

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/leverandorer)

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: 27.06.2025

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	Market Access Manager
1.4 Telefon	+47 40 45 11 38
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 ☐ En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon ☒ En ny styrke eller formulering ☐
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	<i>Winrevair, in combination with other pulmonary arterial hypertension (PAH) therapies, is indicated for the long-term treatment of PAH in adult patients with WHO Functional Class (FC) II, III, and IV.</i>

<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>	Winrevair, i kombinasjon med annen behandling av PAH, er indisert til langtidsbehandling av PAH hos boksne pasienter med WHO funksjonsklasse (FC) II, III og IV
2.3 Handelsnavn	Winrevair™
2.4 Generisk navn/virkestoff	Sotatercept
2.5 ATC-kode	C02K X06
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingsslengde</i> <i>Skriv kort</i>	Pulver og væske til injeksjonsvæske, oppløsning Subkutan administrasjon Vektbasert dosering hver 3. uke Opptil 67,4 kg 1x45 mg 67,5 til 88,9 kg 1x60 mg 90 til 131,7 kg 2x45 mg 131,8kg – 2x60 mg
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Farmakoterapeutisk gruppe: Behandling av pulmonal arteriell hypertensjon (PAH). Virkningsmekanisme: Sotatercept er den første og eneste aktivinsignalhemmeren (ASI), som virker ved å modulere vaskulær celleproliferasjon og som mulig kan føre til revers remodelering av høyre ventrikel og således være sykdomsmodifiserende. Sotatercept består av et rekombinant homodimerisk aktivinreseptor type IIA-Fc (ActRIIA-Fc) fusion protein som fanger overskudds-aktivin A og andre ligander for ActRIIA-Fc. Som et resultat vil sotatercept re-balansere ActRIIA/Smad2/3-medierte pro-proliferative og anti-proliferative BMPRII/Smad1/5/8-medierte signaler, og modulere vaskulær proliferasjon, som er kjennetegnet ved PAH.

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: ID2024_030
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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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: Sverige Winrevair (sotatercept) - Samverkanläkemedel og Danmark Sotatercept - Pulmonal arteriel hypertension (PAH) Vedrørende punkt 4. under så vil legemidlet inneha en omforent MT for PAH FC II til IV. Tidligere gitt MT omhandlet PAH FC II til III.

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: 22.08.2024
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/VR/0000278021 Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Februar/mars 2026 Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år):

	April/mai 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 ☐ 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: Sotatercept har en virkningsmekanisme som er på utsiden av hittidige PAH-legemidler med vasodilaterende virkningsmekanisme.
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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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: Ja, anbud for produkter med generisk konkurranse, direkte kontrakter for de uten generisk konkurranse (LIS2414)

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: Ulike lanseringstidspunkt i nordiske land.

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	Det har ikke vært levert helseøkonomiske analyser for noen andre PAH legemidler. PAH er en sykdom som rammer få pasienter, har høy alvorlighet og der det er stort medisinsk behov. MSD kan levere en kostnad-per QALY analyse basert på resultater fra Stellar (FC II og III) og Zenith (FC III og IV) studiene hvor helseeffekter og kostnader for pasientgrupper på behandling med sotatercept+dagens standardbehandling vs dagens standardbehandling analyseres i en Markov modell. Markov modellen er basert på resultater i Stellar og Zenith studiene av kliniske utfallsmål og pasienters forflytning mellom risikostrata i henhold til oppdaterte kriterier i 2022 ESC/ERS guidelines (low,

