

Innkalling til møte i Bestillerforum for nye metoder

Sted: Heldigitalt møte (Teams)

Tidspunkt: Mandag 24.08.2026 kl. 10:00- 11:45

Beslutningstakere

Helse Vest RHF v/ Leder i Bestillerforum, Fagdirektør Bjørn Egil Vikse

Helse Midt-Norge RHF v/ Fagdirektør Trude Basso

Helse Nord RHF v/ Fagdirektør Per Rønning

Helse Sør-Øst RHF v Fagdirektør Ulrich Spreng

Helsedirektoratet v/ Seniorrådgiver Ingvild Grendstad

Helsedirektoratet v/ Seniorrådgiver Hege Wang

Andre deltakere

Folkehelseinstituttet v/ Fagdirektør Hilde Risstad

Direktoratet for medisinske produkter v/ Enhetsleder Elisabeth Bryn

Direktoratet for medisinske produkter v/ Enhetsleder Anette Grøvan

Direktoratet for medisinske produkter v/ Seniorrådgiver Kirsti Hjelme

Direktoratet for medisinske produkter v/ fung. enhetsleder Carolin Hagen

Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet v/ Fagdirektør Eva Friberg

Sykehusinnkjøp HF, v/ Fagsjef Christina Sivertsen

Helse Sør-Øst RHF, v/ Prosjektdirektør Ole Tjomsland

Helse Vest RHF v/ Rådgiver Rebecca Kongsvik

Helse Nord RHF v/ Seniorrådgiver André Engesland

Helse Midt-Norge RHF v/ Seniorrådgiver Ingvild Klevan

Brukerrepresentant Linda Haugland

Brukerrepresentant Faridah S. Nabaggala

Sekretariatet Nye metoder v/ Enhetsleder Ellen Nilsen

Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Barbra Schjoldager Frisvold

Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Helene Örthagen

Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Karianne Mollan Tvedt

Sekretariatet Nye metoder v/ Medisinsk rådgiver Michael Vester

Saksliste

Velkommen v/leder av Bestillerforum for nye metoder, fagdirektør Bjørn Egil Vikse.

Saksnummer	Sakstittel	Type sak
Sak 093-26	Anmodning: ID2026_025 Lisokabtagen maraleucel (Breyanzi) til behandling av voksne med relapsert eller refraktært mantelcellelymfom (MCL) etter minst to linjer med systemisk behandling, inkludert en Brutons tyrosinkinase (BTK)-hemmer.	Til drøfting.
Sak 094-26	Anmodning: ID2026_026 Afikamten (Myqorzo) som behandling av symptomatisk (New York Heart Association, NYHA, klasse II-III) obstruktiv	Til drøfting.

	hypertrofisk kardiomyopati (oHCM) hos voksne pasienter.	
Sak 095-26	Anmodning: ID2024_051 Sipavibart (Kavigale) som preeksponeeringsprofylakse av covid-19 hos voksne og ungdom i alderen 12 år og eldre som veier minst 40 kg og er immunkompromittert på grunn av en medisinsk tilstand eller immundempende behandling.	Til drøfting.
Sak 096-26	Anmodning: ID2017_001 Nusinersen (Spinraza) til behandling av spinal muskelatrofi (SMA) hos barn - ny styrke/doseringsregime.	Til drøfting.
Sak 097-26	Anmodning: ID2020_031 Nusinersen (Spinraza) til behandling av spinal muskelatrofi (SMA) hos voksne pasienter - ny styrke/doseringsregime.	Til drøfting.
Sak 098-26	Anmodning: ID2019_136 Nintedanib (Ofev) til behandling av andre kronisk fibroserende interstitielle lungesykdommer med en progressiv fenotype hos voksne (ikke-IPF PF-ILD). Indikasjonsutvidelse til barn og ungdom ≥ 6-17 år.	Til drøfting.
Sak 099-26	Anmodning (oppdatert versjon): ID2025_076 Nerandomilast (Jascayd) til behandling av idiopatisk lungefibrose (IPF) hos voksne.	Til drøfting.
Sak 100-26	Anmodning (oppdatert versjon): ID2026_077 Nerandomilast (Jascayd) til behandling av kroniske fibroserende interstitielle lungesykdommer (ILD) med en progressiv.	Til drøfting.
Sak 101-26	Anmodning: ID2018_130 Risankizumab (Skyrizi) til behandling av moderat til alvorlig plakkpsoriasis hos voksne som er kandidater for systemisk behandling. Indikasjonsutvidelse til barn og ungdom fra 6 års alder.	Til drøfting.
Sak 102-26	Anmodning: ID2026_032 Klemastin (Clemastine Macure) til behandling av voksne og barn over 1 år: -Som adjuvant behandling ved anafylaktisk eller anafylaktoid sjokk og angioødem. -Til forebygging eller behandling av allergiske eller pseudoallergiske reaksjoner, for eksempel mot kontrastmiddel.	Til drøfting.
Sak 103-26	Anmodning: ID2026_024 Filgotinib (Jyseleca) for behandling av:	Til drøfting.

	- aktiv ikke-radiografisk aksial spondyloartritt (nr-axSpA) hos voksne med objektive tegn på inflammasjon, dokumentert ved forhøyet C-reaktivt protein (CRP) og/eller magnetisk resonanstomografi (MR), som har hatt utilstrekkelig respons på eller ikke tåler ikke-steroid antiinflammatoriske legemidler (NSAIDs). -aktiv ankyloserende spondylitt (radiografisk aksial spondyloartritt) (r-axSpA) hos voksne som har hatt utilstrekkelig respons på eller ikke tåler konvensjonell behandling.	
Sak 104-26	Tre anmodninger med Serplulimab (Hetronify): - ID2026_037 Serplulimab (Hetronify) i kombinasjon med karboplatin og pemetreksed er indisert til førstelinjebehandling av voksne pasienter med ikke-plateepitel- ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) uten EGFR-, ALK- eller -positive mutasjoner, som har lokalavansert NSCLC som ikke er kandidater for kirurgi eller radioterapi, eller metastatisk NSCLC. - ID2026_038 Serplulimab (Hetronify) i kombinasjon med fluoropyrimidin- og platinabasert kjemoterapi er indisert til førstelinjebehandling av voksne pasienter med ikke-resekterbart, lokalavansert, residiverende eller metastatisk øsofagealt plateepitelkarsinom (OSCC) med tumorer som uttrykker PD-L1 med en CPS $\geq$ 5. - ID2026_039 Serplulimab (Hetronify) i kombinasjon med karboplatin og nab-paklitaksel er indisert til førstelinjebehandling av voksne pasienter med ikke-resekterbart, lokalavansert eller metastatisk ikke-småcellet plateepitelkarsinom i lungene (plateepitel-NSCLC).	Til drøfting.
Sak 105-26	Legemidler til forebygging av nedre luftveissykdom forårsaket av respiratorisk syncytialvirus (RSV):	Til drøfting.

	- Anmodning: ID2026_043 Nirsevimab (Beyfortus) for forebygging av respiratorisk syncytialt virus (RSV) sykdom i nedre luftveier hos nyfødte og spedbarn i løpet av deres første RSV-sesong. - Anmodning: ID2026_044 Nirsevimab (Beyfortus) for forebygging av respiratorisk syncytialt virus (RSV) sykdom i nedre luftveier hos barn opptil 24 måneders alder som fortsatt er sårbare for alvorlig RSV-sykdom gjennom sin andre RSV-sesong. - Forslag: ID2026_008 Klesrovimab (Enflonsia) til forebygging av nedre luftveisinfeksjon forårsaket av respiratorisk syncytialvirus (RSV) hos nyfødte og spedbarn i løpet av deres første RSV-sesong. Forslag om utvidelse av pasientgruppen.	
Sak 106-26	Forslag: ID2026_028 Immunterapi til behandling ved PD-L1-positiv anaplastisk skjoldbruskkjertelkreft ved inoperabel lokalavansert eller fjernmetastatisk sykdom	Til drøfting.
Sak 107-26	Forslag om revurdering: ID2022_103 Selperkatinib (Retsevmo) til førstelinjebehandling av voksne og ungdom fra 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft.	Til drøfting.
Sak 108-26	Forslag om revurdering: ID2023_041 Selperkatinib (Retsevmo) til førstelinjebehandling av voksne og ungdom fra 12 år med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft.	Til drøfting.
Sak 109-26	Anmodning om revurdering: ID2022_044 Upadacitinib (Rinvoq) til behandling av voksne med moderat til alvorlig aktiv ulcerøs kolitt som har hatt utilstrekkelig respons, mistet respons eller er intolerante mot enten konvensjonell behandling eller et biologisk legemiddel.	Til drøfting.
Sak 110-26	Metodevarsel: ID2026_023 Magnetisk resonans (MR)-veiledet stråleterapi (MRgRT) til behandling av kreft.	Til drøfting.
Sak 111-26	Metode: ID2022_018 Ketamin ved behandlingsresistent depresjon. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter.	Til drøfting.

Sak 112-26	Oppdrag: ID2025_109 DynamX koronarstent (implantat) til perkutan koronar intervensjon (PCI). Notat fra Direktoratet for medisinske produkter	Til drøfting.
Sak 113-26	Oppfølging: ID2023_037 Metoksyfluran (Penthrox) som akutt smertelindring ved moderate til sterke smerter som følge av traume hos pasienter ≥ 6 år som er ved bevissthet.	Til drøfting.
Sak 114-26	Oppdrag: ID2022_143, ID2023_057, ID2024_024, ID2025_058, ID2025_063, ID2025_064. Anmodninger der dokumentasjon ikke er levert av leverandør. Forslag om avbestilling av oppdrag. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter, Sykehusinnkjøp HF og Sekretariatet for Nye metoder.	Til drøfting.
Sak 115-26	Eventuelt	

Saksnummer 093-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2026_025 Lisokabtagen maraleucel (Breyanzi) til behandling av voksne med relapsert eller refraktært mantelcellelymfom (MCL) etter minst to linjer med systemisk behandling, inkludert en Brutons tyrosinkinase (BTK)-hemmer.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet, er Bristol Myers squibb (BMS) Norge
- Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse. Nye metoder har tidligere behandlet flere metoder med samme virkestoff.
- Fikk markedsføringstillatelse (MT) for den anmodede indikasjonen 21.11.2025
- Leverandøren er kjent med at Nye metoder tidligere har behandlet følgende legemiddel for samme indikasjon: [ID2020_063](#) (Tecartus)
- Leverandør vurderer at Breyanzi er sammenlignbart med Tecartus (overlappende indikasjon).
- Pasientgrunnlag: DMP anslår i metodevurdering for Tecartus et pasientgrunnlag på om lag 7-10 pasienter per år.
- Type helseøkonomisk analyse: Leverandøren foreslår en kostnadsminimeringsanalyse.
- Forventet levering av dokumentasjon: BMS antar at legemidlet vil bli vurdert som sammenlignbart, og at de derfor ikke skal trenge å levere dokumentasjon. Dersom det er behov for ytterligere informasjon, kan denne leveres 3 måneder etter bestillingsdato

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (vedlagt):

- Vurdering: Lisokabtagen maraleucel (liso-cel) kan være et alternativ til Breksucabtagene autoleucel (brexu-cel.) Den enarmede fase 1-studien som ligger til grunn for indikasjonsutvidelsen, er lite egnet til å informere om relativ effekt sammenlignet med dagens behandling i norsk klinisk praksis. Med forbehold om at DMP ikke har vurdert sammenlignbarheten mellom studiene og de inkluderte pasientene, synes resultatene å være på høyde med studieresultatene for brexu-cel. Med et alternativ som har lavere forekomst av alvorlige bivirkninger, vil CAR-T kunne tilbys noe flere pasienter årlig enn anslått i metodevurderingen for brexu-cel.
- Anbefaling: DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen, og mener opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: 1 innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Kan påvirke kreftbehandlingsprogrammet for lymfekreft.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret ble plassert hos RHF-ene 01.03.2021.

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: 05.05.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Bristol Myers squibb Norge
1.2 Navn kontaktperson	Pilar Martin-Vivaldi Nora Lieske
1.3 Stilling kontaktperson	Senior Market Acces Manager Nordic Medical Advisor
1.4 Telefon	4103462
1.5 E-post	pilar.vivaldi@bms.com Nora.lieske@bms.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>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>	Breyanzi for behandling av voksne pasienter med relapsert eller refraktært mantelcellelymfom (MCL) etter minst to linjer med systemisk behandling, inkludert en Brutons tyrosinkinase (BTK)-hemmer.
2.3 Handelsnavn	Breyanzi
2.4 Generisk navn/virkestoff	lisokabtagen maraleucel
2.5 ATC-kode	L01XL08
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingslengde</i> <i>Skriv kort</i>	Infusjonsvæske, dispersjon $1,1-70 \times 10^6$ CAR+ levedyktige T-celler/ml for hver komponent. Inneholder 1-4 hetteglass CD8+ cellekomponent og 1-4 hetteglass CD4+ cellekomponent. Innhold: 4,6 ml celledispersjon/hetteglass Måldosen er 100×10^6 CAR-positive levedyktige T-celler (bestående av en målratio på 1:1 av cellekomponentene CD4+ og CD8+) innenfor et område på $44-120 \times 10^6$ CAR-positive levedyktige T-celler. Behandlingen består av en enkeltdose til infusjon.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Farmakoterapeutisk gruppe: Andre neoplastiske agenter Breyanzi er en CD19-rettet immunterapi med genmodifiserte autologe celler som administreres som en definert komposisjon for å redusere variabilitet i dosen med CD8+ og CD4+ T-celler. CAR består av et murint FMC63 monoklonalt antistoff-derivert enkelttrådet variabelt fragment (scFv), IgG4 hengselsregion, CD28 transmembrandomene, 4-1BB (CD137) kostimulator-domene og CD3-zeta aktiveringsdomene. CD3-zeta-signalisering er kritisk for initiering av T-celle-aktivering og antitumoraktivitet, mens 4-1BB (CD137)-signalisering forsterker ekspansjonen og persistensen av Breyanzi. CAR-binding til CD19 uttrykt på celleoverflaten

	av tumor- og normale B-celler induserer aktivering og proliferasjon av CAR-T-celler, frigjøring av proinflammatoriske cytokiner og cytotoxisk dreping av målceller.
--	---

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: ID2022_121; ID2021_027/ID2021_050
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: ID2020_063
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: Det er flere pågående metodevurderinger i andre relevante land. MCL indikasjon er blitt inført i en rekke land, blant annet Tyskland, Sverige, , Østerrike og Sveits. Breyanzi (lisokabtagen-maraleucel) vid mantelcellslymfom (MCL)

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: 04.04.2022
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>	MT i Norge: Ja ☒ Nei ☐ Prosedyrenummer i EMA: EMAVR0000265024 Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i>	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: 21.11.2025
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: 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: Tecartus, brexucabtagene autoleucel, er en CAR T terapi som har overlappende indikasjon. Den er blitt vurdert av DMP og er innført i Norge
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: Tecartus, ID2020_063

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: 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: BMS anmoder en forenklet vurdering

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 ☐ 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? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	Kostnadsminimeringsanalyse. Fra før av finnes det en annen CART terapi med lik indikasjonsordlyd, Tecartus. BMS anser at de to legemidlene vil kunne brukes til samme pasient populasjon, avhengig kun av behandlende lege og pasientenes karaktteristika.
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Pasientpopulasjonen som gjenspeiler indikasjonen.

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>	TRANSCEND NHL 001, en global, multisenter, åpen, én-armet fase 1/2-studie
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Tecartus er allerede tatt i bruk. En innføring av Breyanzi til MCL pasienter antas å ikke medføre ytterligere budsjettvirkninger
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>	BMS antar at det vil bli vurdert som terapeutisklikeverdige preparater av spesialistgruppen. Dersom behov for ytterligere informasjon kan dette leveres 3 måneder etter bestillingsdato

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>	Mantelcellelymfom (MCL) er et sjeldent og aggressivt B-celle non-Hodgkin-lymfomjon. Sykdommen er ofte utbredt ved diagnosetidspunktet, med affeksjon av lymfeknuter, benmarg og hyppig ekstranodal involvering, særlig gastrointestinaltraktus. Klinisk presenterer pasientene seg ofte med avansert sykdom, inkludert forstørrede lymfeknuter, B-symptome (feber, nattesvette, vekttap), redusert allmenntilstand og splenomegali. På grunn av sykdom i beinmargen kan pasienter utvikle unormalt lave nivåer av friske blodceller (cytopenier og anemie). Som et resultat av mage-tarm-involvering, opplever omtrent 20 % til 30 % av MCL-pasienter magesmerter, diaré, tarmobstruksjon og hematokesi. Symptomene er ofte uspesifikke, noe som bidrar til sen diagnose. MCL er vanligere hos menn (3 til 1), med en medianalder ved diagnose på 60–70 år. MCL vurderes som en alvorlig og livstruende sykdom. Til tross for initial behandlingsrespons har pasientene høy risiko for tilbakefall, og sykdommen anses i praksis som ikke-kurativ med konvensjonell behandling. MCL har den verste overlevelses prognosen av alle NHL subtyper og prognosen forverres betydelig ved
---	---

	relapsert eller refraktær sykdom. Dermed foreligger det et betydelig udekket medisinsk behov i denne pasientgruppen. I en tidligere metodevurdering av ibrutinib til behandling av R/R MCL (ID2014_001) ble absolutt prognosetap beregnet til ca. 12 kvalitetsjusterte leveår (QALYs). https://www.esmo.org/guidelines/esmo-clinical-practice-guideline-lymphomas * Helsedirektoratet. *Nasjonalt handlingsprogram for lymfekreft* (oppdatert 2025) [\[helsedirektoratet.no\]](https://www.helsedirektoratet.no/retningslinjer/lymfekreft-handlingsprogram) * ESMO. *Clinical Practice Guidelines: Mantle Cell Lymphoma* [\[annalsofoncology.org\]](https://www.annalsofoncology.org/article/S0923-7534%2819%2942151-0/fulltext), [\[esmo.org\]](https://www.esmo.org/guidelines/esmo-clinical-practice-guideline-lymphomas) * Helsenorge. *Lymfekreft – symptomer og sykdomsforløp* [\[helsenorge.no\]](https://www.helsenorge.no/sykdom/kreft/lymfekreft)
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: Blod- beinmargs- og lymfekreft
10.4 Dagens behandling <i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i>	Den aktuelle pasientpopulasjon blir behandlet per i dag med andre CART preparater (Tecartus). Det finnes flere andre preparater som er nylig blitt innført i Norge. BMS antar at pasientene som er egnet for CART behandling vil bli behandlet med allerede innført CART og at Breyanzi vil bli et valg til
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	I en tidligere metodevurdering av ibrutinib til behandling av R/R MCL (ID2014_001) ble absolutt prognosetap beregnet til ca. 12 kvalitetsjusterte leveår (QALYs).

10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Breyanzi vil bli brukt i hennhold til indikasjonsordlyd/SPC og som allerede innført CART behandling
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>	DMP anslår i metodevurdering for Tecartus et pasientgrunnlag på om lag 7-10 pasienter per år. Innføring av Breyanzi vil ikke utvide pasientgrunnlaget.

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	A Phase 1, Multicenter, Open-Label Study of JCAR017, CD19-targeted Chimeric Antigen Receptor (CAR) T Cells, for Relapsed and Refractory (R/R) B-cell Non-Hodgkin Lymphoma (NHL) TRACEND-NHL-001, MCL Cohort, NCT02631044, Study Details NCT02631044 Study Evaluating the Safety and Pharmacokinetics of		

	JCAR017 in B-cell Non-Hodgkin Lymphoma (TRANSCEND-NHL-001) ClinicalTrials.gov		
11.2 Studietype og -design	Open-label, single-arm, multicenter, Phase 1 study		
11.3 Formål	Evaluate the safety, Pharmacokinetics, and antitumor activity of JCAR017 (Lisocabtagene maraleucel)		
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	Key Inclusion criteria: MCL diagnosis with relapsed or refractory disease after at least 2 prior lines of systemic MCL therapy. Subjects must have been treated with an alkylating agent, Bruton's tyrosine kinase inhibitor (BTKi), and rituximab (or other CD20-targeted agent), age ≥ 18 years, patients with secondary CNS involvement allowed, prior HSCT (>90 days) allowed. Key exclusion criteria: CNS-only disease, prior CAR-T or genetically modified T-cell therapy, recent allo-HSCT (≤ 90 days) and active GVHD.		
11.5 Intervensjon (n)	1-dose of JCAR017 (Lisocabtagene maraleucel), administered as		

<i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	intravenous (iv) injection. 1-dose of JCAR017 (Lisocabtagene maraleucel), administered as 2 separate intravenous (iv) injections.		
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	N/A		
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Primary endpoints: Adverse Events, Dose- level-toxicities (DLTs), Overall response rate (ORR) by IRC per Lugano classification Secondary endpoints: Complete response (CR) rate by IRC, duration of response (DOR), progression-free survival (PFS), Overall survival (OS), cellular kinetics, Health related Quality of Life (HRQoL), number of Intensive care unit (ICU) days		

11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	Subgroup analysis for patients with high-risk disease features: Ki-67 proliferation index (< or > 30%), TP53 mutation status, Blastoid morphology,		
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-months, Final analysis available		
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	TRANSCEND-NHL-001 (MCL Cohort), 2-year data presented at ASTCT 2025 Separate ongoing long-term follow-up study (NCT03435796): up to 15 years after last liso-cel treatment		
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publisering</i>	Wang M, et al., Lisocabtagene Maraleucel in Relapsed/Refractory Mantle Cell Lymphoma: Primary Analysis of the Mantle Cell Lymphoma Cohort From		

	TRANSCEND NHL 001, a Phase I Multicenter Seamless Design Study. J Clin Oncol. 2024 Apr 1;42(10):1146-1157. doi: 10.1200/JCO.23.02214. Epub 2023 Dec 10. PMID: 38072625; PMCID: PMC11741176.		
--	--	--	--

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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja ☒ Nei ☐ TRANSCEND FL

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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
14.3 Andre relevante opplysninger?	BMS forventer at Breyanzi vil ha status som markedsført på det tidspunktet dette anmodningen blir behandlet i Bestillerforum.

