

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: 05.08.2025

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Gilead Sciences
1.2 Navn kontaktperson	Erik A. Stene
1.3 Stilling kontaktperson	Associate Director Market Access Norway/Nordics
1.4 Telefon	94797210
1.5 E-post	erik.stene@gilead.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?	Lyvdelzi er indisert til behandling av primær biliær kolangitt (PBC) i kombinasjon med ursodeoksykolsyre (UDCA) hos voksne som har utilstrekkelig respons på

<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>	UDCA alene, eller som monoterapi hos voksne som ikke tåler UDCA.
2.3 Handelsnavn	Lyvdelzi
2.4 Generisk navn/virkestoff	Seladelpar
2.5 ATC-kode	A05AX07
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i> <i>Skriv kort</i>	Kapsel 10 mg/stk. Dosering 10 mg en gang daglig.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Seladelpar is a selective PPAR-delta agonist. Expressed in hepatocytes, Kupffer cells, and hepatic stellate cells, PPAR-delta activation is associated with reduced bile acid synthesis, suppression of inflammatory cytokines, and inhibition of hepatic stellate cell proliferation and activation, among other important metabolic effects.

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_077
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: 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: 20.02.2025
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: EU/1/24/1898/001 Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst. Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst. Hvis metoden har MT: Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: 20.02.2025
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: Gilead shall results from a study evaluating the long-term effectiveness and safety of Lyvdelzi in patients with primary biliary cholangitis. Every year, the Agency will review any new information that becomes available (https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/lyvdelzi)

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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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 ☐ Nei ☒ Legemiddel og ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja ☐ Nei ☒ 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 ☐ Nei ☒ Begrunnelse: Nei, planene er å søke i bare Norge og Sverige, og systemene for refusjon av denne type legemiddel er veldig ulikt i Norge og Sverige.
---	---

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

We propose that seladelpar undergoes a cost-utility analysis as a third line alternative after UDCA in first line and bezafibrate as second line options, often referred to as "løp C" in Norway. This since no other evaluations have been done within this field, and cost-effectiveness should be established.

9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.

Expected population based on RESPONSE, but as a thirdline alternative after bezafibrate. We expect 3-6 new patients per year for Lyvdelzi.

9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.)

Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.

Head-to-head (vs. UDCA monotherapy/no treatment), as per the clinical study comparator. The study data are relevant since Lyvdelzi will be used among patients who does not have necessary effect or unacceptable side effects from bezafibrate. With this positioning, bezafibrate is not a comparator.

9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.

Vi forventer budget impact i 2030 på 6-8 mill. kr til listepriis.

9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF.

Tidspunkt må oppgis

Vi kan levere dokumentasjon i november 2025 hvis Bestillerforum bestiller Lyvdelzi helseøkonomisk analyse i tredjelinje i oktober 2025.

10 Sykdommen og eksisterende behandling	
10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon <i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i>	PBC is a rare, progressive, chronic autoimmune disease of the liver, characterised by the slow destruction of small intrahepatic bile ducts [3,7]. This prevents the flow of bile, causing it to build up in the liver in a process known as cholestasis, which leads to scarring of the liver (fibrosis) and can progress to severe scarring (cirrhosis), liver failure and death [1]. Many patients with PBC are asymptomatic at diagnosis, but usually accumulate a range of symptoms and comorbidities as the disease progresses [3,8,9]. These include pruritus, fatigue, bone ache, depression and cognitive dysfunction, with pruritus (itching) and fatigue being the most common symptoms and affecting up to 70% and 80% of patients, respectively [4-7]. End-stage PBC is associated with progressive jaundice, malnutrition, portal hypertension and liver failure, which can lead to premature death in the absence of a liver transplant [14]. Patients with PBC experience a significant humanistic burden from diagnosis through to end-stage disease, and the high symptom burden can significantly impact both patients' health-related quality of life (HRQoL) as well as the ability to perform activities of daily living [8,9]. Pruritus, which is present in up to 80% of patients with PBC, can affect the whole body and be severe and disabling. Severe pruritus may also limit daily activities, disrupt sleep, and cause fatigue, depression and even suicidal tendencies, with patients with clinically significant pruritus reporting worse QoL than those with more mild pruritus.
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Immunologi
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>	UDCA is the only available first-line treatment for PBC, and the backbone of later lines of treatment. Several qualitative scoring systems have been developed to assess biochemical response to treatment in patients with PBC, of which both the Paris-II and Toronto scoring systems are used in Norway [1]. In some