	intermediate-low, intermediate-high og high risk). Fra tidligere innsendt anmodningsskjema ID2024_030 og lesning av kommentarer fra DMP og kliniker anser MSD at forestilt bruk også vil kunne være som erstatning for øvrig bruk av PAH legemidler. DMP har i prosessen for ID2024_030 stilt spørsmål ved om hovedutfallsmålet og modellering basert på dette. MSD har aldri hatt til hensikt å levere en helseøkonomisk analyse basert på 6-minuttersgangtest som var hovedutfallsmålet i Stellar studien. MSD håper at DMP vil anse at det omforente studiematerialet fra Stellar og Zenith kan brukes i en Markov modell. Zenith hadde tid til død eller klinisk forverring som hovedutfallsmål (sekundært utfallsmål i Stellar). Følgelig vil også overlevelse modelleres i det foreslåtte rammeverket fra MSD. I tråd med diskusjonen i sakspapirene for ID2024_030 vil MSD også levere analyse som sammenligner indirekte mot prostasyklin IP-reseptoragonist, seleksipag. Denne analysen vil ta som utgangspunkt å utsette tiden til oppstart med prostasyklin-analog, treprostiniil. Tilsvarende vil en analyse også se på effekten av å legge til enten sotatercept eller prostasyklin-analog for pasienter som står på behandling med seleksipag.
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	1. PAH pasienter med funksjonsklasse II, III og IV som står på standardbehandling, 2. PAH pasienter med funksjonsklasse II, III og IV som står på standardbehandling med eller uten tillegg av seleksipag, 3. PAH pasienter med med funksjonsklasse II, III og IV som står på standardbehandling med eller uten tillegg av prostasyklin-analog.
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>	1. Stellar og Zenith studiene H2H mot standardbehandling: Sotatercept + SOC vs SOC 2. Indirekte sammenligning mot prostasyklin IP-reseptoragonist: Sotatercept + SOC vs seleksipag + SOC 3. Indirekte sammenligning mot prostasyklin-analog: Sotatercept + SOC vs Treprostiniil + SOC for pasienter som star på seleksipag.

9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	MSD anser at ny indikasjon som også omfatter funksjonsklasse IV vil kunne medføre et noe økt anslag for pasienter som er aktuelle for behandling med sotatercept. Anslagsvis vil dette kunne omfatte 15-30 pasienter med en årlig behandlingskostnad 30-60 mio kr angitt ved listepreis og før diskusjoner om konfidensiell rabatt.
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>	November/desember 2025

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>	Pulmonal arteriell hypertensjon (PAH) er en alvorlig, sjelden sykdom som er progredierende og rammer personer i alle aldre og kjønn, men særlig forholdsvis unge mennesker, rundt 50 år, hvor omtrent 2/3 er kvinner. Sykdommen kjennetegnes ved høyt trykk i lungearteriene, som kan føre til høyresiden hjertesvikt og tidlig død. (1,2,3) Årsaken til det høye trykket i lungearteriene skyldes hovedsakelig pulmonal vaskulær proliferasjon, som gir patologisk remodelering av arterieveggen og av høyre ventrikel, noe som gir forsnævring i lungearteriene. PAH klassifiseres som pulmonal hypertensjon (PH) gruppe 1 ifølge WHO-klassifisering. I de andre PH-gruppene skyldes høyt trykk i lungekretsløpet sykdommer i venstreside av hjertet (gruppe 2), kronisk lungesykdommer som kols (gruppe 3), kronisk tromboemboli i lungene (gruppe 4) og andre sykdommer (gruppe 5). (3) PAH kan være idiopatisk eller assosiert med bindevevssykdom (f.eks. systemisk sklerose), medfødt hjertesykdom, HIV og portvenesykdom, eller induisert av legemidler og toksiske substanser. (3) Tidlige symptomer av PAH kan være tungpusthet eller fatigue. Siden PAH er en sjelden sykdom, er diagnosen

	ofte stilt sent i forløpet, ca 82% er i WHO FC 3-4 når diagnosen settes. (2) Røntgen thorax kan vise forstørret hjerte. Hjerterultralud kan påvise høy belastning på høyreside av hjertet. Gullstandarden for diagnosen er høyresidig hjertekateterisering (RHC) som i Norge utføres på universitetssykehus og noen andre sykehus. Nåværende behandling består av medikamenter som dilaterer arterier, samt trening/rehabilitering. (3) Referanser 1. Humbert M, et al. 2022 ESC/ERS Guidelines for the diagnosis and treatment of pulmonary hypertension. Eur Heart J. 2022;43(38):3618-3731 2. Svensk Förening För Pulmonell Hypertension, Swedish Pulmonary Arterial Hypertension Registry Annual Report 2022. 3. Andreassen, A. K. (2023). Pulmonal arteriell hypertensjon. Hjerteforum 36(4): 16-26.
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Hjerte- og karsykdommer
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>	Oversikten er basert på artikkel i Hjerteforum 4/2023/36 av Arne Andreassen. Spesifikke PAH-medikamenter er gjengitt i tabellen under. Ved undersøkelse av vasoreaktivitet vil 5-10 % av idiopatisk PAH (IPAH)-pasientene være «responder». De vil kunne foreskrives høydose kalsiumblokade med vedvarende reduksjon/normalisering av trykk og med svært gode leveutsikter. «Non-responderne» trenger andre legemidler. Per i dag er det norsk godkjenning for fem typer av medikamenter med innvirkning på tre dysfunksjonelle signalveier ved PAH.

