

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: 09.05.2025

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Bayer AS
1.2 Navn kontaktperson	Kari Kollstad
1.3 Stilling kontaktperson	Reimbursement & Value Lead
1.4 Telefon	+47 97 65 45 10
1.5 E-post	kari.kollstad@bayer.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 ☐ En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon ☒ En ny styrke eller formulering ☐
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Anmodningen gjelder indikasjonsutvidelse til å inkludere pasienter ≥ 7 år (nåværende indikasjon inkluderer pasienter ≥ 12 år):

<i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i> <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>	Norsk: Behandling og profylakse av blødning hos tidligere behandlede pasienter ≥ 7 år med hemofili A (medfødt faktor VIII-mangel). Engelsk: Treatment and prophylaxis of bleeding in previously treated patients ≥ 7 years of age with haemophilia A (congenital factor VIII deficiency).
2.3 Handelsnavn	Jivi
2.4 Generisk navn/virkestoff	damoktokog alfa pegol
2.5 ATC-kode	ATC-kode: B02B D02.
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingsslengde</i> <i>Skriv kort</i>	Administrasjonsform: Injeksjonsvæske, oppløsning. Styrke: 500 IE, 1000 IE, 2000 IE, 3000 IE Dosering og varighet av substitusjonsbehandlingen avhenger av alvorlighetsgraden av faktor VIII-mangelen, lokalisering og omfang av blødningen og av pasientens kliniske tilstand. Forventet dosering: Behandling ved behov: Se nåværende SPC. Profylakse (fra draft SPC): Barn 7 til < 12 år: Til profylakse er dosen 40-60 IE/kg to ganger i uken. Anbefalt startdose er 60 IE/kg to ganger i uken.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Farmakoterapeutisk gruppe: Antihemoragika: Koagulasjonsfaktor VIII. Virkningsmekanisme: Hemofili A er en koagulasjonssykdom forårsaket av redusert nivå av eller mangel på faktor VIII. Ved substitusjonsbehandling økes plasmanivået av faktor VIII, og dermed oppnås en midlertidig korreksjon av faktormangelen og korreksjon av blødningstendensen. Damoktokog alfa pegol er en PEGylert form av rFVIII. Setespesifikk PEGylering reduserer clearance av faktor

	VIII, noe som fører til forlenget halveringstid, samtidig som de normale funksjonene til rFVIII-molekylet der B-domenet er fjernet, opprettholdes.
--	--

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 ☒ Nei ☐ ID-nummer: ID2018_020
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 ☒ Nei ☐ ID-nummer: Kovaltry (2016_035), Afstyla (2016_052), Elocta (ID2015_056), Esperoct (ID2018_098), Adynovi (ID2016_090) , Altuvoc (2024_029 – ikke innført).
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 ☐ Nei ☒ 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 ☒ Nei ☐ Dato for MT for første indikasjon: 22.11.2018
4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?	Ja ☒ Nei ☐
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 ☐ Nei ☒ Prosedyrenummer i EMA: EMA/H/C/004054/II/0034 Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): April 2025 Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Juni/Juli 2025

	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 ☐ Nei ☒ Beskrivelse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?	Ja ☐ Nei ☒
4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA? <i>Hvis ja, fyll ut dato</i>	Ja ☐ Nei ☒ Dato for «orphan drug designation»: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.

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 ☐ Nei ☒
--	---

6 Sammenlignbarhet og anbud

6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?	Ja ☒ Nei ☐ Kommentar: Av faktor VIII med forlenget halveringstid har Elocta og Esperoct indikasjon til bruk i alle aldersgrupper. Adynovi har indikasjon til bruk hos pasienter over 12 år.
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?	Ja ☒ Nei ☐ Legemiddel og ID-nummer: Elocta (ID2015_056), Esperoct (ID2018_098), Adynovi (ID2016_090).

Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder	
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja ☒ Nei ☐ Kommentar: Jivi er allerede inkludert i anskaffelse for blodkoagulasjonsfaktorer (avtale 2212).

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: Vi anser ikke en kostnad-per-QALY analyse til å være relevant i denne saken.

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	Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse til å inkludere pasienter ≥ 7 år (nåværende indikasjon inkluderer pasienter ≥ 12 år). En eventuell innføring av indikasjonsutvidelsen vil ikke påvirke antall pasienter som får behandling da det er annen behandling tilgjengelig for barn i denne aldersgruppen. I anskaffelse 2212 sammenlignes Jivi med følgende faktor VIII produkter med forlenget halveringstid (EHL): Adynovi, Elocta og Esperoct. Vi foreslår et prisnotat utarbeidet av Sykehusinnkjøp HF.

9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Ikke relevant.
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>	Ikke relevant.
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Ikke relevant. En eventuell innføring av indikasjonsutvidelsen vil ikke påvirke antall pasienter som får behandling da det er annen behandling tilgjengelig.
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>	Mai/Juni 2025

10 Sykdommen og eksisterende behandling	
10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon <i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptom bilde, eventuelt inkl. referanser</i>	Hemofili A forårsakes av nedsatt nivå eller mangel på koagulasjonsfaktor VIII (FVIII). Det er en X-kromosombundet, recessiv sykdom som nesten kun rammer menn. Pasientene får økt blødningstendens med også tilsynelatende spontane blødninger. Typiske symptomer er blødninger i fot-, kne- eller albuledd, men også andre og livstruende blødninger kan oppstå. Hvis de ikke blir korrekt behandlet, utvikler mange pasienter alvorlige leddskader og invaliditet med redusert livskvalitet og forkortet livslengde. Referanse: Berntorp E, Fischer K, Hart DP, Mancuso ME, Stephensen D, Shapiro AD, Blanchette V. Haemophilia. Nat Rev Dis Primers. 2021 Jun 24;7(1):45. doi: 10.1038/s41572-021-00278-x. PMID: 34168126.