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2026_025
Handelsnavn (virkestoff)	Breyanzi (lisokabtagen maraleucel; liso-cel)
Virkningsmekanisme	Lisokabtagen maraleucel er et CD19 rettet, genmodifisert autologt cellebasert preparat som består av purifiserte CD8+ og CD4+ T celler. Antigenspesifikk aktivering av lisokabtagen maraleucel gir en CAR-positiv T-celleproliferasjon, cytokinsekresjon og påfølgende cytolytisk ødeleggelse av CD-19-uttrykkede celler.
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse for et kjent virkestoff. Indikasjonen har markedsføringstillatelse (MT) i Europa og i Norge ¹ .
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? Ja ☐ Nei ☒
Aktuell indikasjon	Breyanzi for behandling av voksne pasienter med relapsert eller refraktært mantelcellelymfom (MCL) etter minst to linjer med systemisk behandling, inkludert en Brutons tyrosinkinase (BTK)-hemmer.
Dosering	Infusjonsvæske, dispersjon $1,1-70 \times 10^6$ CAR+ levedyktige T-celler/ml for hver komponent. Inneholder 1-4 hetteglass CD8+ cellekomponent og 1-4 hetteglass CD4+ cellekomponent. Innhold: 4,6 ml celledispersjon/hetteglass Måldosen er 100×10^6 CAR-positive levedyktige T-celler (bestående av en målratio på 1:1 av cellekomponentene CD4+ og CD8+) innenfor et område på $44-120 \times 10^6$ CAR-positive levedyktige T-celler. Behandlingen består av en enkeltdose til infusjon.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Bristol-Myers Squibb
Bakgrunn	Mantelcellelymfom er en relativt sjelden undergruppe av Non-Hodgkins lymfomer (NHL), og utgjør om lag 6 % av alle NHL. MCL karakteriseres av diffus eller vagt knutet vekst (nodal) bestående av relativt små centrocyttliknende celler. Kreftregisteret oppgir median og gjennomsnittsalder ved diagnose for MCL-pasienter (fra perioden 2018-2022) som hhv. 72 og 71 år. Ifølge Kreftregisteret ble det diagnostisert gjennomsnittlig 58 pasienter med MCL hvert år i perioden 2011-2022. Behandling av MCL er beskrevet i Nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av maligne lymfomer². Det er tidligere innført en annen CAR-T behandling (brexucabtagene autoleucel; brexu-cel, Tecartus) ved tilsvarende indikasjon, ID2020_063. I metodevurderingen av brexu-cel ble det anslått at omtrent 7-10 pasienter kan være aktuelle for behandlingen per år i norsk klinisk praksis.

¹ Breyanzi | European Medicines Agency (EMA)

² Helsedirektoratet (2019). Nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av maligne lymfomer [nettdokument]. Oslo: Helsedirektoratet (siste faglige endring 13. mai 2025, lest 12. juni 2026). Tilgjengelig fra <https://www.helsedirektoratet.no/retningslinjer/lymfekreft-handlingsprogram>

	Liso-cel er tidligere metodevurdert og besluttet innført ved andre maligne lymfomer, se Nye metoder ID2021_027, ID2021_050 og ID2022_121. Innføring var basert på en kostnadssammenligning med CAR-T behandlingen axicabtagene ciloleucel (axi-cel, Yescarta).
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Liso-cel kan være et alternativ til brexu-cel som behandling av voksne pasienter med relapsert eller refraktært MCL etter minst to linjer med systemisk behandling, inkludert en BTK-hemmer. Den enarmede fase-1 studien TRANSCEND NHL 001³ som ligger til grunn for indikasjonsutvidelsen rapporterer resultater for uønskede hendelser, responsrate som inkluderte andel pasienter med komplett respons. Studien inkluderer en kohort med MCL, med en egen publikasjon for MCL-pasientene. Median oppfølgingstid var 16,2 måneder, responsrate var 83,1 %, og 73,3 % oppnådde komplett respons. Median responsvarighet var 15,7 måneder. Studien alene er lite egnet til å informere relativ effekt sammenlignet med dagens behandling i norsk klinisk praksis. Med forbehold om at DMP ikke har vurdert sammenlignbarhet mellom studiene og inkluderte pasienter, synes disse resultatene å være på høyde med resultatene for brexu-cel (ID2020_063) i ZUMA-2 studien⁴. I innspill til anmodningen peker medisinsk fageksperter på at det er behov for liso-cel grunnet ulik virkemåte, ulik produksjon, og gunstig bivirkningsprofil sammenlignet med brexu-cel. Med en lavere forekomst av alvorlige bivirkningen vil CAR-T også kunne tilbys noe flere pasienter årlig enn anslått i metodevurderingen til brexu-cel.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen, og mener opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.

Versjonslogg*

Dato	Hva
11.08.2026	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](https://legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.

³ [TRANSCEND NHL 001 MCL Cohort](#)

⁴ [ZUMA-2 study](#)

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_025 Lisokabtagen maraleucel (Breyanzi) til behandling av voksne med relapsert eller refraktært mantelcellelymfom (MCL) etter minst to linjer med systemisk behandling, inkludert en Brutons tyrosinkinase (BTK)-hemmer.

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Dagens behandling; hovedtrekk: 1L: Voksne kvalifisert til autolog stamcelletransplantasjon, behandles i dag etter TRIANGLE-studien: alternerende 3x R-CHOP+ibrutinib / 3x R-DHAP, deretter vedlikehold med ibrutinib i to år og rituximab hver 2 mnd i tre år. Voksne som ikke kan behandles etter TRIANGLE-regimet, får vanligvis R-Bendamustin og rituximab vedlikehold. Noen indolente subtyper av MCL kan primært observeres uten behandling. 2L: BTK-hemmer. Men dersom pasienten får behandling etter TRIANGLE-regimet og progredierer under vedlikeholds-ibrutinib, har man en utfordring mtp sykdomskontroll før posisjon til å gi CAR-T. Man kan da f.eks prøve Lenalidomid-CD20as eller CD20as-kjemo. Evt kan man søke om å få benytte medikamenter off-label (f.eks glofitamab eller venetoclax).

	3L: CAR-T; Tecartus (individuell vurdering ut fra bl.a antatt toleranse for behandlingens bivirkninger). Dersom ikke kandidat for CAR-T: f.eks Lenalidomid-CD20 as. Noen få pasienter vil kunne vurderes for alloSCT i behandlingsforløpet. Komperator: Tecartus: ID2020_063
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Ja, det er behov for Breyanzi. Breyanzi og Tecartus er begge CAR-T produkter, men med ulik virkemåte, produksjon og bivirkningsprofil. Spesielt vil det være gunstig for pasientene - og helsevesenet - å benytte behandling med god effekt og lav bivirkningsprofil. For en pasient som kvalifiserer til CAR-T vil man enten benytte Breyanzi eller Tecartus. Man får derfor en valgmulighet. Breyanzi har i studier vist lavere forekomst av alvorlige bivirkninger av typen CRS og ICANS – enn Tecartus. Gitt like god effekt av behandlingen, tror jeg at Breyanzi vil være foretrukket produkt for mange pasienter. Pr i dag er imidlertid produksjonstiden for Breyanzi lengre enn for Tecartus – dvs at for noen pasienter vil man la tidsperspektivet være det avgjørende for valg av produkt.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Gjennomsnittlig 64 pasienter får diagnostisert MCL/år. Median alder ved diagnose er 73 år (ref kvalitetsregister). Ved metodevurdering for Tecartus anslo man at 7-10 pasienter pr år vil være aktuell for CAR-T pr år. Et viktig poeng (som også den gang ble presisert), er at antallet vil være avhengig av i hvilken grad man kan tilby behandling til eldre og pasienter med komorbiditet. Pga en lavere forekomst av alvorlige bivirkninger med Breyanzi vil flere har mulighet til å tolerere behandlingen.

4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).
Ingen

7. Avsender av faglig innspill	
Sykehus	Haukeland Universitetssykehus
Avdeling	Kreftklinikken
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Turid Løkeland, overlege
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Saksnummer 094-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2026_026 Afikamten (Myqorzo) som behandling av symptomatisk (New York Heart Association, NYHA, klasse II-III) obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati (oHCM) hos voksne pasienter.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren som har markedsføringstillatelse (MT): Cytokinetics.
- Anmodningen gjelder et nytt virkestoff: Afikamten. Afikamten er en myosinhemmer.
- Tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge: 12.02.2026.
- Leverandøren er kjent med at Nye metoder har behandlet følgende legemiddel/virkestoff til samme eller lignende indikasjon: [ID2023_104](#) Mavakamten (Camzyos).
- Leverandøren vurderer at afikamten har sammenlignbar effekt med mavakampten og foreslår at afikamten vurderes for innføring i samme pasientpopulasjon og med samme vilkår.
- Dagens behandling: Mavakampten brukes i dag som tillegg til behandlingen for pasienter som ikke får tilfredsstillende effekt av standardbehandling med betablokkere eller kalsiumantagonister.
- Pasientgrunnlag: I DMPs metodevurdering av mavakampten ble det estimert at 800 pasienter var aktuelle for behandling. En eventuell innføring av afikampten er ikke forventet å endre antallet aktuelle pasienter.
- Type helseøkonomisk analyse: Leverandøren foreslår en indirekte behandlingssammenligning (ITC) og en kostnadssammenligning med mavakampten.
- Forventet tidspunkt for levering av dokumentasjon: Oktober 2026.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Afikamten er en myosinhemmer. Fra før er myosinhemmeren mavakamten (Camzyos) metodevurdert og innført for tilsvarende indikasjon (ID2023_104). Metodevurderingen var en kostnad-nytte-analyse som sammenlignet mavakamten i kombinasjon med dagens standardbehandling (betablokker eller kalsiumantagonist) vs. dagens standardbehandling alene. Metoden ble besluttet innført 17.11.2025 med vilkår.
- I følge Hjerne- og karregisteret var det 2 102 pasienter med oHCM i Norge i 2020. I ID2023_104 ble det anslått at omtrent 700 pasienter var aktuelle for behandling med mavakamten.
- Vurdering fra DMP:
 - o Fagmiljøer i helseforetakene og Norsk Cardiologisk Selskap har gitt innspill til metoden. Innspillene viser til at mavakamten er relevant komparator i en metodevurdering av afikamten. De to legemidlene har samme virkningsmekanisme (myosinhemmere) og vil ha samme plass i behandlingsalgoritmen, som alternativer til hverandre.
 - o DMP vurderer at mavakamten, i kombinasjon med dagens standardbehandling (betablokker eller kalsiumantagonist), er relevant komparator i en ITC.
 - o DMP viser til retningslinjer for dokumentasjonsgrunnlag for metodevurdering av legemidler, og kravene til utarbeidelse av en ITC. Dersom ITCen viser sammenlignbar effekt og sikkerhet av afikamten og mavakamten, kan dette ligge til grunn for en kostnadsminimeringsanalyse.
- Anbefaling fra DMP:
 - o DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger trolig data som kan benyttes i en ITC. Ved sammenlignbar effekt og sikkerhet mellom afikamten og mavakamten kan en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnadsminimeringsanalyse) være aktuelt.

Innspill – innspillene er vedlagtInnspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: 1 innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: 1 innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- Norsk cardiologisk selskap: 1 innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Påvirker ingen nasjonale faglige retningslinjer/handlingsprogram.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret ble plassert hos RHF-ene 1.4.2025.

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: 11.05.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Cytokinetics
1.2 Navn kontaktperson	Hazel Dawson
1.3 Stilling kontaktperson	Senior Director, Market Access UK/Ireland/Nordics
1.4 Telefon	+44 7813 840870
1.5 E-post	hdawson@cytokinetics.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	N/A
1.7 Telefon og e-post	N/A

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?	Behandling av symptomatisk (New York Heart Association, NYHA, klasse II-III) obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati (oHCM) hos voksne pasienter.

<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>	
2.3 Handelsnavn	MYQORZO
2.4 Generisk navn/virkestoff	aficamten
2.5 ATC-kode	C01EB26 (proposed)
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i> <i>Skriv kort</i>	The dose range is 5 mg to 20 mg (either 5 mg, 10 mg, 15 mg, or 20 mg, flim-coated tablet). The recommended starting dose is 5 mg administered orally and once daily. A starting dose of 10 mg should be considered for patients with left ventricular outflow tract gradient (LVOT-G) $\geq$ 100 mmHg. The dose should be increased every 2 to 8 weeks by 5 mg until a maintenance dose or the maximum dose of 20 mg is achieved. The maintenance dose is individualised based on the patient's left ventricular ejection fraction (LVEF) and left ventricular outflow tract gradient (LVOT-G).
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Pharmatherapeutic group: Cardiac myosin inhibitor (CMI). Mechanism of action: Aficamten is a reversible allosteric CMI that binds directly to the motor domain of cardiac myosin and prevents it from entering the force-producing state. It is designed to reduce the hypercontractility in the cardiac sarcomere fundamental to the pathophysiology of HCM. The consequent reduction in cardiac contractility reduces LVOT obstruction in HCM patients.

3 Historikk – virkestoff og indikasjon

3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?	Ja ☐ Nei ☒ ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
---	--

<i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	
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: ID2023_104
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: 12.02.2026
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/006228 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: 12.02.2026
4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?	Ja ☐ Nei ☒ Beskrivelse:

<i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i>	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: Mavacamten, another CMI, is funded in Norway for the treatment of symptomatic oHCM in adult patients in Norway as an adjunctive therapy for patients who do not achieve adequate improvement with BBs or CCBs alone, and as monotherapy for patients who, for medical reasons, cannot use BBs or CCBs. Cytokinetics would like Myqorzo to be assessed for funding in the same patient population and position in the treatment pathway as mavacamten. Based on the indirect treatment comparison (ITC), Myqorzo and mavacamten have comparable efficacy.
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: ID2023_104
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: Treatment practice in oHCM differ between the Nordic countries.

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 ☐ 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? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	A cost-comparison analysis is suggested, comparing aficamten to mavacamten for the treatment of symptomatic oHCM in adult patients in Norway. The analysis would compare the use of aficamten as adjunctive therapy to existing standard of care with the use of mavacamten as adjunctive therapy to existing standard of care for patients who do not achieve adequate improvement with beta blockers (BBs) or calcium channel blockers (CCBs) alone, and monotherapy for patients who, for medical reasons, cannot use BBs or CCBs.
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Adult patients in Norway suffering from symptomatic oHCM who do not achieve adequate improvement with BBs or CCBs alone, and as monotherapy for patients who, for medical reasons, cannot use BBs or CCBs.
9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.)	Mavacamten, a CMI with the same indication as aficamten, was recently recommended in Norway for the treatment of symptomatic (NYHA, class II-III)

<i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i>	oHCM in adults, either in combination with BBs or CCBs or as monotherapy. An indirect treatment comparison (ITC), between Myqorzo and mavacamten, using the Bucher method, will be used as an evidence source for comparative efficacy in the application.
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	In NOMA's assessment of mavacamten, the eligible patient population was estimated to be approximately 800 in 2027. The introduction of Myqorzo is not expected to increase the eligible patient population. Further, the introduction of Myqorzo is expected to displace mavacamten use and therefore have no incremental budget impact. A budget impact analysis will be developed for the full dossier.
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>	October 2026

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>	Hypertrophic cardiomyopathy (HCM) is a chronic, genetically associated and progressive cardiovascular disease characterised by myocardial hypercontractility and left ventricular (LV) hypertrophy (American Heart Association, 2022; Elliott et al., 2014; Ommen et al., 2024). It can be broadly categorised into two forms based on the presence or absence of left ventricular outflow tract obstruction (LVOTO): obstructive HCM (oHCM) and non-obstructive HCM (nHCM). oHCM, which in Norway reportedly accounts for approximately 20-25% of patients with HCM, is characterised by thickening of the interventricular septum and abnormalities such as systolic anterior motion of the mitral valve, leading to dynamic LVOTO, the key pathophysiological mechanism underlying symptoms (Almaas, 2022; Hutt & Desai, 2024; M. Maron et al., 2022b; Young et al., 2018).

	Persistent obstruction increases intraventricular pressure and can lead to reduced cardiac output, mitral regurgitation, ischemia, and diastolic dysfunction (Glavaški et al., 2023). These clinical manifestations correspond to everyday symptoms like: shortness of breath, fatigue, exercise intolerance, palpitations (arrhythmias), dizziness or fainting (Marian and Braunwald 2017). References: Almaas, M.V., UTREDNING OG BEHANDLING AV PASIENTER MED HYPERTROFISK KARDIOMYOPATI FØR HENVISNING TIL SEPTUMREDUSERENDE BEHANDLING. Kardiologisk avdeling, Oslo universitetssykehus, Rikshospitale. 2021.” American Heart Association (2022). "Hypertrophic Cardiomyopathy (HCM). Last reviewed: May 13, 2022. Available from: https://www.heart.org/en/health-topics/cardiomyopathy/what-is-cardiomyopathy-in-adults/hypertrophic-cardiomyopathy. Accessed on: November 2, 2022." Elliott, P. M., et al. (2014). "2014 ESC Guidelines on diagnosis and management of hypertrophic cardiomyopathy: the Task Force for the Diagnosis and Management of Hypertrophic Cardiomyopathy of the European Society of Cardiology (ESC)." Eur Heart J 35(39): 2733–2779. Glavaški, M., et al. (2023). "Hypertrophic Cardiomyopathy: Genetic Foundations, Outcomes, Interconnections, and Their Modifiers." Medicina (Kaunas) 59(8). Hutt, E. and M. Y. Desai (2024). "Medical Treatment Strategies for Hypertrophic Cardiomyopathy." Am J Cardiol 212s: S33–s41. Marian, A. J. and E. Braunwald (2017). "Hypertrophic Cardiomyopathy: Genetics, Pathogenesis, Clinical Manifestations, Diagnosis, and Therapy." Circ Res 121(7): 749–770. Maron, M., et al. (2022). "Hypertrophic cardiomyopathy: Morphologic variants and the pathophysiology of left ventricular outflow tract obstruction. UpToDate. Topic 4947 Version 33.0. Last updated: Sept 06, 2022. Accessed on: November 25, 2022. "
--	--

	Ommen, S. R., et al. (2024). "2024 AHA/ACC/AMSSM/HRS/PACES/SCMR Guideline for the Management of Hypertrophic Cardiomyopathy: A Report of the American Heart Association/American College of Cardiology Joint Committee on Clinical Practice Guidelines." <i>Circulation</i> 149(23): e1239–e1311. Young, L., et al. (2018). "Hypertrophic cardiomyopathy: A complex disease." <i>Cleve Clin J Med</i> 85(5): 399–411.
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>	There is currently one CMI funded in Norway, mavacamten. It is used as an adjunctive therapy in addition to standard of care for patients who do not achieve adequate improvement with BBs or CCBs alone, and as monotherapy for patients who, for medical reasons, cannot use BBs or CCBs (NOMA 2024, Nye Metoder 2025). Invasive treatment (septal reduction therapy, SRT) to reduce LVOTO should be considered in patients with a LVOTO gradient ≥ 50 mmHg, severe symptoms (NYHA FC III–IV), and/or exertional or unexplained recurrent syncope despite maximally tolerated drug therapy (Arbelo, Protonotarios et al. 2023). References: Arbelo, E., et al. (2023). "2023 ESC Guidelines for the management of cardiomyopathies." <i>Eur Heart J</i> 44(37): 3503–3626. NOMA (2024). Mavakamten (Camzyos) Behandling av symptomatisk (New York Heart Association, NYHA, klasse II-III) obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati (oHCM) hos voksne pasienter ID2023_104.

	Nye Metoder (2025). "Decision - Mavacamten (Camzyos), ID2023_104." from https://www.nyemetoder.no/metoder/id2023_104/ .
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Although the prognosis of HCM has improved in recent years, there is currently no cure for it, and most available pharmacological therapies (with the exception of CMIs) primarily manage symptoms rather than modify disease progression. (Maron, Rowin et al. 2024) Most patients achieve a favorable prognosis, including near-normal life expectancy and sustained symptom control. However, the prognosis remains heterogeneous, and a subset of patients continues to be at risk of sudden cardiac death, heart failure progression, and atrial fibrillation-related complications. (Maron, Rowin et al. 2024) Mavacamten, which belongs to the new treatment class of CMIs, improves exercise capacity, symptoms, and other clinically relevant parameters, such as patient-reported outcomes and circulating biomarker. CMIs reduce guideline eligibility for septal reduction therapy candidates with oHCM and drug-refractory symptoms (Braunwald, Saberi et al. 2023, Maron, Masri et al. 2024). References: Braunwald, E., et al. (2023). "Mavacamten: a first-in-class myosin inhibitor for obstructive hypertrophic cardiomyopathy." Eur Heart J 44(44): 4622–4633. Maron, B. J., et al. (2024). "Advances in the Management of Hypertrophic Cardiomyopathy Leading to Low Disease-Related Mortality in 2023." Am J Cardiol 212s: S77–s82. Maron, M. S., et al. (2024). "Impact of Aficamten on Disease and Symptom Burden in Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy." Journal of the American College of Cardiology 84(19): 1821–1831.
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Aficamten is approved for the same patient population as mavacamten and is expected to have the same position in the treatment pathway as mavacamten.