	Støttebehandling Influensa- og pneumokokk-vaksine, psykososial hjelp og supervisert fysisk trening er tiltak anbefalt for alle med PAH. Tilleggsbehandling inkluderer oksygen per nesekateter ved PaO2-verdier vedvarende < 85-90 %. Korreksjon av jernmangel eller anemi og diuretikabehandling etter behov. Antikoagulasjon med warfarin eller nye perorale antikoagulasjonsmidler (NOAK) var tidligere en generell anbefaling, men er nå mindre brukt grunnet blødningsrisiko.																												
	<table><tr><th>Medikament</th><th>Generisk navn</th><th>NYHA-klasse</th></tr><tr><td rowspan="3">Prostasyklin-analoger</td><td>Epoprostenol</td><td>III, IV</td></tr><tr><td>Treprostinil</td><td>III</td></tr><tr><td>Iloprost</td><td>III, IV</td></tr><tr><td>Prostasyklin IP-reseptor-agonister</td><td>Selexipag</td><td>II, III</td></tr><tr><td rowspan="3">Endotelin-reseptor-antagonister</td><td>Bosentan</td><td>II, III</td></tr><tr><td>Ambrisentan</td><td>II, III</td></tr><tr><td>Macitentan</td><td>II, III</td></tr><tr><td rowspan="2">PDE-5-inhibitorer</td><td>Sildenafil</td><td>II, III</td></tr><tr><td>Tadalafil</td><td>II, III</td></tr><tr><td>Løselig guanylat syklase-stimulator</td><td>Riociguat</td><td>II, III</td></tr></table>	Medikament	Generisk navn	NYHA-klasse	Prostasyklin-analoger	Epoprostenol	III, IV	Treprostinil	III	Iloprost	III, IV	Prostasyklin IP-reseptor-agonister	Selexipag	II, III	Endotelin-reseptor-antagonister	Bosentan	II, III	Ambrisentan	II, III	Macitentan	II, III	PDE-5-inhibitorer	Sildenafil	II, III	Tadalafil	II, III	Løselig guanylat syklase-stimulator	Riociguat	II, III
Medikament	Generisk navn	NYHA-klasse																											
Prostasyklin-analoger	Epoprostenol	III, IV																											
	Treprostinil	III																											
	Iloprost	III, IV																											
Prostasyklin IP-reseptor-agonister	Selexipag	II, III																											
Endotelin-reseptor-antagonister	Bosentan	II, III																											
	Ambrisentan	II, III																											
	Macitentan	II, III																											
PDE-5-inhibitorer	Sildenafil	II, III																											
	Tadalafil	II, III																											
Løselig guanylat syklase-stimulator	Riociguat	II, III																											
10.5 Prognose Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse	50-60% etter 5 år, med variasjon etter risikogruppe, Artikkel til A. Andreassen angir følgende oversikt for 1. års overlevelse: FC I/II: Lav risiko (<5%) FC III: Intermediær risiko, 5-20% dødelighet FC IV: Høy risiko, 20% dødelighet																												

10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	I tillegg til standardbehandling.
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>	Ifølge 2022 ESC/ERS guidelines er insidens og prevalens i industrialiserte land hhv ca. 6 og 48-55 per million voksne. (1) Omregnet til antall pasienter i Norge antar MSD rundt 210-242 pasienter med PAH (SSB: 4,4 millioner voksne i 2024). Behandling med sotatercept vil være aktuell når standard dobbel- eller trippelbehandling ikke gir ønsket effekt. Antall pasienter dette gjelder antas å være 15-30 pasienter årlig. Referanse: 1.Humbert M, et al. 2022 ESC/ERS Guidelines for the diagnosis and treatment of pulmonary hypertension. Eur Heart J. 2022;43(38):3618-3731

