gangfunksjon til assistansebehov som ved type 2. Type 4 gir vanligvis symptomer først i voksen alder. Sykdommen er progredierende uten årsaksrettet behandling.</p>

<p>10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen</p>	<p>Spinraza (nusinersen) inngår i dag som en del av standard behandling for spinal muskeltrofi (SMA) i Norge, sammen med risdiplam (Evrysdi) og onasemnogene abeparvovec (Zolgensma).</p> <p>Selv om betydelige fremskritt er oppnådd innen behandling av SMA, har sykdommen fortsatt høy sykdomsbyrde, og enkelte pasienter kan ha suboptimal behandlingsrespons på eksisterende behandlingstilbud.</p> <p>50 mg/28 mg-doseringsregimet av nusinersen representerer et videreutviklet doseringsregime av en allerede anbefalt sykdomsmodifiserende behandling.</p> <p>I DEVOTE-studien var regimet generelt godt tolerert, med et sikkerhetsbilde som er i samsvar med den kjente sikkerhetsprofilen for nusinersen 12 mg.</p> <p>Det regulatoriske godkjeningsgrunnlaget for 50 mg/28 mg-nusinersen omfatter både behandlingsnaive og tidligere behandlede pasienter, uavhengig av alder og SMA-type.</p> <p>I behandlingsalgoritmen innebærer dette at 50 mg/28 mg-regimet kan benyttes både ved behandlingsstart og som videreføring eller tilpasning av pågående sykdomsmodifiserende behandling, basert på klinisk vurdering.</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>Samme pasientgruppe som i dag er aktuelle for behandling med Spinraza 12mg: Nyfødte barn, eldre barn, unge voksne og voksne diagnostisert med 5q spinal muskeltrofi (SMA) type 1, type 2 eller type 3 SMA.</p>

* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	DEVOTE part A NCT04089566 (completed)	Devote part B NCT04089566 (completed)	Devote part C NCT04089566 (completed)
11.2 Studietype og -design	Open-label dose escalation study	Randomized, double-blinded study	Open-label study
11.3 Formål	Characterize safety and tolerability of the 28mg nusinersen regimen	Evaluation of the safety and efficacy of 50/28mg nusinersen in treatment-naïve infantile-onset (pivotal) and later-onset (supportive) participants	Safety and efficacy evaluation in children and adults with infantile-onset or later-onset SMA who transitioned from the 12/12mg to the 50/28mg regimen
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	Participants aged 2–15 years with SMA symptom onset at ≥6 months life expectancy > 2 years	Infantile onset SMA (N = 75) and later onset SMA (N = 24)	Participants were aged between 4 and 65 years and had been receiving the approved 12/12 mg dose of nusinersen
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Nusinersen 28/28mg Intrathecal injection	Nusinersen 50/28mg Intrathecal injection	Nusinersen 50/28mg Intrathecal injection

11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	None	ENDEAR matched sham DEVOTE 12/12mg	None
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Primary: Safety and tolerability of nusinersen based on The incidence of treatment-emergent AEs (TEAEs), including serious AEs, and clinical and laboratory safety parameters.	Primary: CHOP-INTEND (183) Other secondaries: CHOP-INTEND (302), HINE-2 (change) (302) Later-onset: HFMSE (302), RULM (302)	Primary: Adverse events and serious adverse events (302) Other secondary: HFMSE (302), RULM (302),
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	None	Infantile onset SMA and later onset SMA	Children and adults with infantile-onset or later-onset SMA
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</i>	302 days	302 days	302 days