	hospitals, response is assessed using other sets of criteria (which are all in accordance with the European Association for the Study of the Liver [EASL] Clinical Practice Guidelines for PBC) [1]. There is no consensus definition for an "inadequate response", but regardless of the response criteria/definition used, the response assessment is generally done after 1 year. If the patient's response to UDCA is evaluated positive, the patient continues with regular follow-up visits. However, up to 5% of patients are intolerant to UDCA, and about 30-40% of PBC patients in Norway would be assessed to have an inadequate response to first-line UDCA (depending on the response definition used) [10-12]. For patients who have an inadequate response to or do not tolerate UDCA, the only currently licensed second-line therapy for PBC is obeticholic acid (Ocaliva), which previously could be prescribed on H-prescription in Norway [11,13]. In patients who have an inadequate response to UDCA, Ocaliva is administered in combination with UDCA, while it is used as monotherapy in patients intolerant to UDCA [18]. However, there is an ongoing process in EMA regarding potential withdrawal of marketing authorization of Ocaliva: https://www.dmp.no/nyheter/ocalivas-markedsfoeringstillatelse-trekkes-tilbake. In this statement, NOMA also (still) states that no new patients should be started on Ocaliva. If this process ends up with a withdrawal of Ocaliva's Marketing Authorisation, there will be an even greater need for a new medicine for this rare but very severely ill patient group. Bezafibrate is also used off-label for second line treatment, and Lyvdelzi is expected to be used in third line. Regardless of the treatment line, for patients with PBC who do not respond adequately to first and second line treatments and so progress to cirrhosis and liver failure, liver transplantation is currently the only treatment option available to prevent premature death [14].
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Delayed diagnosis, which occurs in approximately 25% of cases, negatively impacts PBC prognosis, as patients with a delayed diagnosis are likely to have later-stage PBC than those with an earlier diagnosis and may therefore be more difficult to treat [15]. About 30-40% of PBC patients in Norway would be assessed to have an inadequate response to first-line UDCA (depending on the response definition used), leaving them at increased risk of disease progression and further complications [11-12]. Studies have shown that UDCA does not improve outcomes such as all-cause

	mortality, liver transplantation, or serious complications or comorbidities [2,16,17]. For patients who do not adequately respond to currently available treatments and progress to cirrhosis and severe disease, or suffer with severe medically resistant pruritus, liver transplant is required [1]. Liver transplant has 5-year patient survival rate of 80–85%. However, symptoms of PBC, including fatigue, often persist after transplant. Recurrence of PBC has also been reported in patients receiving a liver transplant; following orthotopic liver transplant, recurrent PBC is estimated to occur in 9–35% of individuals within 1.6–6.5 years [17]. As PBC advances, patients may also develop complications such as hepatocellular carcinoma (HCC), for which there are very limited effective treatments to improve survival [18]. Data from an historical UK cohort (N=770) suggests that the average survival of patients with PBC receiving no or suboptimal treatment is approximately 10 years from presentation, with 26% of patients developing liver failure within 10 years of diagnosis [19]. Overall, 5-year survival and transplant-free survival was also lower in people with cirrhosis compared with those without (80% vs. 93% for both estimates) [20]. Data from a Swedish population-based cohort support an increased risk of death in those with PBC compared to those without, and also highlight differences by gender; only 37% of men and 59% of women were alive 10 years after their PBC diagnosis. This study also found that the highest risk of death was observed in the first year after PBC diagnosis, with an HR of 9.04 (95% CI: 8.12, 10.07) for patients with PBC compared to patients without PBC. PBC is a severe disease harming many young patients, resulting in an average loss of many QALYs.
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Update from previous request: Seladelpar is expected to be placed as a third-line treatment in combination with UDCA in adults with an inadequate response to UDCA, or as monotherapy in adults who are intolerant to UDCA, as the currently only expected thirdline