	Aficamten is expected to be used in adult patients suffering from symptomatic oHCM who do not achieve adequate improvement with BBs or CCBs alone, and as monotherapy for patients who, for medical reasons, cannot use BBs or CCBs.
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>	The average yearly incidence of oHCM in Norway is approximately 335 persons, and the prevalence is approximately 5,304 patients (Værnø, Oteiza et al. 2024). In NOMA's assessment of mavacamten, the eligible patient population for the treatment with CMI was estimated at approximately 800 patients in 2027. (NOMA, 2024) It is expected that, following the introduction of MyQorzo, the overall number of patients eligible for the treatment with CMIs will remain stable, with both drugs sharing the market. References: NOMA (2024). Mavacamten (Camzyos) Behandling av symptomatisk (New York Heart Association, NYHA, klasse II-III) obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati (oHCM) hos voksne pasienter ID2023_104. Værnø, S. G., et al. (2024). Using Real-World Evidence to Estimate the Societal Burden of Obstructive Hypertrophic cardio myopathy in Norway: Productivity Losses from Absenteeism and Premature Death based on excess mortality. ISPOR Europe 2024; Barcelona, Spain

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	SEQUOIA-HCM, NCT05186818, Study Details NCT05186818 Phase 3 Trial to Evaluate the Efficacy and Safety of Aficamten Compared	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	to Placebo in Adults With Symptomatic oHCM ClinicalTrials.gov		
11.2 Studietype og -design	A phase 3, multi-center, randomized, double-blind, placebo-controlled trial	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	To evaluate the efficacy and safety of aficamten versus placebo in adults with symptomatic hypertrophic cardiomyopathy (HCM) and left ventricular outflow tract obstruction.	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>	Key Inclusion Criteria: Males and females between 18 and 85 years of age, inclusive, at screening. Body mass index <35 kg/m². Diagnosed with HCM per the following criteria: (1) Has left ventricular (LV) hypertrophy and non-dilated LV chamber in the absence of other cardiac disease and	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	(2) Has an end-diastolic LV wall thickness as measured by the echocardiography core laboratory of: ≥15 mm in one or more myocardial segments OR ≥13 mm in one or more wall segments and a known-disease-causing gene mutation or positive family history of HCM Has resting left ventricular outflow tract gradient (LVOT-G) ≥30 mmHg and post-Valsalva LVOT G ≥50 mmHg during screening as determined by the echocardiography core laboratory. Left ventricular ejection fraction (LVEF) ≥60% at screening as determined by the echocardiography core laboratory. New York Heart Association (NYHA) Functional Class II or III at screening. Hemoglobin ≥10g/dL at screening. Respiratory exchange ratio (RER) ≥1.05 and pVO₂ ≤90% predicted on the screening Cardiopulmonary		
--	---	--	--

	Exercise Test (CPET) per the core laboratory. Patients on beta-blockers, verapamil, diltiazem, or disopyramide should have been on stable doses for >6 weeks prior to randomization and anticipate remaining on the same medication regimen during the trial. Patients treated with disopyramide must also be concomitantly treated with a beta blocker and/or calcium channel blocker. Key Exclusion Criteria: Known or suspected infiltrative, genetic or storage disorder causing cardiac hypertrophy that mimics oHCM (eg, Noonan syndrome, Fabry disease, amyloidosis). Significant valvular heart disease (per investigator judgment). History of LV systolic dysfunction (LVEF <45%) or stress cardiomyopathy at any time during their clinical course. Inability to exercise on a treadmill or bicycle (eg, orthopedic limitations). Has been treated with septal reduction therapy (surgical myectomy or percutaneous alcohol septal ablation) or has		
--	--	--	--

	plans for either treatment during the trial period. Documented paroxysmal atrial fibrillation during the screening period. Paroxysmal or permanent atrial fibrillation is only excluded if (1) rhythm restoring treatment (eg, direct-current cardioversion, atrial fibrillation ablation procedure, or antiarrhythmic therapy) has been required ≤ 6 months prior to screening, or (2) rate control and anticoagulation have not been achieved for at least 6 months prior to screening. History of syncope or sustained ventricular tachyarrhythmia with exercise within 6 months prior to screening. Has received prior treatment with aficamten or mavacamten.		
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Aficamten tablets (5 mg, 10 mg, 15 mg, or 20 mg) administered orally once daily as an adjunct to standard of care.	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 tablets administered orally once daily as an adjunct to standard of care.	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 endpoint: Change in pVO ₂ by cardiopulmonary exercise testing (CPET) Secondary endpoints: Change in Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire-Clinical Summary Score (KCCQ- CSS) Proportion of patients with NYHA class improvement Change in post-Valsalva LVOT-G Proportion of patients achieving LVOT-G < 30 mmHg Change in total workload during CPET Duration of guideline eligibility for SRT for patients who were eligible for SRT at baseline	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>	The key subgroup analysis evaluated patients with and without beta-blocker background therapy. MyQorzo demonstrated efficacy across both subgroups. Other performed subgroup analyses were defined according to sex, age, body mass index, NYHA functional class, left ventricular ejection fraction, NT-proBNP, method of cardiopulmonary exercise testing, peak oxygen uptake, resting left ventricular outflow tract gradient, Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire clinical summary score (KCCQ-CSS) and genetic testing result.	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</i>	Baseline to Week 24	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingsstid for studien			
11.10 Tidsperspektiv resultater Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt	Current data cut: 19.12.2023 Next data cut: Not applicable Final analysis: 19.12.2023	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.11 Publikasjoner Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon	Maron, M. S., Masri, A., Nassif, M. E., Barrialess-Villa, R., Arad, M., Cardim, N., Choudhury, L., Claggett, B., Coats, C. J., Düngen, H. D., Garcia-Pavia, P., Hagège, A. A., Januzzi, J. L., Lee, M. M. Y., Lewis, G. D., Ma, C. S., Michels, M., Olivotto, I., Oreziak, A.,...Abraham, T. P. (2024). Aficamten for Symptomatic Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy. N Engl J Med, 390 (20), 1849–1861. https://doi.org/10.1056/NEJMoa2401424	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?	Ja ☒ Nei ☐ Open-label Extension Study to Evaluate the Long-term Safety and Tolerability of Aficamten in Adults

<i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i>	With HCM (FOREST-HCM). NCT04848506. Study Details NCT04848506 Open-label Extension Study to Evaluate the Long-term Safety and Tolerability of Aficamten in Adults With HCM ClinicalTrials.gov The baseline to the end of the study is up to 5 years.
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja ☒ Nei ☐ Phase 3 Trial to Evaluate the Efficacy and Safety of Aficamten Compared to Placebo in Adults With Symptomatic Non-Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy (nHCM), (ACACIA-HCM). NCT06081894. Study Details NCT06081894 Phase 3 Trial to Evaluate the Efficacy and Safety of Aficamten Compared to Placebo in Adults With Symptomatic nHCM ClinicalTrials.gov

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	Not applicable.

14 Andre relevante opplysninger	
14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen?	Ja ☐ Nei ☒ Cytokinetics will be in contact with a Norwegian clinical expert before submitting the full STA application.

<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>	
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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
14.3 Andre relevante opplysninger?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2026_026
Virkestoff (handelsnavn)	Myqorzo (afikamten)
Virkningsmekanisme	Afikamten er en reversibel allosterisk hjertemyosin-hemmer.
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder et nytt virkestoff. Legemidlet fikk markedsføringstillatelse (MT) i Europa 12.02.2026 (1).
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? Ja ☐ Nei ☒
Bruksområde	Behandling av symptomatisk (New York Heart Association, NYHA, klasse II-III) obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati (oHCM) hos voksne pasienter (2).
Dosering	Den anbefalte startdosen er 5 mg oralt én gang daglig. En startdose på 10 mg bør vurderes for pasienter med LVOT-G $\geq$ 100 mmHg. Dosen skal økes hver 2. til 8. uke med 5 mg inntil en vedlikeholdsdose eller maksimal dose på 20 mg oppnås. Vedlikeholdsdosen er individualisert basert på pasientens LVEF og LVOT-G.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Leverandør (Cytokinetics)
Bakgrunn	Hypertrofisk kardiomyopati (HCM) er en hjertemuskelsykdom hvor deler av eller hele hjertemuskelen fortykkes, og hvor annen sykdom ikke kan forklare hvorfor fortykkelsen har oppstått. Den obstruktive varianten (oHCM) er definert som en venstre ventrikel hypertrofi (definert som veggtykkelse $\geq$ 15 mm eller $\geq$ 13 mm ved familiær HCM) og en venstre ventrikel utstrømning obstruksjon (utløpshinder) på minst 30 mmHg ved hvile eller provokasjon. oHCM er en kronisk progressiv sykdom med mangfoldig klinisk presentasjon og forløp. Pasienter med oHCM kan oppleve blant annet dyspne, tretthet, hjertebank, brystsmertesmerter og synkope. De fleste pasientene har en progressiv omstrukturering av hjertets muskel, noe som fører til kardiologisk dysfunksjon og potensiell utvikling av hjertesvikt (3). Afikamten er en myosinhemmer. Fra før er myosinhemmeren mavakamten (Camzyos) metodevurdert og innført for tilsvarende indikasjon (ID2023_104). Metodevurderingen var en kostnad-nytte-analyse som sammenlignet mavakamten i kombinasjons med dagens standardbehandling (betablokker eller kalsiumantagonist) vs. dagens standardbehandling alene. Metoden ble besluttet innført 17.11.2025 med vilkår (se metodesiden). I følge Hjerteregisteret var det 2 102 pasienter med oHCM i Norge i 2020. I ID2023_104 ble det anslått at omtrent 700 pasienter var aktuelle for behandling med mavakamten. Effekt og sikkerhet av afikamten er undersøkt i SEQUOIA-HCM, en fase III, multisenter, randomisert, dobbeltblindet, placebokontrollert studie. Studien inkluderte 282 voksne pasienter med symptomatisk oHCM, som ble randomisert 1:1 mellom studiearmene. Pasientene var mellom 18 og 85 år og fikk fortsette med relevant bakgrunnsbehandling hvis denne var stabil de siste 6 ukene før randomisering. Pasienter som var tidligere behandlet med mavakamten var ekskludert fra studien. Primærendepunktet i SEQUOIA-HCM var endring fra baseline til uke 24 i pVO2 målt med kardiopulmonal belastningsundersøkelse.

	Sekundære endepunkter inkluderte blant annet andel pasienter med forbedring i NYHA-klasse. Resultatene fra studien er publisert (4). Cytokinetics skriver i anmodningen at de ønsker å levere dokumentasjon som sammenligner effekt og sikkerhet av afikamten med mavakamten ved en indirekte behandlingssammenligning (ITC), og at denne vil ligge til grunn for en kostnadssammenligning mot mavakamten. Cytokinetics mener at vilkårene som gjelder for mavakamten også er relevante for afikamten.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Fagmiljøer i helseforetakene og Norsk Cardiologisk Selskap har gitt innspill til metoden. Innspillene viser til at mavakamten er innført, og at dette er relevant komparator i en metodevurdering av afikamten. De to legemidlene har samme virkningsmekanisme (myosinhekkere) og vil ha samme plass i behandlingsalgoritmen, som alternativer til hverandre. DMP vurderer at mavakamten, i kombinasjon med dagens standardbehandling (betablokker eller kalsiumantagonist), er relevant komparator i en ITC. DMP viser til retningslinjer for dokumentasjonsgrunnlag for metodevurdering av legemidler, og kravene til utarbeidelse av en ITC. Dersom ITCen viser sammenlignbar effekt og sikkerhet av afikamten og mavakamten, kan dette ligge til grunn for en kostnadsminimeringsanalyse.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger trolig data som kan benyttes i en ITC. Ved sammenlignbar effekt og sikkerhet mellom afikamten og mavakamten kan en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnadsminimeringsanalyse) være aktuelt.

Kilder:

1. DMP, Legemiddelsøk. [Legemiddelvisning - Direktoratet for medisinske produkter](#)
2. Preparatomtale (SPC) MyQorzo. [Myqorzo, INN-afikamten](#)
3. ID2023_104: Camzyos (mavakemten) – Metodevurdering. [id2023_104 mavakamten camzyos obstruktiv-hypertrofisk-kardiomyopati---subgruppe---metodevurdering-offentlig-versjon-1.pdf](#)
4. Maron, M. S., et. al. Aficamten for Symptomatic Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy. N Engl J Med, 390 (20), 1849 1861. [Aficamten for Symptomatic Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy](#)

Versjonslogg*

Dato	Hva
11.08.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP

*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](#). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_026

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Behandlingen for pasienter med obstruktiv hypertrof kardiomyopati i Norge følger ESC 2023 retningslinjer for kardiomyopati. For å behandle obstruksjonen i utløpet av venstre hjertekammer (LVOTO) er førstevalget betablokker og kalsiumblokker. Myosinhemmeren Mavacamten er sidestilt med disopyramid for de som ikke oppnår god symptomlindring på betablokker kombinert med kalsiumblokker eller ikke tåler slik behandling. Septumreducerende behandling med alkoholablasjon er tredjevalg i retningslinjene siden dette en invasiv behandling, men i praksis er dette sidestilt med bruk av myosinhemmer og behandlingsvalg avgjøres oftest basert på anatomisk egnethet og alder etter diskusjon med pasienten (shared-decision making). Disopyramid har over tid hatt leveringsvansker og gir sjelden god behandlingseffekt og brukes ganske lite i Norge. Kirurgisk myektomi er et alternativ, men siden dette er den mest inngripende behandlingen blir dette oftest brukt om det foreligger annen indikasjon for hjertekirurgi (oftest relatert til klaffelidelse).

	Mavacamten ble godkjent av Nye metoder (ID2023_104) og har vært tilgjengelig i det norske markedet i 2026. Søker ber om vurdering av aficamten i tråd med godkjenning for mavacamten da indikasjon, virkningsmekanisme og effekter synes å være like. Selv om det er noen forskjeller i inklusjonskriterier og endepunkter i studiene som er gjennomført for mavacamten og aficamten oppfattes medikamentene som sidestilte, i tråd med søknaden om metodevurdering for aficamten. Begge medikamentene har i fase 3 studier viste tilsvarende effekter på utløpsopstruksjon ved oHCM. Mavacamtenstudien brukte provosert gradient på minst 50 mmHg som inklusjonskriterium vedrørende utløpsobstruksjonen, mens aficamtenstudien også aksepterte hvilegradient på minst 30 mmHg. Dette medfører i praksis ingen endring, da de aller fleste med hvilegradient på minst 30 mmHg vil passere 50 mmHg ved provokasjon. Det mangler langtidsdata på kliniske endepunkter. Mavacamten forbedret det primære endepunktet maksimalt oksygenopptak med 1,4 mL/kg/min 30 uker (Olivotto, et al. Lancet 2020; 396:759–69), hvor tilsvarende tall for aficamten var 1,7 mL/kg/min over 24 uker (Maron, et al. New Engl J Med. 2024; 390:1849-61). Begge medikamenter har vist effekt på pasientenes symptombyrde som i stor grad er overlappende og i åpne forlengelsesstudier har de vist at effekten opprettholdes uten oppdagelse av spesielle forhold av betydning for pasientsikkerheten. Medikamentene oppfattes som sidestilte og dette støttes også av konsensusdokument forfattet av internasjonale eksperter på vegne av European Journal of Heart Failure (Meder, et al. Eur J Heart Fail. 2026; 28:299-314).
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling	Ja, det er behov for metoden. Aficamten vil bli brukt som alternativ til mavacamten, dvs det vil være to medikamenter

(i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	med tilsynelatende like effekter på samme indikasjon. Det forventes at medikamentet vil bli brukt i tilnærmet samme grad som Mavacamten, dvs at markedet sannsynligvis vil bli delt mellom disse to leverandørene.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Det er i søknad angitt at DMP har angitt pasientpopulasjonen til ca 800. HCM har generelt en angitt prevalens på 1 av 500, som skulle tilsi ca 10.000 i Norge og oHCM utgjør 20-25% av disse. Det skulle tilsi 2.000-2.500 med tilstanden totalt i Norge.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Nei
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	<i>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</i>

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Undertegnede har ingen relasjoner eller aktiviteter som påvirker denne uttalelsen. Det eneste som kan nevnes er at jeg har diskutert de faglige fakta med relevante fagpersoner i egen klinikk. Noen av disse har vært involvert i de siste utprøvelser av myosinhemmere.

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	St. Olavs hospital
Avdeling	Hjerte- og thoraxklinikken.
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Ole Christian Mjølstad; Klinikksjef, overlege

Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_026 Aficamten (Myqorzo)

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Etablert medikamentell behandling for pasienter med obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati (oHCM), dvs peak hvile/provosert gradient >30 mmHg i LVOT og symptomer tilsvarende NYHA 2-3, er førstevalg betablokkerbehandling og direkte virkende kalsiumantagonister (f.eks. Verapamil), og andrevalg kombinasjonen betablokker/Verapamil og disopyramid (Rythmodan, registreringsfritak). Hos en stor andel av pasientene er slik behandling ikke tilstrekkelig, dvs at pasientene fortsatt har symptomer NYHA >2 og peak-hvile/provosert LVOT-gradient > 50 mmHg, eller pasientene får kun betablokker-bivirkninger og ingen symptomatisk effekt. Disse pasientene kan nå få tilbud om myosinhemmeren Mavacamten/Camzyos (H-resept, NYHA 2-3), eller de kan få tilbud om septumreducerende behandling (SRT) enten kateterbasert intervensjon med alkohol septum ablasjon (ASA) eller åpen hjerteoperasjon med kirurgisk myektomi. På nasjonalt nivå er ASA et godt etablert behandlings-tilbud på Rikshospitalet, og på godt selekterte pasienter har ASA-behandling rimelig god symptomatisk effekt. Ved ASA er det imidlertid ca 10% risiko for behov for permanent pacemaker i etterkant. På Rikshospitalet gjøres det,

	på selekterte pasienter, i noe økende grad kirurgiske myektomier. Komparator i en event metodevurderiong: Medikamentell behandling med betablokker, Verapamil, kombinasjonen betablokker/Verapamil og disopyramid (Rythmodan, registreringsfritak), og Mavacamten/Camzyos (H-resept), og SRT med ASA (10% risiko for permanentn pacemaker) eller kirurgisk myektomi (åpen hjertekirurgi).
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Er det klinisk behov: Ja. Det er et stort behov for effektiv medikamentell behandling til symptomatiske oHCM-pasienter. Studier har vist at betablokker har sværtbegrenset symptomatisk og gradinet-reduserende effekt, og gir ofte kun bivirkninger. Ofte påføres pasienten kun bivirkninger og ingen bedring i symptomer. Myocinhemmeren Mavacamten/Camzyos (H-resept) er både effektiv og trygg, har lite bivirkninger, og der uønsket effekt med redusert EF er reversibel. Aficamten vil komme i tillegg til medikamentell behandling med betablokker, Verapamil, kombinasjonen betablokker/Verapamil og disopyramid (Rythmodan) og i tillegg til Mavacamten (H-resept). Aficamten vil også komme i tillegg til SRT med ASA eller kirurgisk myektomi. På samme måte som Mavacamten vil Afikamten få en svært sentral rolle i behandlingen av oHCM-pasienter. Det vil være en stor fordel å kunne spille på 2 ulike myocin-hemmere, som har ulike farmakologisk effekter, ulike bivirkningsprofiler og ulik interaksjon med andre legemidler. I motsetning til Mavacamten har Aficamten kort halveringstid og flatere responskurve. Aficamten-behandling krever derfor færre polikliniske kontroller med ekkokardiografi, og kan være en fordel hos pasienter som allerede står på mange medisiner. Mavacamten har en lang liste over legemiddelinteraksjoner (omsettes i lever via enzymet CYP2C19). En stor utfprdring er å behandle oHCM-pasienter som også har behandlingskrevende hypertensjon

	(HT); og de er det mange av! Hos oHCM-pasienter er perfiert virkende BT-senkende medikamenter/perifert dilaterende medikamenter som ACE-hemmere, A2-blokkere, Alfa-blokkere, diuretika, tiazider og nitrater delvis eller helt kontraindisert – da slike medikamenter vil opprettholde obstruksjonen i LVOT. Dersom myocinhemmende behandling reduserer obstruksjonen i LVOT (LVOTO) adekvat, vil det åpne muligheter for vesentlig mer effektiv HT-behandling.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Prevalens av HCM er anslått til 1:500-1000, og av disse er mulig opp til 2/3 obstruktive med signifikant gradient i LVOT. En høy andel av oHCM-pasienter har også symptomer tiulsvarende NYHA 2-3, og studier har vist at etablert behandling med betablokker ikke gir adekvat effekt på symptomer og gradient i LVOT, eller kun gir bivirkninger. De fleste pasienter ønsker å unngå åpen hjerteoperasjon, og de fleste ønsker også å forsøke medikamentell behandling fremfor å risikere behov for permanent pacemaker ved ASA-prosedyre (ca 10% av pasientene trenger parmanent PM etter ASA). Det er derfor et høyt antall oHCM-pasienter som vil være aktuelle for effektiv myocinhemmende behandling – som har vist seg både å være effektiv ifht å bedre symptomer, øke O2-opptak, redusere obstruksjonen i LVOT (LVOTO), og bedre pasient-tilfredshet. Det vil være en stor fordel å kunne vlge mellom 2 ulike myocinhemmere, Mavacamten og Aficamten; to medikamenter med ulike profil.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Siden 1/1-2026, da Mavacamten ble godkjent på H-resept, har Kardiologisk avdeling, Rikshosptialet, mottatt en rekke henvisninger fra andre sykehus og avtalespesialister som behandler oHCM-pasienter som fortsatt har plagsomme symptomer på betablokker- eller Verapamil-behandling, som ikke får refusjon fra HELFO på Rythmodan-behandling, og som ber om råd ang valg av behandling rettet mot LVOTO – enten tillegg av medikamentell myocinhemmende behandling eller SRT med invasiv kateterbasert ASA (risiko for permanent

	pacemaker) eller kirurgisk myektomi (åpen hjertekirurgi).
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

U.t. jobber som overlege på Kardiologisk avdeling, Rikshospitalet, og utreder og behandler HCM-pasienter, både obstruktive og non-obstruktive HCM-pasienter. Jeg var involvert som fag-ekspert ifbm metodevurdering av Mavacamten/Camzyos, og har hatt oppdrag for firmaet BMS.