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	Stellar Study Details A Study of Sotatercept for the Treatment of Pulmonary Arterial Hypertension (MK-7962-003/A011-11)(STELLAR) ClinicalTrials.gov	Zenith Study Details A Study of Sotatercept in Participants With PAH WHO FC III or FC IV at High Risk of Mortality (MK-7962-006/ZENITH) ClinicalTrials.gov	Soteria Study Details A Long-term Follow-up Study of Sotatercept for PAH Treatment (MK-7962-004/A011-12) ClinicalTrials.gov
11.2 Studietype og -design	Phase 3, Multicentre, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study	Phase 3, Multicentre, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study	Open-label extension åpen for pasienter fra studiene for sotarcept

11.3 Formål	To Compare the Efficacy and Safety of Sotatercept Versus Placebo When Added to Background Pulmonary Arterial Hypertension (PAH) Therapy for the Treatment of PAH	To Evaluate Sotatercept When Added to Maximum Tolerated Background Therapy in Participants With Pulmonary Arterial Hypertension (PAH) World Health Organization (WHO) Functional Class (FC) III or FC IV at High Risk Mortality	To assess the long-term safety, tolerability, and efficacy of sotatercept
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	Participants With PAH WHO FC II or FC III	Participants With PAH WHO FC III or FC IV	Pasienter fra andre studier av sotatercept, herunder Stellar og Zenith studiene.
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Subcutaneous sotatercept Starting dose 0.3 mg/kg, target dose 0.7 mg/kg every 3 weeks	Subcutaneous sotatercept Starting dose 0.3 mg/kg, target dose 0.7 mg/kg every 3 weeks	Subcutaneous sotatercept Starting dose 0.3 mg/kg for pasienter tidligere på placebo, target dose 0.7 mg/kg every 3 weeks for pasienter tidligere randomisert til sotarcept og for pasienter som tidligere var randomisert til placebo.
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Placebo	Placebo	Ingen
11.7 Endepunkter	Primary: Change from baseline at week 24 in the 6-minute walk distance.	Primary: Time to First Confirmed Morbidity or	Primary: Number of Participants Who

<i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Secondary: Multicomponent improvement, change in pulmonary vascular resistance, change in N-terminal pro-B-type natriuretic peptide level, improvement in WHO functional class, time to death or clinical worsening, French risk score, changes in the PAH-SYMPACT Physical Impacts, Cardiopulmonary Symptoms, and Cognitive/Emotional Impacts domain scores	Mortality Event, Up to approximately 31 months Secondary: Overall survival (OS), Transplant-Free Survival, Percentage of Participants Who Experienced a Mortality Event, Change From Baseline in REVEAL Lite 2 Risk Score at Week 24, Percentage of Participants Achieving a Low or Intermediate (≤ 7) REVEAL Lite 2 Risk Score at Week 24, Change From Baseline in NT-proBNP levels at Week 24, Change From Baseline in Mean Pulmonary Artery Pressure (mPAP) at Week 24, Change From Baseline in Pulmonary Vascular Resistance (PVR), Percentage of Participants Who Improve in WHO FC, Change From Baseline in 6-MWD at Week 24, Change From Baseline in Cardiac Output (CO) at Week 24, Change From Baseline in EuroQoL-5 Dimensions Scale 5 Levels (EQ-5D-5L) Index Score at Week 24	Experience an Adverse Event (AE) Number of Participants Who Discontinue Study Treatment Due to an AE Number of Participants with Detectable Anti-Drug Antibodies (ADAs) Laboratory parameters (Hematology): Concentration of Red Blood Cell Count, White Blood Cell Count, Platelet Count, Hemoglobin and Hematocrit Laboratory parameters (Chemistry): Concentration of Blood Urea, Creatinine, Total Bilirubin, Direct Bilirubin, AST, ALT, ALP, Sodium, Potassium, Chloride, Calcium, Phosphorous, Glucose, Magnesium, Carbon Dioxide, and Albumin Change From Baseline in Body Weight Change From Baseline in Blood Pressure Change From Baseline in Electrocardiogram (ECG)
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	Predefined subgroups: Sex (male and female), Known pathological mutations (including	Predined subgroups: Age (<65 <i>versus</i> ≥ 65 years), sex (male <i>versus</i> female), PAH etiology	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	BMPR2 mutation) vs Wild Type at baseline, PAH Etiological Subgroups (iPAH, hPAH (heritable PAH), Drug/Toxin, Connective Tissue Disease, congenital heart disease with s/p Shunt Repair), Monotherapy vs Double vs Triple combination therapy at baseline, Prostacyclin Infusion Therapy vs Non-Prostacyclin Infusion at baseline, WHO functional class (II or III), Baseline PVR (≤ 800 or > 800 dyne*sec/cm⁵ at baseline) The magnitude of the treatment effect on 6-minute walk distance was similar across most prespecified subgroups.	(CTD <i>versus</i> non-CTD subtype), World Health Organization functional class (WHO-FC) (III <i>versus</i> IV), REVEAL Lite 2 risk score (9-10 <i>versus</i> ≥ 11), background PAH therapy (double <i>versus</i> triple), prostacyclin infusion therapy (yes <i>versus</i> no), PVR (≤ 800 <i>versus</i> > 800 dyn·s·cm⁻⁵), and eGFR (30-60 <i>versus</i> > 60 mL/min/1.73m²).	
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>	24 weeks Followed by an open-label extension, see same third column.	Data foreligger for primærendepunktet opp til ~25 mnd, pasienter fikk mulighet til å gå over i en open-label extension	Opp til 50 måneder