	alternative, after bezafibrate used as a secondline alternative. Reference is given to enclosed new "Innspill" to Nye Metoder from professor Tom Hemming Karlsen from June this year, and enclosed to this anmodning. Karlsen was one of the three clinicians that provided clinical input to Nye Metoder in December -24 regarding elafibranor.
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>	Most patients present with PBC between 40–60 years of age; however, cases have been reported in individuals as young as 15 years [4,23]. PBC is more common in female individuals than males (9:1 female:male ratio); however, male patients tend to have more advanced disease at diagnosis, likely due to delayed presentation [3,8,10]. PBC is a rare disease. In Norway, the prevalence of PBC is estimated to be 216/million (1,166 patients) and the incidence is estimated to be 18/million/year (97 patients/year), calculated using average prevalence and incidence estimates from Sweden, Finland and Denmark [24-26]. The size of the patient population covered by the third-line PBC indication for seladelpar depends on the criteria used to assess the response to first-line treatment, as described in the "Current treatment" section. Assuming that the Toronto scoring system is used, up to 50-80 patients in the prevalent patient pool would be expected to receive second line treatment. This estimate is based on first-line treatment response rates reported with the Toronto scoring system in Sweden and assuming that not all prevalent non-responders will actually receive second-line treatment [12]. Around 3-6 new patients would be expected to receive seladelpar treatment in third line each year based on the same assumptions.

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	RESPONSE: A Placebo-controlled, Randomized, Phase 3 Study to Evaluate the Efficacy	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	and Safety of Seladelpar in Patients With Primary Biliary Cholangitis (PBC) and an Inadequate Response to or an Intolerance to Ursodeoxycholic Acid (UDCA) NCT04620733 https://clinicaltrials.gov/study/NCT04620733?int r=seladelpar&rank=5		
11.2 Studietype og -design	Phase 3, randomised, double-blind, placebo controlled trial with treatment duration up to 12 months.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	The purposes of this study are to evaluate the treatment effect of seladelpar on composite biochemical improvement in cholestasis markers based on ALP and total bilirubin and to evaluate the safety of seladelpar over 12 months of treatment compared to placebo. The study also checked the effect of treatment on the symptoms of PBC, including pruritus. In the study they also measured the change in pruritus from baseline to month 6 among patients.	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>	Inclusion: 18 Years to 75 Years (Adult, Older Adult) Ursodeoxycholic acid (UDCA) for the past 12 months (stable dose for >3 months prior to screening) or intolerant to UDCA (last dose of UDCA >3 months prior to screening). Laboratory parameters measured by the Central Laboratory at screening: Alkaline phosphatase (ALP) $\geq 1.67 \times \text{ULN}$ (upper limit of normal) Aspartate aminotransferase (AST) $\leq 3 \times \text{ULN}$ Alanine aminotransferase (ALT) $\leq 3 \times \text{ULN}$ Total bilirubin $\leq 2 \times \text{ULN}$ Estimated glomerular filtration rate (eGFR) $> 45 \text{ mL/min/1.73 m}^2$ (calculated by the Modification of Diet in Renal Disease study equation). International normalized ratio (INR) below $1.1 \times \text{ULN}$ (For individuals on anticoagulation therapy, INR must be maintained in the range required for prophylaxis for their specific disease). Platelet count $\geq 100 \times 10^3/\mu\text{L}$. Exclusion: Previous exposure to seladelpar (MBX-8025).	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
---	--	---	---