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	Oslo Universitetssykehus, Rikshospitalet
Avdeling	Kardiologisk avdeling
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Vibeke Marie Almaas. Overlege. PhD.
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Innspill til Nye metoder fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_026 Aficampten (Myqorzo)

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Siste Europeiske retningslinjer er fra 2023. Men det foreligger uttalelser omkring i “European journal of Heart Failure expert consensus statement on the diagnosis and management of hypertrophic cardiomyopathy”. (<i>European Journal of Heart Failure</i> , Volume 28, Issue 2, February 2026, Pages 299–314) Komparator: Andre direkte myosinhemmere, Mavacampten ATC nr C01E B24 – bør vurderes for lignende effekt. Beslutning i beslutningsforum ID 2023_104.
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Legemiddelet bør vurderes som en alternativ til eksisterende behandling med myosinhemmer. Foreslår at Aficampten kan vurderes for samme plass i behandlingsalgoritmene som Mavacampten som alternativ og i utgangspunktet ikke som tilleggsbehandling.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen	Ingen kommentar.

som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Behov for gentest i forkant av bruk er ulik for myosinhemmerne og kan ha betydning for praktisk klinisk bruk/klinikers valg av medikament.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	x

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Ingen interessekonflikter

7. Avsender av faglig innspill

Fagmedisinsk forening	Norsk Cardiologisk Selskap
Navn, stilling og arbeidsplass	Eva Rice, overlege kardiologi Helse Møre og Romsdal.
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Saksnummer 095-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2024_051 Sipavibart (Kavigale) som preeksoneringsprofylakse av covid-19 hos voksne og ungdom i alderen 12 år og eldre som veier minst 40 kg og er immunkompromittert på grunn av en medisinsk tilstand eller immundempende behandling.

Bakgrunn

- Bestillerforum har tidligere behandlet anmodning fra leverandør om den aktuelle metoden (21.10.2024, se [ID2024_051](#)). Det ble da ikke gitt et oppdrag om metodevurdering, bl.a. med henvisning til at effekt av og behov for legemidlet vil variere avhengig av virusvarianter og smittetrykk.
- Leverandør har nå anmodet på nytt.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren som har markedsføringstillatelse (MT): AstraZeneca.
- Anmodningen gjelder et nytt virkestoff: sipavibart.
- Sipavibart er et rekombinant langtidsvirkende monoklonalt humant IgG1-antistoff (LAAB, long-acting antibody) mot covid-19. Sipavibart vil kunne gi passiv immunisering uavhengig av mottakerens immunstatus.
- Leverandør viser til at en ny variant av SARS-CoV-2, BA.3.2, ble påvist i Norge i desember 2025 og at denne varianten ifølge FHIs siste oversikt nå er dominerende. Sipavibart har ifølge leverandør vist nøytraliserende effekt mot denne varianten.
- Leverandør viser til at det tidligere har vært tilgjengelig en lignende langtidsantistoffterapi for akutt behandling og pre-eksponeringsprofylakse mot covid-19 (Evusheld, se [ID2022_034](#)). Grunnet hyppige mutasjoner og utvikling av nye virusvarianter er denne ikke lenger tilgjengelig.
- Dagens behandling: Tilgjengelige vaksiner er vist å gi god effekt til immunkompetente individer. Immunkompromitterte pasienter har i dag ikke tilgang på forebyggende behandling, og begrenset tilgang på akutt behandling pga. interaksjonsproblematikk for antivirale legemidler.
- Pasientgrunnlag: Det er tidligere estimert 1500-2000 aktuelle pasienter. Det faktiske behovet kan ligge noe lavere.
- Tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge: 20.01.2025
- Type helseøkonomisk analyse: Leverandør viser til egnethetsvurdering og anbefalingen fra DMP relatert til den tidligere anmodningen. Leverandør ønsker en direkteavtale med Sykehusinnkjøp tilsvarende tidligere avtaler for covid-19-legemidler (se [ID2022_034](#)).

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt)

- Ifølge innspill fra fagmiljøet vil passiv immunisering ved bruk av LAAB tidlig på vinteren (før forventet «bølge») kunne beskytte mot utvikling av alvorlig covid-19 hos de aktuelle pasientene, gitt at aktuelt LAAB fungerer mot den sirkulerende virusvarianten
- Vurdering fra DMP:
 - o Et variantbilde i stadig endring vil påvirke både den relative og absolutte effekten som kan forventes av sipavibart. Videre vil smittetrykket i befolkningen påvirke den absolutte effekten av legemiddelet.
 - o Ifølge siste statusrapport fra FHI forekommer omikron-varianten BA.3.2 i Norge.
 - o Det mangler kliniske data som viser at sipavibart gir beskyttelse mot BA.3.2. Det er imidlertid vist at sipavibart kan nøytralisere BA.3.2.2 in vitro.

- Anbefaling fra DMP:
 - DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen. Effekten av sipavibart, og dermed kostnadseffektiviteten, vil avhenge av sirkulerende virusvarianter og smittetrykk. Dette er faktorer som kan endre seg over relativt kort tid. Tidsbruken ved en metodevurdering av et enkeltlegemiddel, basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør, vil derfor ikke være hensiktsmessig for denne typen legemiddel. DMP mener opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: 1 innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Påvirker ingen nasjonale retningslinjer eller handlingsprogram.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret ble plassert hos RHF-ene 1.11.2024.

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: 06.05.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	AstraZeneca
1.2 Navn kontaktperson	Nils Gunnar Løvsletten
1.3 Stilling kontaktperson	Market access manager
1.4 Telefon	+4797098098
1.5 E-post	nilsgunnar.loevsletten@astrazeneca.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	N/A
1.7 Telefon og e-post	N/A

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?	Kavigale (sipavibart) er indisert til preeksponeringsprofylakse av covid-19 hos voksne og ungdom i alderen 12 år og eldre som veier minst 40 kg og

<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>	er immunkompromittert på grunn av en medisinsk tilstand eller immundempende behandling Kavigale skal brukes i samsvar med eventuelle offisielle anbefalinger og på grunnlag av informasjon om sipavibarts aktivitet mot for tiden sirkulerende virusvarianter.
2.3 Handelsnavn	Kavigale
2.4 Generisk navn/virkestoff	Sipavibart
2.5 ATC-kode	J06BD09
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingsslengde</i> <i>Skriv kort</i>	Intramuskulær injeksjon
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Sipavibart er et rekombinant langtidsvirkende monoklonalt humant IgG1-antistoff (LAAB, long-acting antibody) mot covid-19. Sipavibart gir passiv immunisering ved å binde seg til SARS-CoV-2-spike-proteinets reseptorbindende domene. Sipavibart vil kunne gi passiv immunisering uavhengig av mottakerens immunstatus og er derfor et sårt tiltrengt behandlingsalternativ for pasienter som ikke kan vaksineres eller for de der vaksinasjon gir utilstrekkelig beskyttelse. Sipavibart er en videreutvikling av cilgavimab og tixagevimab, som var virkestoffene i Evusheld.

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_051

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: 20.01.2025
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: EMA/H/C/006291
	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: 20.01.2025
4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?	Ja ☐ Nei ☒ Beskrivelse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.	
4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?	Ja ☒ Nei ☐
4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA? Hvis ja, fyll ut dato	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: Det har tidligere vært tilgjengelige en lignende langtidsantistoffterapi for akutt behandling og pre-eksponeringsprofylakse mot covid-19 (Evusheld - ID2022_034) produsert av AstraZeneca. Passiv immunisering ved bruk av Evusheld reduserte den kombinerte frekvensen av covid-19-infeksjoner, dødelighet og behov for sykehusinnleggelse (1,2). Grunnet hyppige mutasjoner og utvikling av nye virusvarianter er Evusheld ikke lenger tilgjengelig. Det er ingen andre forebyggende behandlinger mot covid-19 tilgjengelig for aktuell pasientpopulasjon. 1) Levin MJ, Ustianowski A, De Wit S, Launay O, Avila M, Templeton A, et al. Intramuscular AZD7442 (Tixagevimab–Cilgavimab) for Prevention of Covid-19. New England Journal of Medicine. 2022;386(23):2188-200. 2) Ghoom S, Fergany A, El-Araby D, Abdelkhalek AA, Gomaa A, Zayed EO, et al. The efficacy of tixagevimab/cilgavimab (Evusheld) in prophylaxis and treatment of COVID-19 in immunocompromised patients: a systematic review and meta-analysis. Eur J Med Res. 2024;29(1):27
6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye	Ja ☐ Nei ☒ Legemiddel og ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen? <i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i>	
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: Med henvisning til egnethetsvurdering og anbefalingen fra DMP, basert på tidligere anmodning om sipavibart (ID2024_051), vurderes ikke en tradisjonell metodevurdering som egnet for denne typen legemidler (3) 3) Sakspapirer Bestillerforum 21.10.2024 (ID2024_051) https://www.nyemetoder.no/490e12/contentassets/02c4d8c8cdba4ea28f9d586cf3d46d50/endrede-sakspapirer-febr-2026/bestillerforum-21.10.2024_sakspapirer_offentlige_oppdateret-09.02.2026.pdf
---	--

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 ☐ 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? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	AstraZeneca anmoder om en direkteavtale med Sykehusinnkjøp for Kavigale (sipavibart) tilsvarende tidligere avtaler for covid-19-legemidler (se ID2022_034). I egnethetsvurderingen for sipavibart i oktober 2024 (ID2024_051) konkluderte DMP med at en tradisjonell metodevurdering ikke er egnet for denne typen
--	--

	legemiddel: "Effekt og kostnadseffektivitet vil variere basert på sirkulerende virusvarianter og smittetrykk. Gitt at dette er faktorer som kan endre seg over relativt kort tid, vil tidsbruken ved en metodevurdering basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør ikke være hensiktsmessig for denne typen legemiddel." (4) AstraZeneca mener at det raskt skiftende variantbildet krever fleksibilitet i vurderingsprosessen, slik det også tidligere er lagt til grunn for legemidler mot covid-19. Ettersom SARS-CoV-2 kontinuerlig muterer, innebærer en langvarig metodevurderingsprosess en betydelig risiko for at beslutningsgrunnlaget er utdatert når vurderingen foreligger. Fleksibilitet i vurderingsprosessen er derfor avgjørende for å sikre at beslutninger om tilgang til forebyggende covid-19-behandling for en liten og særlig sårbar gruppe tilpasses den til enhver tid gjeldende epidemiologiske situasjonen. En ny variant av SARS-CoV-2, kalt BA.3.2, ble påvist i Norge i desember 2025 og er klassifisert som en variant under overvåkning av Verdens helseorganisasjon (5). Basert på siste oversikt fra Folkehelseinstituttet er BA.3.2 nå den dominerende varianten i Norge (6). Sipavibart har vist nøytraliserende effekt mot denne varianten (7), noe som vil bidra til å forhindre alvorlig covid-19-sykdom hos pasienter som har stor risiko for komplikasjoner. 4) Sakspapirer Bestillerforum 21.10.2024 (ID2024_051) https://www.nyemetoder.no/490e12/contentassets/02c4d8c8cdba4ea28f9d586cf3d46d50/endrede-sakspapirer-febr-2026/bestillerforum-21.10.2024_sakspapirer_offentlige_oppdateret-09.02.2026.pdf 5) WHO TAG-VE Risk Evaluation for SARS-CoV-2 Variant Under Monitoring: BA.3.2 https://cdn.who.int/media/docs/default-source/documents/epp/tracking-sars-cov-2/05122025_ba.3.2_ire.pdf#:~:text=BA.3.2%20has%20been%20designated%20a%20SARS%2DCoV%2D2%20Variant,demonstrates%20antigenic%20drift%20and%20reduced%20neutralization%20in 6) Statusrapport for luftveisinfeksjoner Sesongen 2025/26 https://www.fhi.no/contentassets/8a971e7b0a3c4a06bdf381ab52e6157/vedlegg/0.ukerapporter-2026/statusrapport-for-luftveisinfeksjoner_2026_12.pdf 7) Poster ESCMID, Cai et al https://www.congresspublication.com/content/dam/intelligentcontent/congress-publications/assets/biopharma/v---i/2026/escmid/dv-006886/DV-006886_P5240_Cai_Sipavibart%20neutralises_ePoster.pdf?utm_campaign=ESCMID2026_Cai_DV-006886_Sipavibart%20neutralises%20newly%20emergent&utm_contentcategory=#Preclinical
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Ingen helseøkonomisk modell. Tilgang til sipavibart vil gi beskyttelse ved passiv immunisering uavhengig av mottakerens

	immunstatus, dvs. for pasienter som ikke kan vaksineres eller for de der vaksinasjon gir utilstrekkelig immunrespons og beskyttelse. Dette er en svært begrenset pasientpopulasjon som det allerede har blitt investert store ressurser og helsekroner til gjennom kostbare sykehusopphold og behandlinger slik som transplantasjonskirurgi, benmargstransplantasjon, CAR-T med mer, og som har et stort umøtt medisinsk behov.
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>	H2H SUPERNOVA + Poster P5240 ESCMID (Cai et al. Sipavibart neutralises newly emergent SARS-CoV-2 BA.3.2.2 variant)
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Legemiddelet har ikke godkjent pris (maks AUP)
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>	Forutsatt en direkte forhandling med sykehusinnkjøp kan dialog initieres kort tid etter behandling i Bestillerforum.

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>	Koronaviruset, SARS-CoV-2, er årsaken til covid-19 (coronavirus disease 2019). Viruset er svært smittsomt og smitter hovedsakelig via dråpe- og kontaktsmitte, og sto bak den verdensomspennende koronapandemien i 2020. Etter at majoriteten av befolkningen har gjennomgått sykdommen, samt introduksjon av effektive vaksiner er covid-19 ikke lenger en sykdom som setter begrensninger på vanlig folks liv. Til tross for dette svekkes beskyttelsen mot smitte med tiden, og viruset endrer seg fortsatt hyppig. Dermed vil nye, mindre bølger av epidemien oppstå. For pasientgrupper med redusert immunforsvar (immunkompomitterte pasienter) utgjør covid-19 fortsatt en betydelig helserisiko. Immunkompromitterte pasienter vil normalt ikke oppnå tilstrekkelig vaksinerespons, og har en betydelig forhøyet risiko for å utvikle alvorlig covid-19-sykdom som kan medføre

	sykehusinnleggelse, intensivbehandling, sykелighet og dødsfall (8). 8) Evans RA, Dube S, Lu Y, Yates M, Arnetorp S, Barnes E, et al. Impact of COVID-19 on immunocompromised populations during the Omicron era: insights from the observational population-based INFORM study. The Lancet Regional Health – Europe. 2023;35.
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Infeksjonssykdommer
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>	Dagens tilgjengelige covid-19-vaksiner er vist å gi god beskyttelse mot alvorlig sykdom hos immunkompetente individer. Dog er immunkompomitterte pasienter fortsatt utsatt for en betydelig helserisiko ved covid-19-smitte og har i dag ingen tilgang på effektiv forebyggende behandling. Aktuell pasientgruppe har også svært begrenset tilgang på akutt behandling mot covid-19-sykdom, noe som blant annet skyldes kraftig interaksjonsproblematikk for antivirale legemidler slik som Paxlovid (9). Det er dermed et stort umøtt medisinsk behov for disse få individene. Regulatoriske myndigheter i USA (FDA) og Europa (EMA) har også anerkjent det store behovet for å fremskynde utviklingen av monoklonale antistofferterapi mot nye covid-19-virusvarianter, spesielt med fokus på pre-eksponeringsprofylakse for immunkompromitterte pasienter (10). Dette reflekteres også ved at sipavibart fikk fremskyndet vurdering (accelerated review) av sin søknad om markedsføringstillatelse hos EMA (11). 9) https://www.dmp.no/globalassets/documents/bivirkninger-og-sikkerhet/kjare-helsepersonell-brev/2024/ema-paxlovid-dhpc-ddi-no-final-signed.pdf 10) EMA FDA. Summary report of the Joint EMA-FDA workshop on the efficacy of monoclonal antibodies in the context of rapidly evolving SARS-CoV-2 variants 08.02.2023 [Available from: https://www.fda.gov/media/165344/download. 11) https://www.astrazeneca.com/media-centre/press-releases/2024/sipavibart-ema-regulatory-submission-accepted-under-accelerated-assessment-for-covid-19-prevention.html

10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Immunkompromitterte pasienter utgjør kun en liten prosentandel av den generelle befolkningen, men er vist å stå for om lag en fjerdedel av de alvorlige covid-19-tilfellene, inkl. sykehusinnleggelse, intensivbehandling eller død, til tross for å være vaksinerte (12,13). Sammenlignet med den generelle befolkningen gir covid-19-smitte hos immunkompromitterte pasienter opp mot 20 ganger høyere risiko for sykehusinnleggelser og død (13). 12) Evans RA, Dube S, Lu Y, Yates M, Arnetorp S, Barnes E, et al. Impact of COVID-19 on immunocompromised populations during the Omicron era: insights from the observational population-based INFORM study. <i>The Lancet Regional Health – Europe</i>. 2023;35. 13) Ketkar A, Willey V, Glasser L, et al. Assessing the Burden and Cost of COVID-19 Across Variants in Commercially Insured Immunocompromised Populations in the United States: Updated Results and Trends from the Ongoing EPOCH-US Study. <i>Adv Ther</i>. 2024;41(3):1075-1102. doi:10.1007/s12325-023-02754-0
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	For immunkompromitterte pasienter er dagens behandlingstilbud mangelfull. I dag står pasienter med særlig økt risiko for alvorlig covid-19-sykdom uten andre behandlingsmuligheter enn vaksinasjon (som har liten effekt hos disse). Det er derfor et stort umøtt medisinsk behov for tilgang til nye forebyggende legemidler for pasienter som ikke får tilstrekkelig beskyttelse av vaksinasjon og/eller ikke kan vaksineres.
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>	Klinikerinput i forbindelse med compassionate use program i 2024 for sipavibart skisserte at opp mot 1500 – 2000 pasienter kan være aktuelle for forebyggende behandling med sipavibart i Norge. AstraZeneca antar at det faktiske behovet kan ligge noe lavere enn tidligere estimerer, og er åpne for videre dialog med relevante aktører og kan innhentet oppdaterte tall ved behov.