11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Avsluttet	Avsluttet	Pågående, ventes avsluttet ila 2026
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Humbert M, et al. Sotatercept for the Treatment of Pulmonary Arterial Hypertension. N Engl J Med. 2021;384(13):1204-1215. doi:10.1056/NEJMoa2024277 https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2024277	Humbert M, et al. Sotatercept in patients with pulmonary arterial hypertension at high risk for death. New England Journal of Medicine. 2025 May 29;392(20):1987-2000. Sotatercept in Patients with Pulmonary Arterial Hypertension at High Risk for Death New England Journal of Medicine	Preston IR, et al. A long-term follow-up study of sotatercept for treatment of pulmonary arterial hypertension: interim results of SOTERIA. European Respiratory Journal. 2025 Feb 20. A Long-Term Follow-Up Study of Sotatercept for Treatment of Pulmonary Arterial Hypertension: Interim Results of SOTERIA European Respiratory Society

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 ☐ HYPERION: A phase 3, randomized, double-blind, placebo-controlled study to evaluate sotatercept on top of background PAH therapy in newly diagnosed intermediate- or high-risk adult participants with PAH (WHO FC II or III) https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04811092 Timing when study results came IA Q2-2025. Final analysis Q3-2026. SOTERIA: A phase 3, open-label, long-term, follow-up study to evaluate sotatercept on top of background PAH therapy in adult participants with PAH who have completed prior sotatercept studies https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04796337

	First IA Q3 2023, future data cuts biannually. MOONBEAM: A phase 2, single arm, open-label study to evaluate the safety, tolerability, pharmacokinetics, and pharmacodynamics of sotatercept in children from ≥ 1 to < 18 years of age with PAH WHO FC I on standard of care therapy. https://clinicaltrials.gov/study/NCT05587712 Timing when study results are expected. Q3-2028. I øvrig omtalte anmodningsskjema for ID2024_030 Pulsar studien en randomisert placebokontrollert fase II studie. Study Details A Study of Sotatercept for the Treatment of Pulmonary Arterial Hypertension (PAH) ClinicalTrials.gov
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja ☒ Nei ☐ CADENCE: A phase 2, randomized, double-blind, placebo-controlled study to evaluate sotatercept on top of background heart failure therapy in adult participants with combined Cpc-PH due to HFpEF with NYHA FC II or III https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04945460

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	Nei, ingen annen/ny infrastruktur kreves

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 ☐ Einar Gude ved Rikshospitalet, for opplæring i PAH
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> Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF	Ja ☒ Nei ☐ Forhold ved en vektbasert dosering kan tilsi at en flat rabatt ikke er ønskelig. MSD er åpne for en prisavtale for at legemidlet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene.
14.3 Andre relevante opplysninger?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no