

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2025_027
Handelsnavn (virkestoff)	Elevidys (delandistrogene moxeparvovec)
Virkningsmekanisme	Genterapi
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder et nytt virkestoff. Legemidlet har ikke markedsføringstillatelse (MT) i Europa, men er til vurdering hos det Europeiske legemiddelbyrået (EMA). Anmoder angir at forventet tidspunkt for opinion i EMA er november 2025.
Mulig indikasjon	Behandling av Duchennes muskeldystrofi hos ambulerende pasienter i alderen 4 – 7 års alder.
Forventet dosering	Administreres som intravenøs infusjon, engangs administrasjon. Forventet dosering er $1,33 \times 10^{14}$ vektorgenomer per kilogram (vg/kg) kroppsvekt for pasienter som veier mellom 10 og 70 kg.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Roche Norge A/S
Bakgrunn	Ingen årsaksrettet behandling er per i dag godkjent i Europa til behandling av Duchennes muskeldystrofi. Innspill fra en norsk kliniker til Bestillerforum forteller at nåværende standardbehandling er glukokortikoider (prednisolon eller deflazakort) for å forlenge gående fase, ACE-hemmer for å forebygge hjertesykdom, lungestøttende behandling og annen tverrfaglig oppfølging av symptomer og tilrettelegging. Effekt og sikkerhet av delandistrogene moxeparvovec er undersøkt i den randomiserte, dobbeltblinde, placebokontrollerte fase-3 studien EMBARK. Studien består av del 1 (52 uker) og del 2 (52 uker), etterfulgt av en åpen oppfølgingsstudie på minst 5 år. Primært endepunkt i studien var endring i North Star Ambulatory Assessment (NSAA)-skår fra baseline til 52 uker. Resultater fra del 1 er publisert, og primært endepunkt ble ikke møtt. Pasientene som fikk placebo i del 1, får tilbud om behandling med genterapi i del 2 (crossover).
Preliminær PICO¹	P: I tråd med endelig godkjent indikasjon. I: Delandistrogene moxeparvovec brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtale. C: Dagens standardbehandling. O: Utvikling, overlevelse, helserelatert livskvalitet, sikkerhet, ressursbruk.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Anmoder ønsker å sende inn dokumentasjon til en kostnad-per-QALY analyse, hvor framskriving av effekt og sikkerhet gjøres i to trinn. Relativ effekt og sikkerhet for de første 52 ukene i analysen baserer seg på studiedata for intervensjon og komparator fra del 1 av den placebokontrollerte EMBARK studien. For perioden etter 52 uker vil det være nødvendig med en evidenssyntese hvor intervensjonsarmen (del 2 av EMBARK studien (52 ekstra ukers oppfølgingstid) og/eller fase 1-studien ENDEAVOR (med inntil 160 ukers oppfølgingstid)

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

	sammenlignes med data fra «en ekstern kontrollgruppe basert på naturalhistorie matchet ved hjelp av tilbøyelighetsanalyser». DMP vurderer at det er ønskelig med en kostnad-per-QALY analyse, men ettersom hverken kilden for den eksterne kontrollgruppen eller metodikken for evidenssyntesen er nærmere beskrevet i anmodningen, har ikke DMP mulighet til å vurdere om den foreslåtte evidenssyntesen er egnet som input og grunnlag for en kostnad-per-QALY analyse i dette tilfellet. Det framkommer ikke hvor modne effekt- og sikkerhetsdata for intervensjonen vil være på forespeilet tidspunkt for innsendelse.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. På grunn av begrenset informasjon i anmodningen, har DMP liten mulighet til å vurdere hvorvidt dokumentasjonen som planlegges innsendt er egnet for en metodevurdering med tilhørende helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse). DMP foreslår at det bestilles en metodevurdering med helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte analyse), med oppfordring om at leverandør avtaler et formøte med DMP før dokumentasjon sendes inn. Hensikten med formøtet er å fastsette PICO og få klarhet i hvilken dokumentasjon for relativ effekt som skal ligge til grunn for innsendelsen.

Versjonslogg*

Dato	Hva
13.05.2025	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. Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.	