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	SUPERNOVA NCT05648110	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11.2 Studietype og -design	RCT, fase I-III	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	Effekt og sikkerhet av sipavibart som pre-eksponeringsprofylakse for forebygging av covid-19. Studien var en fase I-III studie med flere kohorter som skulle dekke spesifikke ønsker fra ulike land. Vi omtaler her de punktene som er relevant for ønskene til EMA.	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>	Pasienter fra 12 år og eldre med nedsatt immunforsvar som vil ha nytte av forebyggende behandling med LAAB mot covid-19. Dvs. pasienter med en immunkompromitterende tilstand og/eller som sto på immunsuppressiv behandling noe som gir økt risiko for utilstrekkelig immunrespons på tradisjonell vaksinasjon. Dette inkluderte blant annet pasienter med hematologiske maligniteter, mottakere av solide organtransplantasjoner, hematopoietiske stamcelletransplantasjoner, nyresykdom/dialyse i sluttstadiet og innen ett år etter mottak av B-celle-depleterende terapi. Disse pasientene har høyere risiko for å utvikle alvorlig sykdom som følge av covid-19.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	Eksklusjonskriterier inkluderer gravide og ammende, pasienter med kjent hypersensitivitet for virkestoffene og pasienter som tidligere har mottatt covid-19 monoklonalt antistoff.		
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Sipavibart 300 mg som intramuskulær injeksjon ved dag 1 og etter 6 måneder	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>	Tixagevimab/cilgavimab (Evusheld) eller placebo som intramuskulær injeksjon ved dag 1 og etter 6 måneder	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>	Primære endepunkter: Koprimært effektendepunkt 1) Relativ risikoreduksjon for bekreftet SARS-CoV-2-positiv symptomatisk sykdom (dvs. alle tilfeller av covid-19 uavhengig av virusvarianter). 2) Relativ risikoreduksjon for bekreftet SARS-CoV-2-positiv symptomatisk sykdom hvor SARS-CoV-2-varianter ikke inneholder F456L-mutasjonen Sikkerhet (adverse events, serious adverse events, medically attended adverse events og	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	adverse events of special interest) gjennom hele studieperioden. Sekundære endepunkter: - Insidens av covid-19 (symptomatisk, alvorlig, covid-19 relaterte sykehusinnleggelser og covid-19 relatert død) for pasienter i intervensjonsarmen. - Nøytraliserende antistoffrespons mot SARS-CoV-2-variantene Alpha, Omicron BA.2, Omicron BA.4/5, og/eller Omicron XBB.1.5 etter administrasjon av intervensjon vs. Komparator - Farmakokinetisk karakterisering av sipavibart (og Evusheld) - Insidens av «anti-drug-antibodies» for sipavibart (og Evusheld)		
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	N/A	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</i>	Inklusjonsperiode desember 2022 til mars 2024. Studien ferdig februar 2025	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<i>forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i>			
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Februar 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 publisasjon</i>	Haidar G et al. SUPERNOVA study group. Efficacy and safety of sipavibart for prevention of COVID-19 in individuals who are immunocompromised (SUPERNOVA): a randomised, controlled, double-blind, phase 3 trial. Lancet Infect Dis. 2025 Jul;25(7):813-826. doi: 10.1016/S1473-3099(24)00804-1. Epub 2025 Feb 24. PMID: 40015292.	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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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 ☐ Oslo Universitetssykehus, ved nyreseksjonen på Rikshospitalet, var ansvarlig for et compassionate use program (CUP) for sipavibart i Norge i 2024. Programmet ble ledet av Karsten Midtvedt. Behandling med sipavibart i CUP ble imidlertid ikke gjennomført på grunn av resistensutvikling gjeldende varianter inneholdende mutasjonen F456L, som var dominerende i 2024-2025.. https://www.nephro.no/foreningsnytt/2024/sipavibart_resistens.pdf Klinikerne har ikke bidratt eller gitt innspill til denne anmodningen. Nyreseksjonen på Rikshospitalet kan kontaktes.
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>	Ja ☐ Nei ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter. Nærmere informasjon og skjema: Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF	
14.3 Andre relevante opplysninger?	Vi viser til vår tidligere anmodning om sipavibart (ID2024_051) og egnethetsvurdering fra DMP i oktober 2024. Prosessen ble ikke videreført fordi en SARS-CoV-2-variant med mutasjonen F456L ble dominerende i Europa, og tilgjengelige data tydet på resistens mot sipavibart (14). AstraZeneca mener denne erfaringen understreker behovet for en direkteavtale som gir fleksibilitet uten en langvarig metodevurderingsprosess. Siden desember 2025 har en ny omikron variant BA.3.2 blitt påvist i Norge. Varianten er vesentlig forskjellig (mange mutasjons-endringer) fra andre SARS-CoV-2 virus som har vært i omløp seneste år. Sipavibart viser nøytraliserende effekt mot BA.3.2. Data fra FHI viser at BA.3.2 er påvist i Norge, og er den dominerende varianten basert på tilgjengelige prøvefunn (se figur – mørk grønn = BA.3.2) (15). 14) https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/etf-statement-loss-activity-anti-spike-protein-monoclonal-antibodies-due-emerging-sars-cov-2-variants-december-2024-update_en.pdf 15) https://statistikk.fhi.no/ngs/-szwfiFNMpkEPblhduqLIW-Bk_vgDERM1C-S2eza3-4

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Egnethetsvurdering	
ID-nummer	ID2024_051
Handelsnavn (virkestoff)	Kavigale (sipavibart)
Virkningsmekanisme	Langtidsvirkende monoklonalt antistoff (long-acting antibody, LAAB) mot covid-19. De monoklonale antistoffene hemmer virusets aktivitet ved å binde seg til spike-proteinet på virusets overflate. Hensikten er at antistoffet skal hindre at viruset beveger seg inn i kroppens celler, som viruset er avhengig av for å formere seg. Sipavibart vil kunne gi passiv immunisering uavhengig av mottakerens immunstatus.
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder et nytt virkestoff som fikk markedsføringstillatelse (MT) i Europa 20.01.2025.
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? Ja ☐ Nei ☒
Aktuell indikasjon	Preeksponeringsprofylakse av covid-19 hos voksne og ungdom i alderen 12 år og eldre som veier minst 40 kg og er immunkompromittert på grunn av en medisinsk tilstand eller immundempende behandling. Sipavibart skal brukes i samsvar med eventuelle offisielle anbefalinger og på grunnlag av informasjon om sipavibarts aktivitet mot for tiden sirkulerende virusvarianter.
Dosering	300 mg sipavibart administrert som en enkelt intramuskulær injeksjon eller intravenøs infusjon.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	AstraZeneca (leverandør)
Bakgrunn	Personer med redusert immunforsvar har økt risiko for alvorlig forløp av covid-19-sykdom. Vaksinerespons er ofte redusert hos disse personene, avhengig av graden av immunsuppresjon (1). Ifølge innspill fra fagmiljøet vil passiv immunisering ved bruk av LAAB tidlig på vinteren (før forventet «bølge») kunne beskytte mot utvikling av alvorlig covid-19 hos disse pasientene, gitt at aktuelt LAAB fungerer mot den sirkulerende virusvarianten. Det ble anslått at opp mot 1500 – 2000 pasienter kunne være aktuelle for behandling med sipavibart i Norge i forbindelse med et compassionate use program for sipavibart i 2024. Effekt og sikkerhet av sipavibart er undersøkt i en randomisert kontrollert fase 3 studie som inkluderte pasienter i alderen 12 år og eldre med nedsatt immunforsvar, som ville ha nytte av forebyggende behandling med en LAAB mot covid-19 (SUPERNOVA, NCT05648110). Pasientene ble randomisert 1:1 til enten sipavibart eller kontroll (placebo eller tiksagevimab + cilgavimab). Tiksagevimab + cilgavimab (Esuhelv) er en annen LAAB mot covid-19 som ikke lenger var aktivt mot virusvariantene som sirkulerte på tidspunktet for studien. Resultatene viste at to doser sipavibart gitt med 6 måneders mellomrom reduserte risikoen med omtrent 30 % for symptomgivende covid-19-infeksjon i løpet av de 6 månedene etter siste dose. Av pasientene behandlet med sipavibart, fikk 9,2 % (151 av 1 649) symptomer på covid-19, sammenlignet med 12,7 % (207 av 1 631) i kontrollgruppen. Sipavibart ble utformet for å være effektivt mot tidlige omikron-stammer, med en IC₅₀-verdi for nøytralisering av pseudovirus på mellom 3,6 ng/ml (XBB.1-varianten) og 25,0 ng/ml (BA.2.75 varianten). Den beskyttende effekten mot virus med moderat økt IC₅₀ (f.eks. JN.1, IC₅₀ 83,1 ng/ml) er redusert og av kortere varighet, og den kliniske

	relevansen av en eventuell profylaktisk effekt er uklar (2). Etter at dataene fra studien var samlet inn, oppsto nye virusvarianter, inkludert varianter med en F456L-mutasjon i spike-proteinet. Laboratoriestudier viste at sipavibart ikke kan nøytralisere virus med denne mutasjonen. Sipavibart forventes derfor ikke å være effektivt for å forebygge covid-19 forårsaket av disse variantene. Når det skal tas en beslutning om bruk av sipavibart for å forebygge covid-19, skal det tas hensyn til kjent informasjon om særtrekk ved de sirkulerende SARS-CoV-2-virusvariantene, inkludert geografisk utbredelse (2). Nøytraliseringsaktiviteten til sipavibart mot SARS-CoV-2-virusvarianter in vitro er oppsummert i preparatomtalen (Tabell 2). Folkehelseinstituttet (FHI) gir statusrapporter covid-19 virusvarianter. I nyeste statusrapport for luftveisinfeksjoner (uke 12, 2026), er det oppsummert at omikron-variantene som sirkulerer i Norge nå er XFG, NB.1.8.1 og BA.3.2 (3). ECDC (European Centre for Disease Prevention and Control) har fra 30. januar 2026 klassifisert BA.3.2 virus som en variant for overvåking. FHI skriver: <i>Varianten er svært forskjellig (mange mutasjonsendringer) fra andre SARS-CoV-2 virus som har vært i omløp seneste år, men det er likevel ikke ventet at viruset, i den form det er i nå, vil klare å gi stor smitteøkning. Det er ikke observert endret sykdomsbilde eller mer alvorlig sykdom med varianten og covid-19 vaksinen viser også beskyttelse overfor denne varianten.</i> BA.3.2 har ikke F456L-mutasjon i spike-proteinet. Leverandør har lagt ved en konferanseposter som omhandler nøytraliseringsaktivitet til sipavibart mot BA.3.2.2 (4). I posteren oppsummeres det at tre uavhengige tester med pseudovirus-nøytralisering viste at sipavibart kunne nøytralisere BA.3.2.2-varianten (IC₅₀: 52–98 ng/ml), og at tilsvarende effekt forventes mot andre varianter i BA.3.2.x-familien med samme spike-sekvens. Sipavibart har vært behandlet i Bestillerforum for nye metoder tidligere (21.10.2024). Bestillerforum ga ikke oppdrag om nasjonal metodevurdering. Den sirkulerende virusvarianten som dominerte på dette tidspunktet, var resistent mot sipavibart.
Begrunnelse i forslag	AstraZeneca anmoder om en direkteavtale med Sykehusinnkjøp for sipavibart tilsvarende tidligere avtaler for covid-19-legemidler (se ID2022_034).
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Et variantbilde i stadig endring vil påvirke både den relative og absolutte effekten som kan forventes av sipavibart. Videre vil smittetrykket i befolkningen påvirke den absolutte effekten av legemiddelet. I indikasjonen står: <i>Sipavibart skal brukes i samsvar med eventuelle offisielle anbefalinger og på grunnlag av informasjon om sipavibarts aktivitet mot for tiden sirkulerende virusvarianter.</i> Ifølge statusrapport fra FHI forekommer omikron-varianten BA.3.2 i Norge nå. Nøytraliseringsaktiviteten til sipavibart mot denne virusvarianten er ikke med i Tabell 2 i preparatomtalen. Oppdatering av preparatomtalen med informasjon om nøytraliseringsaktivitet mot nye virusvarianter forutsetter at MT-innehaver sender inn data til EMA, som EMA kan vurdere.

	Det mangler kliniske data som viser at sipavibart gir beskyttelse mot BA.3.2. Det er imidlertid vist at sipavibart kan nøytralisere BA.3.2.2 <i>in vitro</i>, og IC₅₀ var 52–98 ng/ml, avhengig av assay/laboratorie (4). Dette er høyere IC₅₀-verdier, og dermed lavere nøytraliseringsaktivitet, enn det sipavibart hadde mot de tidlige omikronvariantene. DMP viser til følgende tekst i preparatomtalen for sipavibart (pkt. 4.4): <i>Den beskyttende effekten mot virus med moderat økt IC₅₀ (f.eks. JN.1, IC₅₀ 83,1 ng/ml) er redusert og av kortere varighet, og den kliniske relevansen av en eventuell profylaktisk effekt er uklar.</i> Det kan ikke utelukkes at BA 3.2-varianter over tid kan utvikle resistens mot sipavibart.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen. Effekten av sipavibart, og dermed kostnadseffektiviteten, vil avhenge av sirkulerende virusvarianter og smittetrykk. Dette er faktorer som kan endre seg over relativt kort tid. Tidsbruken ved en metodevurdering av et enkeltlegemiddel, basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør, vil derfor ikke være hensiktsmessig for denne typen legemiddel. DMP mener opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.

Kilder

1. Folkehelseinstituttet: [Vaksinasjon ved immunsvekt - FHI](#)
2. Preparatomtale Kavigale: [KAVIGALE, INN- sipavibart](#)
3. Folkehelseinstituttet: [Status for luftveisinfeksjoner 2026, uke 12](#)
4. Cai et al. "Sipavibart neutralises newly emergent SARS-CoV-2 BA.3.2.2 variant" (2026) [Poster P5240 ESCMID](#)

Versjonslogg*

Dato	Hva
11.08.2026	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.

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2024_051

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Det foreligger ingen aktiv behandling. Reduksjon av immunsuppresjon evnt IVlg og ved forverring midlertidig nulling av deler av immunsupresjon og i.v. remdesevir hvis man kommer tidlig til Reduskjon av immunsuppresjon medfører fare for avstøtning/tap av graft.
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	JA, hos pasienter med suboptimal vaksinerespons eller behandling som hemmer nødvendig immunrespons. Det å ha mulighet til passiv immunisering (ved bruk av LAAB) tidlig på vinterene (før forventet «bølge») vil kunne beskytte mot utvikling av alvorlig Covid-19 i denne pas populasjonen. Dette da gitt at aktuelle LAAB fungere mot aktuelle Covid-19 virus. Det vil ikke komme i tillegg til men være et viktig suplemang som (hvis det binder årets virus) vil kunne medføre redusert sykelighet/behov av innleggelse/død.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen	Nyretransplanterte uten relevant vaksinerespons, evaluert ved lave nivåer av antistoffer til tross for multiple Covid vaksiner

som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	(n=100-200). Nyretransplanterte som behandles med rituximab som induksjon (n= 20-30/år). Nyretransplanterte/pankreastransplanterte som får ATG som induksjons/releksjonsbehandling (n=20-25/år),
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Andre SOT pasienter, onkologiske pasienter og benmargstransplanterte kan profitere på denne behandlingen. Det er ikke søkt om og heller ikke dokumenter men forløperen (kombinasjon av tixagevimab og cilgavimab) ble brukt – med god effekt -som behandling an nyretransplanterte tidlig i forløpet ved smitte ac Covid-19
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Ingen

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	OUS-RH
Avdeling	ATX, nyreskejsjonen
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Karsten Midtvedt, Overlege
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒

Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):



Saksnummer 096-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2017_001 Nusinersen (Spinraza) til behandling av spinal muskelatrofi (SMA) hos barn - ny styrke/doseringsregime.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren som har markedsføringstillatelse (MT): Biogen.
- Anmodningen gjelder en ny styrke/dosering, nusinersen intratekal injeksjon 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).
- Anmodningen omhandler både barn og voksne og er behandlet som to metoder i Nye metoder, henholdsvis som [ID2017_001](#) (barn) og [ID2020_031](#) (voksne).
- Leverandør vurderer at ny styrke/doseringsregime er sammenlignbart med dagens bruk av nusinersen 12 mg, og aktuelt for samme pasientgruppe som i dag er aktuelle for behandling med nusinersen.
- Tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge: 09.01.2026.
- Type helseøkonomisk analyse: Tilgjengelige data indikerer at behandlingseffekten for 50/28 mg-doseringsregimet er minst like god som 12 mg regimet. EMA har vurdert at sikkerheten ved høydoseregimet er tilstrekkelig dokumentert til å gi en ubetinget markedsføringstillatelse. På bakgrunn av dette foreslår leverandør at forskjellene mellom regimene belyses gjennom en kostnadssammenligning mot dagens doseringsregime, for eksempel i form av et prisnotat fra Sykehusinnkjøp HF.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Fra før har følgende lavdoseregime MT og er innført: En laddningsdose på 12 mg på dag 0, 14, 28 og 63, og deretter en vedlikeholdsdose på 12 mg én gang hver 4. måned. Anmodningen gjelder følgende høydoseregime som nå har fått MT: En 50 mg laddningsdose skal administreres på dag 0 og dag 14. En vedlikeholdsdose på 28 mg skal deretter administreres én gang hver 4. måned.
- Administrasjon er lik for lavdose- og høydoseregimene, intratekal administrasjon. Behandlingen er langvarig i begge tilfeller.
- Vurdering fra DMP:
 - o Nusinersen lavdoseregime er innført med vilkår til behandling av barn med SMA (se [ID2017_001](#)).
 - o EMA vurderte i evalueringsrapporten (EPAR) at totaliteten av evidens tyder på at 50/28 mg og 12 mg nusinersen-regimene har lignende effekt og sikkerhetsprofil.
- Anbefaling fra DMP:
 - o DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen, og vurderer at en metodevurdering i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker. DMP mener opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

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: 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 ☐ En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon ☒ En ny styrke eller formulering
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Spinraza er indisert til behandling av 5q spinal muskelatrofi (SMA).

<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>	
2.3 Handelsnavn	Spinraza
2.4 Generisk navn/virkestoff	Nusinersen
2.5 ATC-kode	M09AX07
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingsslengde</i> <i>Skriv kort</i>	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). 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.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Farmakoterapeutisk gruppe: Andre midler mot muskel- og skjelettsykdommer. 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.

3 Historikk – virkestoff og indikasjon

3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?	Ja ☒ Nei ☐
--	---

<i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	ID-nummer: ID2017_001 — Nusinersen (Spinraza) – Ved behandling av spinal muskeltrofi (SMA) hos barn ID2020_031 — Nusinersen (Spinraza) – Behandling av spinal muskeltrofi (SMA) hos voksne pasienter ID2025_073 — Spinraza (nusinersen) – Nusinersen til SMA-pasienter med suboptimal klinisk respons på genterapi (onasemnogenaberpavovek, Zolgensma)
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: 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) 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 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 ID2024_042 — Risdiplam (Evrysdi) – Til behandling av voksne med SMA (inkl. undergrupper beskrevet i notat til Bestillerforum); relatert til tidligere vurdering i ID2020_104 ID2025_010 — Risdiplam (Evrysdi) – Tablettformulering til bruk på godkjente indikasjoner ID2019_006 — Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) – Behandling av spinal muskeltrofi (SMA) (se spesifisert info. under oppdrag)
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: Nusinersen (Spinraza) (50/28 mg) - Spinal muskeltrofi (Medisinrådet, Danmark)

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: 15.07.2017
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/004312/X/0038 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: 09.01.2026
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»: 02.04.2012

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: <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 ☒ Nei ☐ Legemiddel og ID-nummer: ID2017_001 — <i>Nusinersen (Spinraza) – Ved behandling av spinal muskelatrofi (SMA) hos barn</i> ID2020_031 — <i>Nusinersen (Spinraza) – Behandling av spinal muskelatrofi (SMA) hos voksne pasienter</i>
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: 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 ☐ 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? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	Vi foreslår at den helseøkonomiske vurderingen begrenses til en kostnadssammenligning mot dagens doseringsregime med Spinraza 12 mg. Tilgjengelige data indikerer at behandlingseffekten for 50/28 mg-doseringsregimet er minst like god som 12 mg regimet. 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. EMA har vurdert at sikkerheten ved høydoseregimet er tilstrekkelig dokumentert til å gi en ubetinget markedsføringstillatelse. 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
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	NA
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>	NA
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	NA
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>	Juni 2026

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>	SMA er en sjelden, arvelig, autosomal recessiv nevrologisk lidelse forårsaket av delelsjoner 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 muskelsvakhet og atrofi.
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Nevrologi
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>	Nusinersen (Spinraza) 12 mg Risdiplam (Evrysdi) Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) Se punkt 3.1 og 3.2
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	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.

10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Spinraza (nusinersen) inngår i dag som en del av standard behandling for spinal muskelatrofi (SMA) i Norge, sammen med risdiplam (Evrysdi) og onasemnogene abeparvovec (Zolgensma). 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. 50 mg/28 mg-doseringsregimet av nusinersen representerer et videreutviklet doseringsregime av en allerede anbefalt sykdomsmodifiserende behandling. I DEVOTE-studien var regimet generelt godt tolerert, med et sikkerhetsbilde som er i samsvar med den kjente sikkerhetsprofilen for nusinersen 12 mg. Det regulatoriske godkjenningsgrunnlaget for 50 mg/28 mg-nusinersen omfatter både behandlingsnaive og tidligere behandlede pasienter, uavhengig av alder og SMA-type. 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.
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>	Samme pasientgruppe som i dag er aktuelle for behandling med Spinraza 12mg: Nyfødte barn, eldre barn, unge voksne og voksne diagnostisert med 5q spinal muskelatrofi (SMA) type 1, type 2 eller type 3 SMA.

* 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>			
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	ONWARD (ongoing) - This study is an extension study enrolling participants who have completed treatment in the parent study (DEVOTE) – see poster below	ONWARD (ongoing) - This study is an extension study enrolling participants who have completed treatment in the parent study (DEVOTE) – see poster below
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Finkel RS,et al J Neuromuscul Dis. 2023;10(5):813-23	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. 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) Crawford T; et al.,. 29th Annual Congress of the World Muscle Society; 8-12 October; Prague, Czechia 2024. Crawford TO, et al. Muscular Dystrophy Association (MDA) – Clinical and Scientific Conference, March 16–19, 2025. Dallas, TX, USA.	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 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) Crawford T; et al.,. 29th Annual Congress of the World Muscle Society; 8-12 October; Prague, Czechia 2024. Crawford TO, et al. Muscular Dystrophy Association (MDA) – Clinical and Scientific Conference, March 16–19, 2025. Dallas, TX, USA.