<i>oppfølgingstid for studien</i>			
<p>11.10 Tidsperspektiv resultater</p> <p><i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i></p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>ONWARD (ongoing) - This study is an extension study enrolling participants who have completed treatment in the parent study (DEVOTE) – see poster below</p>	<p>ONWARD (ongoing) - This study is an extension study enrolling participants who have completed treatment in the parent study (DEVOTE) – see poster below</p>
<p>11.11 Publikasjoner</p> <p><i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i></p>	<p>Finkel RS, et al J Neuromuscul Dis. 2023;10(5):813-23</p>	<p>Finkel RS, et al. Nat Med. 2026 Mar;32(3):1095-1104. doi: 10.1038/s41591-025-04193-6. Epub 2026 Feb 3. Erratum in: Nat Med. 2026 Apr 23. doi: 10.1038/s41591-026-04415-5. PMID: 41634391; PMCID: PMC13004686.</p> <p>Crawford TO, et al. Poster 69 5th International Scientific Congress on Spinal Muscular Atrophy (SMA Europe) March 11–14, 2026 Budapest, Hungary (ONWARD part B)</p> <p>Crawford T; et al.,. 29th Annual Congress of the World Muscle Society; 8-12 October; Prague, Czechia 2024.</p> <p>Crawford TO, et al. Muscular Dystrophy Association (MDA) – Clinical and Scientific Conference, March 16–19, 2025. Dallas, TX, USA.</p>	<p>Finkel RS, et al. Nat Med. 2026 Mar;32(3):1095-1104. doi: 10.1038/s41591-025-04193-6. Epub 2026 Feb 3. Erratum in: Nat Med. 2026 Apr 23. doi: 10.1038/s41591-026-04415-5. PMID: 41634391; PMCID: PMC13004686</p> <p>Mercuri E, et al. Poster 70 5th International Scientific Congress on Spinal Muscular Atrophy (SMA Europe) March 11–14, 2026 Budapest, Hungary (ONWARD part C)</p> <p>Crawford T; et al.,. 29th Annual Congress of the World Muscle Society; 8-12 October; Prague, Czechia 2024.</p> <p>Crawford TO, et al. Muscular Dystrophy Association (MDA) – Clinical and Scientific Conference, March 16–19, 2025. Dallas, TX, USA.</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"/> ONWARD: Åpen forlengelsesstudie som inkluderer pasienter fra DEVOTE-studien. Se punkt 11.11. Estimated study completion: 31.07.2026
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 checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/>
13.2 Er testen etablert i klinisk praksis? <i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag? Ja <input checked="" 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	NA

14 Andre relevante opplysninger	
14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen? <i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i> <i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fagekspert i Nye metoder)</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Barnelege Sean Wallace; Rådsmøter og foredragsholder (ikke honorar)

<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>I den pivotale del B av DEVOTE-studien oppnådde 50 mg/28 mg-doseringsregimet av nusinersen sitt primære endepunkt hos pasienter med infantile-onset SMA. Ved dag 183 ble det observert en klinisk og statistisk signifikant forbedring i CHOP-INTEND-skår sammenlignet med den forhåndsspesifiserte matchete sham-kontrollgruppen fra ENDEAR (LSM-forskjell 26,19 poeng; 95 % KI 20,7–31,7; $p < 0,0001$).</p> <p>Studien var ikke dimensjonert for å påvise statistisk signifikante forskjeller mellom 50 mg/28 mg- og 12 mg-regimet. Likevel viste sekundære analyser gjennomgående numeriske forbedringer i favør av 50 mg/28 mg-regimet. Hos pasienter med infantile-onset SMA ble det observert numerisk bedre overlevelsesutfall, med en om lag 30 % reduksjon i risiko for død eller permanent ventilasjonsstøtte sammenlignet med 12 mg-regimet (event-free survival HR 0,70).</p> <p>Hos pasienter med senere debut av SMA viste motoriske funksjonsmål numeriske forbedringer i favør av 50 mg/28 mg-regimet sammenlignet med både behandlet og sham-kontroll. Endring i HFMSE-skår ved dag 302 var +3,3 poeng for 50 mg/28 mg-regimet, sammenlignet med +1,7 poeng for matchet 12 mg-regime og -0,3 poeng for sham-kontroll. Tilsvarende viste RULM-skår en gjennomsnittlig forbedring på +2,3 poeng for 50 mg/28 mg-regimet.</p> <p>I DEVOTE del C oppnådde pasienter som tidligere var behandlet med nusinersen 12 mg en gjennomsnittlig</p>

	<p>forbedring i motorisk funksjon etter overgang til 50 mg/28 mg-regimet, med en økning på 1,8 poeng i HFMSE og 1,2 poeng i RULM etter omtrent 10 måneders oppfølging.</p> <p>50 mg/28 mg-doseringsregimet av nusinersen var generelt godt tolerert. Rapporterte bivirkninger var i samsvar med SMA og den kjente sikkerhetsprofilen for nusinersen 12 mg, med lavere forekomst av alvorlige bivirkninger enn i 12 mg-gruppen. Det ble ikke rapportert behandlingsrelaterte seponeringer i DEVOTE-studien, og behandlingsrelaterte bivirkninger var hovedsakelig milde. Det ble ikke observert tilfeller av meningitt, hydrocefalus, nyresvikt eller leversvikt, og det ble ikke identifisert klinisk relevante endringer i hematologi, blodkjemi, urinstatus, koagulasjon, vitale parametere eller EKG.</p> <p>Nusinersen har i tillegg lang klinisk erfaring, med opptil ti års bruk og behandling av flere tusen pasienter globalt, noe som støtter en gunstig og godt tolerert langsiktig sikkerhetsprofil ved bruk av nusinersen hos pasienter med SMA.</p>
--	--

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no