	A medical condition other than PBC that, in the investigator's opinion, would preclude full participation in the study (e.g., cancer) or confound its results (e.g., Paget's disease, any active infection). Advanced PBC as defined by the Rotterdam criteria (albumin below the lower limit of normal and total bilirubin above $1.0 \times \text{ULN}$). Presence of clinically important hepatic decompensation, including the following: History of liver transplantation, current placement on liver transplantation list, or current Model for End-Stage Liver Disease (MELD) score ≥ 12. For individuals on anticoagulation medication, evaluation of the baseline INR, in concert with their current dose adjustments of their anticoagulant medication, will be taken into account when calculating the MELD score. This will be done in consultation with the medical monitor. Complications of portal hypertension, including known esophageal varices, history of variceal bleeds or related interventions (e.g., transjugular intrahepatic		
--	---	--	--

	portosystemic shunt placement), ascites, and hepatic encephalopathy. Cirrhosis with complications, including history or presence of spontaneous bacterial peritonitis, hepatocellular carcinoma, or hepatorenal syndrome.		
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Seladelpar 10mg capsule daily for up to 12 months. If down-titration needed, Seladelpar 5mg capsule daily for up to 12 months.	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>	Placebo one capsule daily for up to 12 months.	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>	Primary: Percentage of Participants With Response Criteria for the Composite Endpoint of ALP $< 1.67 \times$ Upper Limit of Normal (ULN), $\geq 15\%$ Reduction in ALP, and Total Bilirubin $\leq 1.0 \times$ ULN at Month 12	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	Percentage of Participants With Treatment-emergent Adverse Events (TEAEs) and Serious TEAEs Percentage of Participants With Shift of ≥ 2 CTCAE Grades From Baseline in Treatment-emergent Laboratory Abnormalities Related to Hematology and Select Liver Biochemistry Secondary: Percentage of Participants With ALP $\leq 1.0 \times$ ULN at Month 12 Change From Baseline in Weekly Averaged Pruritus Numerical Rating Scale (NRS) in Participants With NRS ≥ 4 at Month 6		
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	Subgroup analyses were performed for: - Different levels of baseline ALP - Different levels of total bilirubin - Cirrhosis status - Pruritus NRS stratification - UDCA use - Prior use of OCA and /or fibrates	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>	12 months, completed.	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>	Completed.	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 publisering</i>	A Phase 3 Trial of Seladelpar in Primary Biliary Cholangitis; Gideon et al; N Engl J Med 2024;390:783-794; https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2312100	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

Ja ☒ Nei ☐

som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden? <i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i>	ASSURE: An Open Label Long-Term Study to Evaluate the Safety and Tolerability of Seladelpar in Subjects With Primary Biliary Cholangitis (PBC) - NCT03301506 ASSURE is still enrolling patients for a study with a time frame of 60 months, so there will be many years until new data reported.
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja ☒ Nei ☐ IDEAL: NCT06060665; A 52-week, Double-blind, Placebo-controlled, Randomized, Phase 3 Study Intended to Determine the Effects of Seladelpar on Normalization of Alkaline Phosphatase Levels in Subjects With Primary Biliary Cholangitis (PBC) and an Incomplete Response or Intolerance to Ursodeoxycholic Acid (UDCA). IDEAL enrolls patients within the same indication but lower levels of ALP 1 - 1.67 ULN at baseline. (as compared to >1.67 x ULN for RESPONSE). AFFIRM: NCT06051617; A Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study to Evaluate the Effect of Seladelpar on Clinical Outcomes in Patients With Primary Biliary Cholangitis (PBC) and Compensated Cirrhosis