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 ☐ 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 ☐ 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	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 fageksperter i Nye metoder)</i>	Ja ☒ Nei ☐ Barnelege Sean Wallace; Rådsmøter og foredragsholder (ikke honorar)

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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
14.3 Andre relevante opplysninger?	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; $p < 0,0001$). 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). 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. I DEVOTE del C oppnådde pasienter som tidligere var behandlet med nusinersen 12 mg en gjennomsnittlig

	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. 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. 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.
--	--

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2017_001
Handelsnavn (virkestoff)	Spinraza (nusinersen)
Virkningsmekanisme	Pasienter med spinal muskelatrofi (SMA) mangler survival motor nevron (SMN) proteiner. Nusinersen er et syntetisk anti-sense ogliionukleotid som muliggjør at SMN2 genene produserer SMN proteiner av full lengde.
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder en ny, høyere dosering for et kjent virkestoff. Ny dosering fikk markedsføringstillatelse (MT) i Europa 09.01.2026 (1).
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? Ja ☐ Nei ☒
Aktuell indikasjon	Behandling av 5q spinal muskelatrofi.
Dosering	Fra før har følgende lavdoseregime MT, og er innført: Dette regimet administreres med en laddningsdose på 12 mg på dag 0, 14, 28 og 63, og deretter en vedlikeholdsdose på 12 mg én gang hver 4. måned. Følgende høydoseregime har nå fått MT: En 50 mg laddningsdose skal administreres på dag 0 og dag 14. En vedlikeholdsdose på 28 mg skal deretter administreres én gang hver 4. måned. Pasienter som nå behandles med nusinersen 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. Administrasjon er lik for lavdose- og høydoseregimene, intratekal administrasjon. Behandlingen er langvarig i begge tilfeller. For pasienter som <u>ikke</u> tidligere har mottatt nusinersen, så innebærer høydoseregimet færre intratekale administrasjoner ved oppstart enn lavdoseregimet. Ved vedlikeholdsbehandling administreres nusinersen med samme hyppighet i de to regimene.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Biogen Norway AS
Bakgrunn	Biogen foreslår en kostnadssammenligning av nusinersen 50/28 mg og nusinersen 12 mg.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Nusinersen lavdoseregime er innført med vilkår til behandling av barn med SMA, se metodesiden (ID2017_001). Godkjent, oppdatert preparatomtale for Spinraza (1), samt EMAs evalueringsrapport (EPAR) for høydoseregimet (2) beskriver følgende: Effekt og sikkerhet for nusinersen 50/28 mg hos spedbarn, barn og voksne med SMA ble vurdert i to studier (SM203/DEVOTE og SM302/ONWARD) hos symptomatiske SMA-pasienter i alderen 14 dager til 65 år på tidspunktet for første studiedose.

	SM203 del A var en sikkerhetsevaluering og beskrives ikke nærmere her. SM203 del B var en randomisert, dobbeltblindet evaluering av sikkerhet og effekt av 50/28 mg nusinersen hos behandlingsnaive pasienter med infantil symptomdebut og senere symptomdebut. Del B hadde statistisk styrke til å vurdere effekt hos pasienter med infantil symptomdebut i gruppen som fikk 50/28 mg vs. en forhåndsspesifisert matchet shamgruppe fra studie CS3B (ENDEAR, har tidligere inngått i dokumentasjonsgrunnlaget for metodevurderingen av ID2017_001). Aktiv komparator med doseringsregimet 12 mg i studie SM203 del B ga støttende dokumentasjon, men studien var ikke designet for, og hadde ikke, tilstrekkelig styrke til å påvise statistisk signifikante behandlingsforskjeller mellom de som ble randomisert til 50/28 mg og 12 mg nusinersen. SM203 del C var en åpen evaluering av sikkerhet og effekt hos barn og voksne med infantil symptomdebut eller senere symptomdebut som hadde gått over fra regimet med 12 mg til regimet med 50/28 mg. Pasientene i del C hadde gjennomsnittlig forbedring på måleverktøyene HFMSE (Hammersmith Functional Motor Scale Expanded)) og RULM (revised upper limb module) etter at det startet på dosen 50/28 mg. SM302 er en oppfølgingsstudie av SMN203. Denne er enda pågående. Grunnet studiedesignet er effektresultatene vanskelig å tolke. Samlet vurdering av effekt: EMA vurderte i EPAR at totaliteten av evidens tyder på at 50/28 mg og 12 mg nusinersen regimene har en lignende effekt. Siden studiene ikke kunne bekrefte noen klare fordeler med den høyere dosen sammenlignet med den lavere, bør begge regimene fremdeles være tilgjengelig. Av samme grunn anbefaler ikke preparatomtalen det ene regimet over det andre. Samlet vurdering av sikkerhet: EMA vurderte i EPAR at nusinersen 50/28 mg ser ut til å tolereres bra, og at sikkerhetsprofilen samsvarer med det som er kjent for nusinersen 12 mg. Sikkerhetsprofilen på lang sikt er bedre kjent for lavdose- enn høydoseregimet.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen, og vurderer at en metodevurdering i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker. DMP mener opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.

Referanser:

- 1: Preparatomtale [Spinraza, INN-nusinersen](#)
- 2: EPAR [Spinraza, INN-nusinersen](#)

Versjonslogg*	
Dato	Hva
11.08.2026	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](https://legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.

Saksnummer 097-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2020_031 Nusinersen (Spinraza) til behandling av spinal muskelatrofi (SMA) hos voksne pasienter - ny styrke/doseringsregime.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren som har markedsføringstillatelse (MT): Biogen.
- Anmodningen gjelder en ny styrke/dosering, nusinersen intratekal injeksjon 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).
- Anmodningen omhandler både barn og voksne og er behandlet som to metoder i Nye metoder, henholdsvis [ID2017_001](#) (barn) og [ID2020_031](#) (voksne).
- Leverandør vurderer at ny styrke/doseringsregime er sammenlignbart med dagens bruk av nusinersen 12 mg, og aktuelt for samme pasientgruppe som i dag er aktuelle for behandling med nusinersen.
- Tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge: 09.01.2026.
- Type helseøkonomisk analyse: Tilgjengelige data indikerer at behandlingseffekten for 50/28 mg-doseringsregimet er minst like god som 12 mg regimet. EMA har vurdert at sikkerheten ved høydoserregimet er tilstrekkelig dokumentert til å gi en ubetinget markedsføringstillatelse. På bakgrunn av dette foreslår leverandør at forskjellene mellom regimene belyses gjennom en kostnadssammenligning mot dagens doseringsregime, for eksempel i form av et prisnotat fra Sykehusinnkjøp HF.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Fra før har følgende lavdoseregime MT og er innført: En laddningsdose på 12 mg på dag 0, 14, 28 og 63, og deretter en vedlikeholdsdose på 12 mg én gang hver 4. måned. Anmodningen gjelder følgende høydoserregime som nå har fått MT: En 50 mg laddningsdose skal administreres på dag 0 og dag 14. En vedlikeholdsdose på 28 mg skal deretter administreres én gang hver 4. måned.
- Administrasjon er lik for lavdose- og høydoserregimene, intratekal administrasjon. Behandlingen er langvarig i begge tilfeller.
- Vurdering fra DMP:
 - o Nusinersen lavdoseregime er innført med vilkår til behandling av voksne med SMA (se [ID2020_031](#)).
 - o EMA vurderte i evalueringsrapporten (EPAR) at totaliteten av evidens tyder på at 50/28 mg og 12 mg nusinersen-regimene har lignende effekt og sikkerhetsprofil.
- Anbefaling fra DMP:
 - o DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen, og vurderer at en metodevurdering i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker. DMP mener opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

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: 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 ☐ En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon ☐ En ny styrke eller formulering ☒
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Spinraza er indisert til behandling av 5q spinal muskelatrofi (SMA).

<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>	
2.3 Handelsnavn	Spinraza
2.4 Generisk navn/virkestoff	Nusinersen
2.5 ATC-kode	M09AX07
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingsslengde</i> <i>Skriv kort</i>	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). 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.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Farmakoterapeutisk gruppe: Andre midler mot muskel- og skjelettsykdommer. Virkningsmekanisme: Nusinersen er et antisense-oligonukleotid (ASO) som øker andelen av ekson 7-inkludering 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.

3 Historikk – virkestoff og indikasjon

3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?	Ja ☒ Nei ☐
--	---

<i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	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 ID2025_073 — Spinraza (nusinersen) – Nusinersen til SMA-pasienter med suboptimal klinisk respons på genterapi (onasemnogenaberparvovek, Zolgensma)
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: ID2020_104 — Risdiplam (Evrysdi) – Behandling av 5q spinal muskelatrofi (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) ID2021_088 — Risdiplam (Evrysdi) til behandling av 5q spinal muskelatrofi (SMA) hos barn fra 2 måneder, med en klinisk diagnose av type 1, type 2 eller type 3a SMA ID2023_089 — Risdiplam (Evrysdi) – Behandling av 5q spinal muskelatrofi (SMA) hos barn før fylte 2 måneder med klinisk diagnose av type 1, 2 eller 3 SMA eller med 1–4 kopier av SMN2 ID2024_042 — Risdiplam (Evrysdi) – Til behandling av voksne med SMA (inkl. undergrupper beskrevet i notat til Bestillerforum); relatert til tidligere vurdering i ID2020_104 ID2025_010 — Risdiplam (Evrysdi) – Tablettformulering til bruk på godkjente indikasjoner ID2019_006 — Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) – Behandling av spinal muskelatrofi (SMA) (se spesifisert info. under oppdrag)
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: Nusinersen (Spinraza) (50/28 mg) - Spinal muskelatrofi (Medisinrådet, Danmark)

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: 15.07.2017
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/004312/X/0038 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: 09.01.2026
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»: 02.04.2012

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: <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 ☒ Nei ☐ Legemiddel og ID-nummer: ID2017_001 — <i>Nusinersen (Spinraza) – Ved behandling av spinal muskelatrofi (SMA) hos barn</i> ID2020_031 — <i>Nusinersen (Spinraza) – Behandling av spinal muskelatrofi (SMA) hos voksne pasienter</i>
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: 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 ☐ 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? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	Vi foreslår at den helseøkonomiske vurderingen begrenses til en kostnadssammenligning mot dagens doseringsregime med Spinraza 12 mg. Tilgjengelige data indikerer at behandlingseffekten for 50/28 mg-doseringsregimet er minst like god som 12 mg regimet. 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. EMA har vurdert at sikkerheten ved høydoseregimet er tilstrekkelig dokumentert til å gi en ubetinget markedsføringstillatelse. 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
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	NA
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>	NA
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	NA
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>	Juni 2026

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>	SMA er en sjelden, arvelig, autosomal recessiv nevrologisk lidelse forårsaket av delelsjoner 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 muskelsvakheter og atrofi.
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Nevrologi
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>	Nusinersen (Spinraza) 12 mg Risdiplam (Evrysdi) Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) Se punkt 3.1 og 3.2
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	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.

10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Spinraza (nusinersen) inngår i dag som en del av standard behandling for spinal muskelatrofi (SMA) i Norge, sammen med risdiplam (Evrysdi) og onasemnogene abeparvovec (Zolgensma). 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. 50 mg/28 mg-doseringsregimet av nusinersen representerer et videreutviklet doseringsregime av en allerede anbefalt sykdomsmodifiserende behandling. I DEVOTE-studien var regimet generelt godt tolerert, med et sikkerhetsbilde som er i samsvar med den kjente sikkerhetsprofilen for nusinersen 12 mg. Det regulatoriske godkjenningsgrunnlaget for 50 mg/28 mg-nusinersen omfatter både behandlingsnaive og tidligere behandlede pasienter, uavhengig av alder og SMA-type. 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.
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>	Samme pasientgruppe som i dag er aktuelle for behandling med Spinraza 12mg: Nyfødte barn, eldre barn, unge voksne og voksne diagnostisert med 5q spinal muskelatrofi (SMA) type 1, type 2 eller type 3 SMA.

* 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>			
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	ONWARD (ongoing) - This study is an extension study enrolling participants who have completed treatment in the parent study (DEVOTE) – see poster below	ONWARD (ongoing) - This study is an extension study enrolling participants who have completed treatment in the parent study (DEVOTE) – see poster below
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Finkel RS, et al J Neuromuscul Dis. 2023;10(5):813-23	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. 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) Crawford T; et al.,. 29th Annual Congress of the World Muscle Society; 8-12 October; Prague, Czechia 2024. Crawford TO, et al. Muscular Dystrophy Association (MDA) – Clinical and Scientific Conference, March 16–19, 2025. Dallas, TX, USA.	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 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) Crawford T; et al.,. 29th Annual Congress of the World Muscle Society; 8-12 October; Prague, Czechia 2024. Crawford TO, et al. Muscular Dystrophy Association (MDA) – Clinical and Scientific Conference, March 16–19, 2025. Dallas, TX, USA.

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 ☐ 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 ☐ 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	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 fageksperter i Nye metoder)</i>	Ja ☒ Nei ☐ Barnelege Sean Wallace; Rådsmøter og foredragsholder (ikke honorar)

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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
14.3 Andre relevante opplysninger?	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; $p < 0,0001$). 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). 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. I DEVOTE del C oppnådde pasienter som tidligere var behandlet med nusinersen 12 mg en gjennomsnittlig

	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. 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. 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.
--	--

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Egnethetsvurdering	
ID-nummer	ID2020_031
Handelsnavn (virkestoff)	Spinraza (nusinersen)
Virkningsmekanisme	Pasienter med spinal muskelatrofi (SMA) mangler survival motor nevron (SMN) proteiner. Nusinersen er et syntetisk anti-sense oglionukleotid som muliggjør at SMN2 genene produserer SMN proteiner av full lengde.
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder en ny, høyere dosering for et kjent virkestoff. Ny dosering fikk markedsføringstillatelse (MT) i Europa 09.01.2026 (1).
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? Ja ☐ Nei ☒
Aktuell indikasjon	Behandling av 5q spinal muskelatrofi.
Dosering	Fra før har følgende lavdoseregime MT, og er innført: Dette regimet administreres med en ladningsdose på 12 mg på dag 0, 14, 28 og 63, og deretter en vedlikeholdsdose på 12 mg én gang hver 4. måned. Følgende høydoseregime har nå fått MT: En 50 mg ladningsdose skal administreres på dag 0 og dag 14. En vedlikeholdsdose på 28 mg skal deretter administreres én gang hver 4. måned. Pasienter som nå behandles med nusinersen 12 mg kan overføres til doseringsregimet med 50/28 mg med én ladningsdose 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. Administrasjon er lik for lavdose- og høydoseregimene, intratekal administrasjon. Behandlingen er langvarig i begge tilfeller. For pasienter som <u>ikke</u> tidligere har mottatt nusinersen, så innebærer høydoseregimet færre intratekale administrasjoner ved oppstart enn lavdoseregimet. Ved vedlikeholdsbehandling administreres nusinersen med samme hyppighet i de to regimene.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Biogen Norway AS
Bakgrunn	Biogen foreslår en kostnadssammenligning av nusinersen 50/28 mg og nusinersen 12 mg.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Nusinersen lavdoseregime er innført med vilkår til behandling av voksne med SMA, se metodesiden (ID2020_031). Godkjent, oppdatert preparatomtale for Spinraza (1), samt EMAs evalueringsrapport (EPAR) for høydoseregimet (2) beskriver følgende: Effekt og sikkerhet for nusinersen 50/28 mg hos spedbarn, barn og voksne med SMA ble vurdert i to studier (SM203/DEVOTE og SM302/ONWARD) hos symptomatiske SMA-pasienter i alderen 14 dager til 65 år på tidspunktet for første studiedose.

	SM203 del A var en sikkerhetsevaluering og beskrives ikke nærmere her. SM203 del B var en randomisert, dobbeltblindet evaluering av sikkerhet og effekt av 50/28 mg nusinersen hos behandlingsnaive pasienter med infantil symptomdebut og senere symptomdebut. Del B hadde statistisk styrke til å vurdere effekt hos pasienter med infantil symptomdebut i gruppen som fikk 50/28 mg vs. en forhåndsspesifisert matchet shamgruppe fra studie CS3B (ENDEAR, har tidligere inngått i dokumentasjonsgrunnlaget for metodevurderingen av ID2017_001). Aktiv komparator med doseringsregimet 12 mg i studie SM203 del B ga støttende dokumentasjon, men studien var ikke designet for, og hadde ikke, tilstrekkelig styrke til å påvise statistisk signifikante behandlingsforskjeller mellom de som ble randomisert til 50/28 mg og 12 mg nusinersen. SM203 del C var en åpen evaluering av sikkerhet og effekt hos barn og voksne med infantil symptomdebut eller senere symptomdebut som hadde gått over fra regimet med 12 mg til regimet med 50/28 mg. Pasientene i del C hadde gjennomsnittlig forbedring på måleverktøyene HFMSE (Hammersmith Functional Motor Scale Expanded)) og RULM (revised upper limb module) etter at det startet på dosen 50/28 mg. SM302 er en oppfølgingsstudie av SMN203. Denne er enda pågående. Grunnet studiedesignet er effektresultatene vanskelig å tolke. Samlet vurdering av effekt: EMA vurderte i EPAR at totaliteten av evidens tyder på at 50/28 mg og 12 mg nusinersen regimene har en lignende effekt. Siden studiene ikke kunne bekrefte noen klare fordeler med den høyere dosen sammenlignet med den lavere, bør begge regimene fremdeles være tilgjengelig. Av samme grunn anbefaler ikke preparatomtalen det ene regimet over det andre. Samlet vurdering av sikkerhet: EMA vurderte i EPAR at nusinersen 50/28 mg ser ut til å tolereres bra, og at sikkerhetsprofilen samsvarer med det som er kjent for nusinersen 12 mg. Sikkerhetsprofilen på lang sikt er bedre kjent for lavdose- enn høydoseregimet.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen, og vurderer at en metodevurdering i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker. DMP mener opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.

Referanser:

- 1: Preparatomtale [Spinraza, INN-nusinersen](#)
- 2: EPAR [Spinraza, INN-nusinersen](#)

Versjonslogg*	
Dato	Hva
11.08.2026	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](https://legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.

Saksnummer 098-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2019_136 Nintedanib (Ofev) til behandling av andre kronisk fibroserende interstitielle lungesykdommer med en progressiv fenotype hos voksne (ikke-IPF PF-ILD). Indikasjonsutvidelse til barn og ungdom $\geq 6-17$ år.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet, er Boehringer Ingelheim International GmbH, Tyskland.
- Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse og en ny styrke til bruk hos barn og ungdom i alderen 6–17 år.
- Nye metoder har tidligere behandlet legemidlet for samme indikasjon hos voksne.
- Legemidlet fikk markedsføringstillatelse (MT) for den anmodede indikasjonen 12.02.2025.
- Leverandøren er ikke kjent med at Nye metoder tidligere har behandlet andre legemidler for samme eller lignende indikasjon.
- Pasientgrunnlag: Det forventes at 0-2 norske barn vil kunne være aktuelle for Ofev 25 mg hvert år. Interstitielle lungesykdommer forekommer svært sjelden hos barn og ungdom.
- Type helseøkonomisk analyse: Leverandør mener at en helseøkonomisk analyse virker unødvendig. Voksne pasienter har fått refusjon til samme indikasjon.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Vurdering: DMP har metodevurdert nintedanib til behandling av voksne med denne definisjonen av lungefibrose (da kalt voksne med andre kronisk fibroserende interstitielle lungesykdommer med en progressiv fenotype (PF-ILD) ([ID2019_136](#))). DMP vurderer at den tidligere metodevurderingen til den voksne populasjonen, er overførbar til barn og ungdom $\geq 6-17$ år. Det foreligger ikke klinisk dokumentasjon som er egnet for en metodevurdering av nintedanib til barn og ungdom $\geq 6-17$ år.
- Anbefaling: DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen, og vurderer at en metodevurdering i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker. DMP mener opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF):

- Barnelegeforeningen: 1 innspill

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: 04.05.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Boehringer Ingelheim International GmbH, Tyskland
1.2 Navn kontaktperson	Kristie van Lieshout
1.3 Stilling kontaktperson	Market Access & Healthcare Affairs Manager
1.4 Telefon	+47 486 12 826
1.5 E-post	kristie.van_lieshout@boehringer-ingelheim.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?	Ofev er indisert til barn og ungdom fra 6 til 17 år til behandling av klinisk signifikant, progressive fibroserende interstitielle lungesykdommer (ILD). Oftev er indisert til behandling av systemisk sklerose-assosiert interstitiell

<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>	lungesykdom (SSc-ILD) hos voksne, ungdommer og barn i alderen 6 år og eldre.
2.3 Handelsnavn	Ofev
2.4 Generisk navn/virkestoff	Nintedanib
2.5 ATC-kode	L01E X09
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i> <i>Skriv kort</i>	Kapsler, myke 25 mg Den anbefalte dosen for barn og ungdom er basert på pasientens vekt, og justeres etter hvert som behandlingen går framover. Dosen gis 2 ganger daglig med ca. 12 times mellomrom, se preparatomtalen for dose.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Nintedanib er en småmolekylær tyrosinkinasehemmer som inkluderer blodplatederivert vekstfaktorreseptor (PDGFR) α og β, fibroblast vekstfaktorreseptor (FGFR) 1-3, og vaskulær endotelial vekstfaktorreseptor VEGFR 1-3. I tillegg hemmer nintedanib Lck (lymfocyttspesifikk tyrosinproteinkinase), Lyn (tyrosinproteinkinase lyn), Src (protoonkogen tyrosinproteinkinase src) og CSF1R-kinaser (kolonistimulerende faktor 1-reseptor). Nintedanib bindes kompetitivt til adenosintrifosfat-bindingssetet (ATP) på disse kinasene og blokkerer intracellulære signaleringsveier som er vist å være involvert i patogenesen til fibrotisk vevsremodellering ved interstitiell lungesykdom.