10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Blodsykdommer
10.3 Kreftområde <i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i>	Velg kreftområde fra menyen: Velg et element.
10.4 Dagens behandling <i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i>	Pasienter med alvorlige former for hemofili A behandles forebyggende med regelmessige intravenøse injeksjoner av rekombinant DNA-fremstilt FVIII. Mildere former behandles ved behov med FVIII eller med desmopressin. Behandlingen i Norge følger retningslinjer utarbeidet i Norden samt internasjonalt. Referanser: -Nordic Haemophilia Guidelines for Haemophilia 2024 (https://guidelines.nordhemophilia.org/hemophilia/) -Srivastava A, Santagostino E, Dougall A, Kitchen S, Sutherland M, Pipe SW, Carcao M, Mahlangu J, Ragni MV, Windyga J, Llinás A, Goddard NJ, Mohan R, Poonnoose PM, Feldman BM, Lewis SZ, van den Berg HM, Pierce GF; WFH Guidelines for the Management of Hemophilia panelists and co-authors. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia. 2020 Aug;26 Suppl 6:1-158. doi: 10.1111/hae.14046. Epub 2020 Aug 3. Erratum in: Haemophilia. 2021 Jul;27(4):699. doi: 10.1111/hae.14308. PMID: 32744769.
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Pasienter som får adekvat behandling kan leve nesten et normalt liv med normal livslengde. De har kun sporadiske blødninger, hovedsakelig ved traumer, og utvikler få leddskader. Dette gjelder pasienter i Norge og enkelte andre land, men i store deler av verden utvikler pasientene blødninger med alvorlig invaliditet og forkortet livslengde som følge av utilstrekkelig behandling. Se referanser i 10.4.
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Med indikasjonsutvidelsen kan Jivi også gis til barn i alderen 7 til <12 år og ikke kun til pasienter fra 12 års alder som ved nåværende indikasjon.

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>	Cirka 150 pasienter omfattas av indikasjonen (beregningen inkluderer alvorlig/moderat hemofili A i alle aldersgrupper). 20 pasienter antas være aktuelle for indikasjonsutvidelsen (dvs. barn i alderen 7 til <12 år). Kohorten mild hemofili A er omtrent like stor som alvorlig/moderat, men et fåtall har behov for FVIII behandling, hovedsaklig i forbindelse med kirurgiske inngrep.

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	Alfa-Protect (A Phase 3, Single Group Treatment, Open-label, Study to Evaluate the Safety of BAY 94-9027 Infusions for Prophylaxis and Treatment of Bleeding in Previously Treated Children Aged 7 to <12 Years With Severe Hemophilia A) NCT05147662	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.2 Studietype og -design	Åpen, fase 3, enkeltgruppestudie	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	Studere sikkerhet og tolerabilitet hos barn i alderen 7 til <12 år	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>	Inklusjonskriterier: -Alvorlig hemofili A (FVIII nivå <1%) -Vært eksponert for minst 50 behandlingsdager med FVIII (previously treated patients) Eksklusjonskriterier: -Forekomst eller historikk med inhibitorer mot FVIII -Forekomst av annen ervervet eller medfødt blødningsforstyrrelse	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>	Hovedstudie (Del A) og ekstensjonsstudie (Del B) Del A varer i 6 måneder og deretter forlenges studien i ytterligere 18 måneder. Del A: 40 IE/kg (opp til 60 IE/kg etter utprøvers vurdering), to ganger i uken (2x/uke) Del B: Fortsetter behandlingen som i del A, men utprøver kan endre dosering avhengig av kliniske omstendigheter til hver 5. dag med en dose på 60 IE/kg	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>	Ikke aktuell	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>	Primær, sikkerhet: Tolerabilitet (Overfølsomhet og tap av effekt de 4 første eksponeringsdagene som leder til avsluttet behandling) Sekundær, effektmål: Antall årlige blødninger (ABR) Andre sekundære endepunkt: -Bivirkninger (Adverse drug reactions, ADRs) -Antistoffutvikling mot produkt (Anti-drug antibodies, ADA) -Antall deltagere med bekreftet faktor VIII inhibitorer -Forbruk av produkt -Antall infusjoner/måned og år (Annualized Infusion Rate) Følges i 6 måneder med utvidelse til 24 måneder	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>	Ikke aktuell	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>	Del A (hovedstudie): 6 mnd oppfølging. Denne delen av studien er avsluttet. Data er tilgjengelig. Del B: (ekstensjonsstudie): Ytterligere 18 mnd oppfølging. Denne delen av studien pågår. Estimert ferdigstillelse i mai 2025.	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>	Del A er avsluttet. Del B forventes ferdigstilt i mai 2025.	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>	Publikasjon av resultater for del A forventes i 2025, og for del B i 2026	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 ☒ Nei ☐ Del B av Alfa-Protect er pågående, med estimert ferdigstillelse i mai 2025.
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja ☐ Nei ☒ 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 ☒ Nei ☐
13.2 Er testen etablert i klinisk praksis? <i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i>	Ja ☒ Nei ☐ Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag? Ja ☒ Nei ☐
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	
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 fageksperter i Nye metoder)</i>	Ja ☐ Nei ☒ Vi har ikke vært i kontakt med norske klinikere i forbindelse med dette anmodningsskjemaet.
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? <i>Hvis ja, begrunn kort.</i> <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> <i>Nærmere informasjon og skjema:</i>	Ja ☐ Nei ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HE	
14.3 Andre relevante opplysninger?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no