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 ☐ Kristin Kaasa Jørgensen. Initial talk about treatment of PBC in Norway. She has validated the assumptions in the health economic model as a clinical expert.
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> Nærmere informasjon og skjema: Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF	Ja ☐ Nei ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
14.3 Andre relevante opplysninger?	This medicine was granted entry to the EMA Priority Medicines (PRIME) scheme during its development. PRIME is a scheme launched by EMA to enhance support for the development of medicines that target an unmet medical need. This voluntary scheme is based on enhanced interaction and early dialogue with developers of promising medicines, to optimise development plans and speed up evaluation so these medicines can reach patients earlier. For more information, see PRIME: priority medicines. (https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/lyvdelzi) References: [1] EASL. J Hepatol. 2017;67:145-72. [2] Hirschfield GM, Chazouillères O, Cortez-Pinto H, et al. Expert Rev Gastroenterol Hepatol. - 32021;15:929-39. [3] Galoosian A, Hanlon C, Zhang J, et al. J Clin Transl Hepatol. 2020;8:49-60. [4] Shaheen AA, Kaplan GG, Almishri W, et al. PLoS One 2018;13:e0194839.

	[5] Jung HE, Jang JY, Jeong SW, et al. Clin Mol Hepatol. 2012;18:375-82. [6] Milovanovic T, Popovic D, Stojkovic Lalosevic M, et al. Dig Dis. 2020;38:515-21. [7] Mells GF, Pells G, Newton JL, et al. Hepatology. 2013;58:273-83. [8] Selmi C, Gershwin ME, Lindor KD, et al. Hepatology. 2007;46:1836-43. [9] Invernizzi P, Floreani A, Carbone M, et al. Dig Liver Dis. 2017;49:841-6. [10] Jørgensen KK. Primær biliær cholangitt – sjelden sykdom med nytt navn. Gastroenterologen. 20 Oct, 2017. Available at: https://gastroenterologen.no/2017/10/primaer-biliaer-cholangitt-sjelden-sykdom-med-nytt-navn/ [11] Henriksson I, Udumyan R, Nilsson E, et al. Scand J Gastroenterol. 2023;58:70-75. [12] Felleskatalogen.no. Ocaliva «Advanz Pharma». 25 Jul, 2022. Available at: https://www.felleskatalogen.no/medisin/ocaliva-advanz-pharma-631817 [13] Harms MH, Janssen QP, Adam R, et al. Aliment Pharmacol Ther. 2019;49:285-295. [14] Terziroli Beretta-Piccoli B, Stirnimann G, Cerny A, et al. Clin Rev Allergy Immunol. 2018;54:295-306. [15] Rudic JS, Poropat G, Krstic MN, et al. Cochrane Database Syst Rev 2012;12:Cd000551. [16] Nevens F, Andreone P, Mazzella G, et al. N Engl J Med 2016;375:631-43. [17] Silveira MG, Talwalkar JA, Lindor KD, et al. Am J Transplant. 2010;10:720-6. [18] Karaman B, Battal B, Sari S, et al. World J Gastroenterol. 2014;20:18059-60. [19] Prince M, Chetwynd A, Newman W, et al. Gastroenterology. 2002;123:1044-51. [20] Axley P, Mudumbi S, Sarker S, et al. PLoS One. 2018;13:e0197117. [21] Dahlan Y, Smith L, Simmonds D, et al. 2003;125:1476-9. [22] Lleo A, Jepsen P, Morengi E, et al. Sci Rep. 2016;6:25906. [23] Marschall HU, Henriksson I, Lindberg S, et al. Sci Rep. 2019;9:11525. [24] Rautianen H, Salomaa V, Niemelä S, et al. Scand J Gastro. 2007;42:1347-53. [25] Elafibranor assessment request form available here: https://www.nyemetoder.no/49340f/contentassets/743f59c9755840749bf69dfb4d0b22cf/id2024_024-elafibranor-til-behandling-av-primar-biliar-kolangitt-anmodning.pdf
--	--

--	--

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no