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: ID2019_136

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: 15.01.2015
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/003821/X/0057/G
	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: 12.02.2025
4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?	Ja ☐ Nei ☒ Beskrivelse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i>	
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: Det finnes et IPF anbud for voksne pasienter. 25 mg pakningen til barn er out of scope der.

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)

7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB?	Ja ☐ Nei ☒ Begrunnelse:
--	---

<i>Hvis nei, begrunn kort</i>	Usikker på om alle nordiske land kommer til å markedsføre 25 mg styrken.
-------------------------------	--

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)?	Ja ☐ Nei ☒
<i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i>	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? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	En helseøkonomisk analyse virker unødvendig. Voksne pasienter har fått refusjon til samme indikasjon. Det forventes at 0-2 norske barn vil kunne være aktuelle for Ofev 25 mg hvert år.
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	N/A
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>	N/A
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	N/A
9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF.	N/A

Tidspunkt må oppgis

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>	Felles for de interstitielle lungesykdommene som er aktuelle for behandling med Ofev er at de kan medføre gradvis økende fibrose, arrdannelse, i lungene og tap av lungefunksjon. Idiopatisk pulmonal fibrose (IPF) er den vanligste av disse sykdommene og er per definisjon progressivt fibroserende. Årsaken er imidlertid ukjent. Ved andre progressivt fibroserende interstitielle lungesykdommer annet enn IPF brukes forkortelsen PF-ILD. Disse kan ha ulike bakenforliggende årsaker. Hvilken behandling pasienter med PF-ILD får i dag avhenger av den underliggende sykdommen, men for mange av sykdommene benyttes det betennelsesdempende og immundempende legemidler. Ofev vil komme i tillegg til dagens behandling. Siden pasienter med PF-ILD taper lungefunksjon over tid, vil de oppleve en stadig forverring av åndenød, redusert livskvalitet og ha risiko for tidlig død. Interstitielle lungesykdommer forekommer svært sjelden hos barn og ungdom.
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Lunge- og luftveissykdommer
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>	BSC: systemiske kortikosteroider, andre immundempende legemidler, lungerehabilitering, osv.
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Vanskelig å si. Det er svært lite data om barn med ILD tilgjengelig. Voksne har en dårlig prognose (med gjennomsnittlig overlevelse under 5 år for noen diagnoser).

10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Innføring av Ofev 25 mg vil gjøre at barn med ILD har flere behandlingsmuligheter tilgjengelig.
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>	Det forventes at 0-2 norske barn vil kunne være aktuelle for behandling med Ofev 25 mg hvert år.

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	INPedILD NCT04093024 Study Details NCT04093024 A Study to Find Out How Nintedanib is Taken up in the Body and How Well it is Tolerated in Children and Adolescents With Interstitial Lung Disease (ILD) ClinicalTrials.gov	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11.2 Studietype og -design	A Double Blind, Randomised, Placebo-controlled Trial	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	To Evaluate the Dose-exposure and Safety of Nintedanib Per os on Top of Standard of Care for 24 Weeks, Followed by Open Label Treatment With Nintedanib of Variable Duration, in Children and Adolescents (6 to 17 Year-old) With Clinically Significant Fibrosing Interstitial Lung Disease	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>	Barn 6-17 år med fibroserende ILD	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>	Ofev, mengde basert på kroppsvekt	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	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>	Dose exposure, safety, FVC % predicted (Forced Vital Capacity), ++	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>	N/A	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>	24 weeks + open label study afterwards	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>	Studie er avsluttet.	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>	Nintedanib in children and adolescents with fibrosing interstitial lung diseases - PubMed	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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
14.3 Andre relevante opplysninger?	Ofev har refusjon for voksne pasienter med IPF og PF-ILD.

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Egnethetsvurdering													
ID-nummer	ID2019_136												
Handelsnavn (virkestoff)	Ofev (nintedanib)												
Virkningsmekanisme	Tyrosinkinasehemmer.												
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse (aldersutvidelse), samt ny styrke, for et kjent virkestoff. Legemiddelet/indikasjonen fikk markedsføringstillatelse (MT) i Europa 12.02.2025.												
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? Ja ☐ Nei ☒												
Aktuell indikasjon	Barn og ungdom ≥6-17 år: - Klinisk signifikant, progressive fibroserende interstitielle lungesykdommer (ILD). - Systemisk sklerose-assosiert interstitiell lungesykdom (SSc-ILD).												
Dosering	Kapsler 25 mg (ny styrke) til oral bruk. Den anbefalte dosen for barn og ungdom ≥6-17 år er basert på pasientens vekt, og justeres etter hvert som behandlingen går framover. Dosen gis 2 ganger daglig med ca. 12 timers mellomrom. <table border="1"> <thead> <tr> <th>Vekt</th> <th><13,5 kg</th> <th>13,5-22,9 kg</th> <th>23-33,4 kg</th> <th>33,5-57,4 kg</th> <th>>57,5 kg</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>Dose</td> <td>Avbryt behandling</td> <td>50 mg 2 × daglig</td> <td>75 mg 2 × daglig</td> <td>100 mg 2 × daglig</td> <td>150 mg 2 × daglig</td> </tr> </tbody> </table>	Vekt	<13,5 kg	13,5-22,9 kg	23-33,4 kg	33,5-57,4 kg	>57,5 kg	Dose	Avbryt behandling	50 mg 2 × daglig	75 mg 2 × daglig	100 mg 2 × daglig	150 mg 2 × daglig
Vekt	<13,5 kg	13,5-22,9 kg	23-33,4 kg	33,5-57,4 kg	>57,5 kg								
Dose	Avbryt behandling	50 mg 2 × daglig	75 mg 2 × daglig	100 mg 2 × daglig	150 mg 2 × daglig								
Forslag	Anmodning om vurdering												
Innsendt av	Leverandør (Boehringer Ingelheim)												
Bakgrunn	Interstitielle lungesykdommer/lungefibrose er en samlebetegnelse for flere sykdommer som har ulik årsak, behandling og prognose. Ved lungefibrose erstattes lungevevet gradvis av bindevev/arrvev (fibrose), noe som medfører nedsatt lungefunksjon (1). Fagfeltet er i utvikling, og betegnelsene for de ulike variantene av lungefibrose er ofte knyttet til den bakenforliggende årsaken til fibrosen. Det som er viktig for behandlingsstrategien er hvorvidt lungefibrosen er av en progressiv art. Nintedanib fikk MT første gang i 2015 for behandling av idiopatisk lungefibrose (IPF) hos voksne pasienter. Det har deretter vært flere indikasjonsutvidelser: - Behandling av systemisk sklerose-assosiert interstitiell lungesykdom (SSc-ILD) hos voksne – mai 2020. - Behandling av voksne pasienter med andre kronisk fibroserende interstitielle lungesykdommer med en progressiv fenotype (PF-ILD) – juli 2020. Den aktuelle anmodningen fra leverandør gjelder indikasjonsutvidelse til barn og ungdom ≥6-17 år for tilsvarende bruksområder som har MT for voksne. I tillegg omfatter utvidelsen en ny styrke tilpasset barn (vektbasert dosering). Effekt og sikkerhet av nintedanib hos barn og ungdom ≥6-17 år med klinisk signifikant fibroserende ILD er undersøkt i en eksplorativ, randomisert, dobbeltblind, placebokontrollert fase III-studie (InPedILD, NCT04093024). I studien ble 39 pasienter randomisert 2:1 til å få enten nintedanib eller placebo i 24 uker, etterfulgt av åpen behandling med nintedanib med variabel varighet. Formålet var å evaluere doseeksponering og sikkerhet. EMA konkluderte med at data viste at blodnivåene av nintedanib hos barn og ungdom ≥6-17 år, ved anbefalte doser, var tilsvarende de som ble observert hos voksne ved anbefalte doser.												

Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Den ene indikasjonsutvidelsen til barn, <i>klinisk signifikant, progressive fibroserende interstitielle lungesykdommer (ILD)</i>, er tilsvarende den allerede godkjente indikasjonen hos voksne. DMP har metodevurdert nintedanib til behandling av voksne med denne definisjonen av lungefibrose (da kalt <i>voksne med andre kronisk fibroserende interstitielle lungesykdommer med en progressiv fenotype (PF-ILD)</i> (ID2019_136)). ID2019_136 ble besluttet innført 24.04.2023. I metodevurderingen ble det også gjort inngående vurderinger av hvorvidt resultatene i analysen kunne overføres til (under) grupper av ILD som er av en progressiv art. DMP vurderte at det samlede studieprogrammet for nintedanib ga støtte for behandlingseffekt av nintedanib på tvers av progressive ILDer, herunder systemisk sklerose-assosiert ILD. DMP vurderer at den tidligere metodevurderingen av nintedanib til den voksne populasjonen, er overførbar til barn og ungdom $\geq 6-17$ år. Det foreligger ikke klinisk dokumentasjon som er egnet for en metodevurdering av nintedanib til barn og ungdom $\geq 6-17$ år. Det er kommet innspill fra en norsk kliniker, som skriver at metoden vil kunne være aktuell for inntil 3 barn årlig. Hen påpeker også at den nye styrken tilpasset barn er viktig for korrekt dosering.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen, og vurderer at en metodevurdering i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker. DMP mener opplysninger i egnethetsvurderingen sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.

Versjonslogg*

Dato	Hva
11.08.2026	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.

Innspill til Nye metoder fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2019_136

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Kun støttebehandling, dvs slimmobiliserende behandling, antibiotika ved infeksjoner og oksygen ved lungesvikt. Det er ingen alternative medikamentelle behandlinger, komparator blir kun støttebehandling som beskrevet over.
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Ja, det er klinisk behov for metoden. Behandlingen vil komme i tillegg, da det ikke eksisterer alternativ behandling.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Vi har anslagsvis 0-3 barn som kan være aktuelle for behandlingen i Norge hvert år.

4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Det er viktig å få tilgang også til 25mg tabletter, da denne vil gi korrekt dosering til enkelte.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Skjerven var PI for den utprøvende studien på nintedanib, som ble gjennomført på Klinisk forskningspost for barn ved OUS, og deltok i et advisory board (2023).

7. Avsender av faglig innspill

Fagmedisinsk forening	Barnelegeforeningen, ved interessegruppe for allergi og lungemedisin (SPIRO).
Navn, stilling og arbeidsplass	Håvard Ove Skjerven, overlege og professor II Leder av SPIRO. Barneavdeling for allergi og lungesykdommer og Klinisk forskningspost for barn, OUS, og UiO.
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Saksnummer 099-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2025_076 Nerandomilast (Jascayd) til behandling av idiopatisk lungefibrose (IPF) hos voksne.

Fra sekretariatet

Leverandøren anmoder på nytt etter positiv EMA-opinion i mai. Bestillerforum for nye metoder ba i desember 2025 (sak 194-25) om en ny (oppdatert) anmodning når denne forelå, da det var usikkert hvilket oppdrag som ville være mest hensiktsmessig.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet, er leverandøren som har søkt om markedsføringstillatelse (MT): Boehringer Ingelheim International GmbH
- Anmodningen gjelder et nytt virkestoff.
- Leverandøren er kjent med at Nye metoder har behandlet andre legemidler/virkestoff til denne eller lignede indikasjonen tidligere; [ID2019_136](#) Nintedanib (Ofev)
- Forventet tidspunkt for MT (EMA approval): juli 2026
- Leverandøren mener at den anmodede indikasjonen ikke er aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB.
- Dagens behandling: Pasienter som ikke responderer godt nok på AF-behandling eller som ikke tåler AF-behandling får palliativ behandling eller lungetransplantasjon.
- Pasientgrunnlag: IPF er en sjelden sykdom. Forekomsten av IPF er anslått til ikke mer enn 3 per 10 000 i befolkningen.
- Leverandøren foreslår en kostand-nytte-vurdering. Leverandør foreslår følgende subgrupper:
 - o Nerandomilast som monoterapi for pasienter som ikke tåler standard antifibrotisk (AF) behandling.
 - o Nerandomilast som monoterapi for pasienter som har kontraindikasjon mot standard AF-behandling.
- Forventet tidspunkt for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter; juni 2026.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Har vært til tidlig faglig vurdering (oktober 2025), og er ikke aktuelle for ny vurdering.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Fikk MT i Europa 15.07.2026.
- Dagens medikamentelle behandling av IPF består av to legemidler/virkestoff, pirfenidon og nintedanib. Begge inngår i anbudet for idiopatisk lungefibrose. Pirfenidon har mistet patentbeskyttelsen og flere generika inngår i anbudet. Det finnes også generika på nintedanib med MT som nylig er markedsført i Norge. Anmoder er MT-innehaver for nintedanib originallegemiddel (Ofev).
- De foreslåtte analysene i den oppdaterte anmodningen som nå foreligger fra leverandør representerer en innsnevring fra godkjent indikasjon, som innebærer å begrense bruken til pasienter som ikke tolererer eller som har kontraindikasjoner mot dagens antifibrotiske behandling. Anmoder har ikke beskrevet hvorvidt det finnes data som er egnet til å etablere relativ effekt for disse gruppene. DMP finner ikke informasjon som tilsier at dette var predefinerte subgrupper i studien (FIBRONEER-IPF), som det er mulig å gjøre egne analyser for.

- Vurdering: DMP vurderer at det er relevant å undersøke om prioriteringskriteriene er oppfylt for nerandomilast for hele det godkjente bruksområdet, det vil si:
 1. Som monoterapi - hvor komparator er monoterapi med enten pirfenidon eller nintedanib.
 2. Som kombinasjonsbehandling med annen antifibrotisk behandling (nintedanib/pirfenidon) – hvor komparator er monoterapi med enten pirfenidon eller nintedanib.
- Anbefaling: DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt for nerandomilast for hele det godkjente bruksområdet. DMP vurderer at det trolig foreligger data som muliggjøre en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte analyse) for de gruppene DMP peker på i egnethetsvurderingen.

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.

Utfylt 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: 22.05.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Boehringer Ingelheim International GmbH, Germany
1.2 Navn kontaktperson	Kristie van Lieshout
1.3 Stilling kontaktperson	Market Access & Healthcare Affairs
1.4 Telefon	+47 486 12 826
1.5 E-post	kristie.van_lieshout@boehringer-ingelheim.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	N/A
1.7 Telefon og e-post	N/A

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>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i>	The expected EMA indications are: - Nerandomilast is indicated for the treatment of adult patients with Idiopathic Pulmonary Fibrosis (IPF).

<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>	- Nerandomilast is indicated for the treatment of adult patients with Progressive Pulmonary Fibrosis (PPF). Nerandomilast er indisert til: - Behandling av idiopatisk lungefibrose (IPF) hos voksne pasienter. - Behandling av andre kroniske fibroserende interstitielle lungesykdommer (ILD) med en progressiv fenotype hos voksne. Boehringer Ingelheim proposes the following subgroups of patients for both the IPF and PPF indication: 1) Nerandomilast as monotherapy for patients that cannot tolerate standard antifibrotic (AF) treatment, and 2) Nerandomilast as monotherapy for patients with a contraindication to standard AF treatment.
2.3 Handelsnavn	Jascayd
2.4 Generisk navn/virkestoff	Nerandomilast
2.5 ATC-kode	L04AA61
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingslengde</i> <i>Skriv kort</i>	9 mg or 18 mg twice daily, administered orally approximately 12 hours apart. It is expected that both dosages will be approved by EMA.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Selective immunosuppressants (L04AA61). Nerandomilast is a selective inhibitor of phosphodiesterase 4 (PDE4) with at least 9-fold preferential inhibition of the PDE4B isoenzyme over PDE4A, C and D based on in vitro data. PDE4 hydrolyses and inactivates cyclic adenosine monophosphate (cAMP). Nerandomilast exerts both anti-fibrotic and immunomodulatory effects as preferential PDE4B inhibition elevates intracellular cAMP levels and reduces the expression of pro-fibrotic growth factors and inflammatory cytokines, which are overexpressed in fibrotic lung disease.

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: N/A
---	---

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: ID2019_136: Nintedanib (Ofev)
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: N/A

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: N/A
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/006405/0000 Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Mai/2026 (Positive Opinion received on 21/05/2026) Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Juli/2026 (EMA approval) Hvis metoden har MT: Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: N/A
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: N/A

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»: N/A

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: N/A
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: N/A
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja ☐ Nei ☒ Kommentar: N/A

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: Different treatment practices.
---	---

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:

N/A

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

Boehringer Ingelheim suggests a health economic cost-utility analysis (Markov model) as recommended.

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

Boehringer Ingelheim proposes the following subgroups of patients for both the IPF and PPF indication:

- 1) Nerandomilast as monotherapy for patients that cannot tolerate standard antifibrotic (AF) treatment, and
- 2) Nerandomilast as monotherapy for patients with a contraindication to standard AF treatment.

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.

Double blind, randomized, placebo-controlled clinical phase III trials (FIBRONEER-IPF and FIBRONEER-ILD).

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

Expected patient pool is around 100 patients in year 5 after launch. This results in a budget impact of around 30 to 38 million NOK in year 5.

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

Tidspunkt må oppgis

June 2026

10 Sykdommen og eksisterende behandling

10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon

Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser

IPF is a specific form of chronic, progressive, fibrosing interstitial pneumonia of unknown cause. It is defined by the presence of a histological and radiological pattern of usual interstitial pneumonia (UIP) detected by imaging (high-resolution computed tomography [HCRT]) in the absence of an alternative interstitial lung disease (ILD) diagnosis. IPF is thought to result from sustained or repetitive injury to the lung epithelium followed by activation of fibroblasts and myofibroblast differentiation. Genetic and environmental factors along with age-related changes trigger damage to epithelial cells, which then secrete cytokines that subsequently promote fibroblast migration and proliferation and also differentiation into myofibroblasts. Myofibroblasts secrete large amounts of extracellular matrix, which leads to deposition and progression of lung fibrosis. Other factors that play a role in disease progression include dysfunction and exhaustion of stem cells, abnormal deposition of extracellular matrix and matrix stiffness. Initial symptoms of IPF include unexplained chronic exertional dyspnoea, dry/unproductive cough, bibasilar inspiratory crackles and/or digital clubbing. Pulmonary function testing (PFT) of patients suspected to have IPF can reveal lung function impairment (decreased forced vital capacity [FVC] and diffusion capacity of the lung for carbon monoxide [DLco]). In addition, severe fatigue is highly prevalent and is associated with depression, dyspnoea, functional activity impairment and a lower quality of life.

PPF is a progressive phenotype of fibrosing ILD (F-ILD), and IPF can therefore be considered a prototype of PPF. However, other than IPF, there are many F-ILD subtypes that can develop into PPF. PPF and IPF share common pathophysiologic characteristics: alveolar epithelial cell injury and subsequent dysregulated repair, characterised by excessive deposition of extracellular matrix and loss of normal parenchymal architecture and lung function. In PPF, fibroblasts are recruited from resident fibroblasts, circulating fibroblasts in addition to epithelial cells and fibrocytes undergoing epithelial-mesenchymal transition. Growth factors are released by the damaged epithelium and endothelium, and leukocytes are recruited. In addition, ononuclear cells and T-cells are also

	recruited to the injury site and release pro-fibrotic mediators. Activated fibroblasts transition to myofibroblasts, which release excessive amounts of extracellular matrix, resulting in increased tissue stiffness, which drives self-sustaining and progressive fibrosis. Chronic inflammation is thought to be an important mediator of pulmonary fibrosis in diseases such as systemic sclerosis (SSc), hypersensitivity pneumonitis (HP), sarcoidosis and rheumatoid arthritis (RA). Common symptoms reported by patients include dyspnoea, cough and fatigue.
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Lunge- og luftveissykdommer
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>	Currently, no treatment alternatives exist for patients that do not tolerate AF treatment or have a contraindication for AF treatment. Patients are treated with palliative care or lung transplantation.
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	IPF is a progressive and irreversible ILD characterized by progressive fibrosis (scarring of the lungs), worsening lung function, and dyspnea (shortness of breath). Disease progression is associated with worsening symptoms and health-related quality of life (HRQoL) as well as decline in lung function measured as Forced Vital Capacity (FVC) and high mortality (Cox et al. 2020, Martinez et al. 2017, Raghu et al. 2022). The median post-diagnosis survival in patients with IPF has been reported to be around 2.5–7 years in a mixed population of IPF patients receiving antifibrotic treatment and not receiving antifibrotic treatment (Doubková et al. 2018, Hyldgaard et al. 2014, Kärkkäinen et al. 2018, Lassenius et al. 2020, Lee et al. 2023a, Yoon et al. 2024, Zaman et al. 2020). In one study that compared patients receiving and not receiving antifibrotics, median survival was around 3.0–3.75 years for those patients who had received

	antifibrotics and 2.5 years in those who were untreated (Noor et al. 2020). PPF is a progressive phenotype of fibrosing ILD (F-ILD), and IPF can therefore be considered a prototype of PPF. However, other than IPF, there are many F-ILD subtypes that can develop into PPF. PPF other than IPF has a clinical course like IPF, irrespective of underlying ILD diagnosis or the fibrotic pattern on imaging (HRCT). This includes declining lung function, worsening symptoms, functional impairment and HRQoL as well as early mortality (Brown et al. 2022, Brown et al. 2020, Simpson et al. 2021). Currently, no treatment alternatives exist for patients that do not tolerate AF treatment or have a contraindication for AF treatment. Patients are then treated with palliative care or lung transplantation.
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Boehringer Ingelheim proposes nerandomilast as monotherapy for 1) patients that cannot tolerate standard antifibrotic (AF) treatment, and 2) patients with a contraindication to standard AF treatment.
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>	IPF: IPF is a rare disease. The prevalence of IPF is estimated at not more than 3 in 10,000 in the Community (EPAR Ofev). We are not aware of any (reliable) Norwegian estimates. PPF: In a previous HTA (Ofev HTA), BI estimated a yearly incidence of 64 new PPF patients and a prevalence of 429 PPF patients in Norway. This was considered to be reasonable by DMP. We are not aware of updated/more reliable Norwegian estimates. IPF and PPF combined: Combined data for IPF and PPF from Legemiddelregisteret shows there were 774 and 927 Norwegian patients who filled a prescription for pirfenidone and nintedanib in 2023 and 2024, respectively. If we take into account treatment switches because of adverse events (meaning double counting of patients in the Legemiddelregisteret) and the fact that most patients

	tolerate standard AF treatment (and have no contraindications for AF treatment), we expect there to be around 100 patients eligible for nerandomilast in year 5.
--	--

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	A Study to Find Out Whether BI 1015550 Improves Lung Function in People With Idiopathic Pulmonary Fibrosis (IPF) (NCT05321069)	A Study to Find Out Whether BI 1015550 Improves Lung Function in People With Progressive Fibrosing Interstitial Lung Diseases (PF-ILDs) (NCT05321082)	N/A
11.2 Studietype og -design	A double-blind, randomized, placebo-controlled trial conducted at 332 sites in 36 countries.	A double-blind, randomized, placebo-controlled trial conducted at 403 sites in 44 countries.	N/A
11.3 Formål	To investigate the efficacy and safety of nerandomilast at a dose of 9 mg twice daily or 18 mg twice daily, as monotherapy or with background AF therapy, in patients with IPF.	To investigate the efficacy and safety of nerandomilast at a dose of 18 mg twice daily or 9 mg twice daily, as monotherapy or with background AF therapy, in patients with PPF.	N/A
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	Eligible patients were 40 years of age or older and had IPF, a FVC of at least 45% of the predicted value, and a DLCO of at least 25% of the predicted value. IPF was diagnosed by the investigator according to	Eligible patients were 18 years or older with a diagnosis of ILD other than IPF and a fibrotic lung disease extent of more than 10% on the basis of an HRCT scan obtained no more than 12 months before screening and confirmed by central	N/A

	guidelines, on the basis of an HRCT scan obtained no more than 12 months before screening. A UIP or probable UIP pattern on HRCT was confirmed by central review. Patients with an indeterminate pattern on HRCT or a pattern suggesting an alternative diagnosis could participate if IPF was confirmed locally on the basis of historical surgical lung biopsy or cryobiopsy. Patients who were receiving nintedanib or pirfenidone needed to have taken a stable dose for at least 12 weeks before potentially receiving add-on of nerandomilast to AF treatment. Patients who had not received AF therapy for at least 8 weeks were eligible to participate; these patients could initiate nintedanib or pirfenidone in the event of IPF progression, acute exacerbation, or both after 12 weeks of the trial. Prednisone at a dose of more than 15 mg per day or equivalent for respiratory reasons, not permitted at enrollment, could be prescribed during the trial for suspected acute exacerbation.	review. Patients had an FVC of least 45% of the predicted value and a DLCO of at least 25% of the predicted value. Patients also met at least one of the following criteria no more than 24 months before screening: a relative decline of at least 10% in the percentage of the predicted FVC; a relative decline of at least 5% but less than 10% in the percentage of the predicted FVC with worsened respiratory symptoms, an increased extent of fibrotic changes on imaging, or both; or worsened respiratory symptoms and an increased extent of fibrotic changes on imaging. Patients who were receiving nintedanib at screening needed to have taken a stable dose for at least 12 weeks before potentially receiving add-on of nerandomilast to AF treatment. Patients who had not received nintedanib therapy for at least 8 weeks were eligible to participate; these patients could initiate nintedanib in the event of ILD progression or acute exacerbation after week 12 of the trial. Immunosuppressant therapy that had been received at a stable dose for at least 12 weeks was permitted at	
--	--	--	--

		enrollment, with the following exceptions: cyclophosphamide, tocilizumab, mycophenolate (mycophenolate mofetil or mycophenolate sodium), and rituximab were not permitted at enrollment but could be prescribed after 6 months to manage worsening of systemic disease, and prednisone at a dose of more than 15 mg per day or equivalent was not permitted at enrollment but could be prescribed for acute exacerbation of ILD. Other changes in immunosuppressant therapy were not permitted during the first 6 months of the trial. Pirfenidone was not permitted.	
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Nerandomilast: 9 mg or 18 mg twice daily over a period of 52 weeks.	Nerandomilast: 9 mg or 18 mg twice daily over a period of 52 weeks.	N/A
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Placebo over a period of 52 weeks.	Placebo over a period of 52 weeks.	N/A
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og</i>	Primary: Absolute change from baseline in FVC (mL) [Time Frame: at baseline, at week 52].	Primary: Absolute change from baseline in FVC (mL) [Time Frame: at baseline, at week 52].	N/A

<i>eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Key secondary: Time to the first occurrence of any of the components of the composite endpoint: time to first acute IPF exacerbation, first hospitalization for respiratory cause, or death (whichever occurs first) over the duration of the trial [Time Frame: up to 30 months]. Other secondary [Time Frame: up to 30 months]: Time to first acute IPF exacerbation or death; Time to hospitalization for respiratory cause or death; Time to absolute decline in FVC % predicted of >10% from baseline or death; Time to absolute decline in DLCO % predicted of >15% from baseline or death; Time to death. Other secondary [Time Frame: at baseline, at week 52]: Absolute change from baseline in Living with Pulmonary Fibrosis (L-PF) Symptoms Dyspnea domain score; Absolute change from baseline in L-PF Symptoms Cough domain score; Absolute change from baseline in L-PF Symptoms Fatigue domain score; Absolute change from baseline in FVC %; Absolute change from baseline in DLCO %.	Key secondary: Time to the first occurrence of any of the components of the composite endpoint: time to first acute ILD exacerbation, first hospitalization for respiratory cause, or death (whichever occurs first) [Time Frame: up to 31 months]. Other secondary [Time Frame: up to 31 months]: Time to first acute Interstitial Lung Disease (ILD) exacerbation or death; Time to hospitalization for respiratory cause or death; Time to absolute decline in FVC % predicted of >10% from baseline or death; Time to absolute decline in DLCO % predicted of >15% from baseline or death; Time to death. Other secondary [Time Frame: at baseline, at week 52]: Absolute change from baseline in L-PF Symptoms Dyspnea domain score; Absolute change from baseline in L-PF Symptoms Cough domain score; Absolute change from baseline in L-PF Symptoms Fatigue domain score; Absolute change from baseline in FVC %; Absolute change from baseline in DLCO %.	
---	---	---	--

11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	Nerandomilast as monotherapy.	Nerandomilast as monotherapy.	N/A
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>	52 weeks.	52 weeks.	N/A
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Completed study.	Completed study.	N/A
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Richeldi L et al. Nerandomilast in Patients with Idiopathic Pulmonary Fibrosis. N Engl J Med. 2025 Jun 12;392(22):2193-2202. doi: 10.1056/NEJMoa2414108. Epub 2025 May 18. PMID: 40387033.	Maher TM et al. Nerandomilast in Patients with Progressive Pulmonary Fibrosis. N Engl J Med. 2025 Jun 12;392(22):2203-2214. doi: 10.1056/NEJMoa2503643. Epub 2025 May 19. PMID: 40388329.	N/A

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 ☐ The long-term efficacy and safety of nerandomilast in adult patients with IPF or PPF are investigated in the ongoing FIBRONEER-ON open label extension of the phase III clinical trials (NCT06238622): A Follow-up Study to Test Long-term Treatment With Nerandomilast in People With Pulmonary Fibrosis Who Took Part in a Previous Study With Nerandomilast (FIBRONEER™-ON). The results are expected to be available in April 2027. The efficacy and safety of nerandomilast in adult patients treated with immunosuppressant treatment will be investigated in the double-blinded, randomized controlled phase III clinical trial (NCT06806592): A Study to Test Whether Nerandomilast Helps People With Lungfibrosis Related to Rheumatic Diseases. The study is expected to be completed in July 2027. The efficacy and safety of nerandomilast in patients with interstitial lung disease secondary to systemic sclerosis will be investigated in the double-blinded, randomized placebo-controlled, phase IIb clinical trial (NCT06195072): Platform Clinical Study for Conquering Scleroderma (CONQUEST). The study is expected to be completed in November 2026.
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja ☐ Nei ☒ N/A

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	N/A

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 ☒ Nei ☐ For IPF: Michael Durheim, OUS Phuong Phuong Diep, OUS Ragnhild Gagama, Ahus Tomas Mikal Lind Eagan, HUS Marit Wilskow, Bodø Merethe Selnes Hansen, UNN Kamilla Flaatten Federici, Sørlandet Sykehus For PPF: Ragnhild Gagama, Ahus Phuonh Phuong Diep, OUS Tomas Mikal Lind Eagan, HUS Merethe Selnes Hansen, UNN Jens Vikse, SUS
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 ☒ N/A
14.3 Andre relevante opplysninger?	No.

--	--

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2025_076
Handelsnavn (virkestoff)	Jascayd (nerandomilast)
Virkningsmekanisme	Hemmer av fosfodiesterase 4 (PDE4-hemmer)
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder et nytt virkestoff. Legemidlet fikk markedsføringstillatelse (MT) i Europa 15.07.2026.
Aktuell indikasjon	Behandling av voksne pasienter med idiopatisk lungefibrose (IPF). Nerandomilast fikk samtidig MT for behandling av voksne pasienter med progressiv lungefibrose (PPF), som også er anmodet i Nye metoder (se ID2025_077).
Dosering	Oral/tablett. Den anbefalte dosen er 18 mg to ganger daglig, administrert med ca. 12 timers mellomrom. Behandlingen er langvarig.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Boehringer Ingelheim (leverandør)
Bakgrunn	Lungefibrose er en samlebetegnelse for flere sykdommer som har ulik årsak, behandling og prognose. Ved lungefibrose erstattes lungevevet gradvis av bindevev (fibrose), noe som medfører nedsatt lungefunksjon (1). Idiopatisk lungefibrose betyr at det ikke kan identifiseres en sikker årsak til hvorfor fibrosen er oppstått. Idiopatisk lungefibrose (IPF) er sjelden, og rammer anslagsvis tre til fem per 100 000 mennesker. Sykdommen opptrer hyppigst rundt 60-årsalderen (2). Det finnes ingen behandling som reverserer fibrose som allerede er til stede i lungene, og dagens medikamentelle behandling av IPF retter seg derfor mot å hindre videre fibroseutvikling. Av antifibrotisk behandling er to legemidler godkjent for behandling av IPF: - Pirfenidon (Esbriet, samt generika - ID2023_07): behandling av idiopatisk lungefibrose (ILF) hos voksne. - Nintedanib (Ofev) Pirfenidon og nintedanib er inkludert i Sykehusinnkjøp sitt anbud 2499f. IPF responderer ikke på kortikosteroider og immundempende legemidler frarådes. Pasienter < 60 (–65) år som kan være aktuelle for lungetransplantasjon (forventet levetid < 1–2 år) bør henvises til transplantasjonssenter (Rikshospitalet) tidlig i sykdomsforløpet (3). Effekt og sikkerhet av nerandomilast er undersøkt i en dobbeltblindet, placebokontrollert, fase III-studie, FIBRONEER-IPF. Studien inkluderte 1177 pasienter. Pasientene ble randomisert 1:1:1 til enten nerandomilast 9 mg to ganger daglig (BID), nerandomilast 18 mg BID eller placebo. Pasientene måtte være over 40 år, ha bekreftet IPF-diagnose, FVC¹ på minst 45 % av predikert verdi og DLCO² på minst 25 % av predikert verdi.

¹ Forced vital capacity (FVC)² Diffusing capacity of the lungs for carbon monoxide (DLCO)

	Pasientene kunne være tidligere behandlet med andre antifibrotiske legemidler (pirfenidon eller nintedanib), samt fortsette på denne behandlingen mens de mottok enten nerandomilast eller placebo. Dette gjaldt 77,7 % av pasientene som inngikk i studien. Pasienter som ikke stod på annen behandling ved baseline kunne starte med nintedanib eller pirfenidon etter 12 uker på nerandomilast eller placebo, hvis de opplevde sykdomsprogresjon eller en akutt eksaserbasjon. Pasientene ble stratifisert basert på bruk av samtidig bakgrunnsbehandling (pirfenidon eller nintedanib vs. ingen behandling). Studiens resultater er publisert (4). Leverandør har tidligere anmodet om vurdering i Nye Metoder og DMP utarbeidet en egnethetsvurdering. Det var på dette tidspunktet knyttet usikkerhet til hva som ble endelig godkjent bruksområde/indikasjon for nerandomilast, og i Bestillerforum 08.12.2026 ble leverandøren bedt om å anmode på nytt når det forelå en anbefaling (opinion) fra EMA (det europeiske legemiddelbyrået). Nerandomilast fikk positiv opinion 22. mai 2026, og leverandør har sendt inn en ny anmodning.
Begrunnelse i forslag	Anmoder ønsker å sende inn to analyser (kostnad-nytte-analyser) på to ulike populasjoner/bruksområder: 1) Nerandomilast som monoterapi for pasienter som ikke tolererer standard antifibrotisk behandling. 2) Nerandomilast som monoterapi for pasienter hvor standard antifibrotisk behandling er kontraindisert.
Preliminær PICO³	P: I tråd med endelig godkjent indikasjon; Behandling av IPF hos voksne pasienter I: I tråd med endelig godkjent indikasjon; både monoterapi, og kombinasjonsterapi med annen antifibrotisk behandling (pirfenidon eller nintedanib). C: For nerandomilast monoterapi: komparator er monoterapi med enten pirfenidon eller nintedanib For nerandomilast i kombinasjon med annen antifibrotisk behandling (pirfenidon eller nintedanib); komparator er monoterapi med annen antifibrotisk behandling (pirfenidon eller nintedanib) O: Tap av lungefunksjon, eksaserbasjoner, lungetransplantasjoner, totaloverlevelse, helserelatert livskvalitet, ressursbruk.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Dagens medikamentelle behandling av IPF består av to legemidler/virkestoff, pirfenidon og nintedanib. Begge inngår i Sykehusinnkjøp sitt anbud 2499f for idiopatisk lungefibrose. Pirfenidon har mistet patentbeskyttelsen og flere generika inngår i anbudet. Det finnes også generika på nintedanib med MT som nylig er markedsført i Norge. Anmoder er MT-innehaver for nintedanib originallegemiddel (Ofev). FIBRONEER-IPF undersøkte effekten av nerandomilast hos behandlingserfarne- og naive pasienter, og både som monoterapi og som tillegg til annen antifibrotisk IPF-behandling. Innspill til Nye metoder fra fagmiljøet peker på følgende pasientgrupper som aktuelle for nerandomilast; - istedenfor pirfenidon eller nintedanib som monoterapi.

³ Pasientpopulasjon, intervensjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering

	- som tilleggsbehandling til eksisterende antifibrotisk behandling. - til bruk hos pasienter som har/får uakseptable bivirkninger av pirfenidon eller nintedanib I den oppdaterte anmodningen har leverandør endret forslaget for hvilken populasjon/bruksområde de ønsker å sende inn analyser for. I den opprinnelige anmodningen foreslo leverandør følgende: 1) <i>Nerandomilast som tilleggsbehandling til annen standard antifibrotisk behandling.</i> 2) <i>Nerandomilast som monoterapi for de pasientene som ikke tolererer standard antifibrotisk behandling.</i> De foreslåtte analysene i den oppdaterte anmodningen fra leverandør er innsnevringar fra godkjent indikasjon, som innebærer å begrense bruken til pasienter som ikke tolererer eller som har kontraindikasjoner mot dagens antifibrotiske behandling. Anmoder har ikke beskrevet hvorvidt det finnes data som er egnet til å etablere relativ effekt for disse gruppene. DMP finner ikke informasjon som tilsier at dette var predefinerte subgrupper i FIBRONEER-IPF, som det er mulig å gjøre egne analyser for. DMP vurderer at det er relevant å undersøke om prioriteringskriteriene er oppfylt for nerandomilast for hele det godkjente bruksområdet, det vil si: 1. Som monoterapi - hvor komparator er monoterapi med enten pirfenidon eller nintedanib. 2. Som kombinasjonsbehandling med annen antifibrotisk behandling (nintedanib/pirfenidon) – hvor komparator er monoterapi med enten pirfenidon eller nintedanib.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt for nerandomilast for hele det godkjente bruksområdet. DMP vurderer at det trolig foreligger data som muliggjør en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse) for de gruppene DMP peker på i egnethetsvurderingen.

Kilder:

1. Akershus Universitetssykehus, Lungefibrose. [Lungefibrose - Akershus universitetssykehus HF](#)
2. Store Medisinske Leksikon, Idiopatisk lungefibrose. [idiopatisk pulmonal fibrose – Store medisinske leksikon](#)
3. Norsk Legemiddelhåndbok, idiopatiske interstitielle pneumonier. [T10.4.3 Idiopatiske interstitielle pneumonier | Legemiddelhåndboka](#)
4. Nerandomilast in Patients with Idiopathic Pulmonary Fibrosis, Richeldi et.al, New England Journal of Medicine, Volume 392. Number 22. June 12, 2025. Pages: 2193-2202. [Nerandomilast in Patients with Idiopathic Pulmonary Fibrosis | New England Journal of Medicine](#)

Versjonslogg*

Dato	Hva
25.11.2025	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP
11.08.2026	Oppdatert egnethetsvurdering fra DMP ferdigstilt.

*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](https://legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.

Saksnummer 100-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2025_077 Nerandomilast (Jascayd) til behandling av kroniske fibroserende interstitielle lungesykdommer (ILD) med en progressiv fenotype hos voksne.

Fra sekretariatet

Leverandøren anmoder på nytt etter positiv EMA-opinion i mai. Bestillerforum for nye metoder ba i desember 2025 (sak 195-25) om en ny (oppdatert) anmodning når denne forelå, da det var usikkert hvilket oppdrag som ville være mest hensiktsmessig.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet, er leverandøren som har søkt om markedsføringstillatelse (MT): Boehringer Ingelheim International GmbH
- Anmodningen gjelder et nytt virkestoff.
- Leverandøren er kjent med at Nye metoder har behandlet andre legemidler/virkestoff til denne eller lignede indikasjonen tidligere; [ID2019_136](#) Nintedanib (Ofev)
- Forventet tidspunkt for MT (EMA approval): juli 2026
- Leverandøren mener at den anmodede indikasjonen ikke er aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB.
- Dagens behandling: Pasienter som ikke responderer godt nok på AF-behandling eller som ikke tåler AF-behandling får palliativ behandling eller lungetransplantasjon.
- Pasientgrunnlag: I en tidligere metodevurdering ble det estimert en årlig insidens på 64 nye «Progressive Pulmonary Fibrosis (PPF)» pasienter og en prevalens på 429 PPF-pasienter i Norge.
- Leverandøren foreslår en kostand-nytte-vurdering. Leverandør foreslår følgende subgrupper:
 - Nerandomilast som monoterapi for pasienter som ikke tåler standard antifibrotisk (AF) behandling.
 - Nerandomilast som monoterapi for pasienter som har kontraindikasjon mot standard AF-behandling.
- Forventet tidspunkt for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter; juni 2026.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Har vært til tidlig faglig vurdering (oktober 2025), og er ikke aktuelle for ny vurdering.

Egnehetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Fikk MT i Europa 15.07.2026.
- Dagens medikamentelle behandling av (ikke-IPF) PF-ILD består primært av nintedanib (antifibrotisk), samt kortikosteroider og immundempende legemidler. Det finnes generika på nintedanib med MT som nylig er markedsført i Norge. Anmoder er MT-innehaver for nintedanib originallegemiddel (Ofev).
- De foreslåtte analysene i den oppdaterte anmodningen som nå foreligger fra leverandør representerer en innsnevring fra godkjent indikasjon, som innebærer å begrense bruken til pasienter som ikke tolererer eller som har kontraindikasjoner mot dagens antifibrotiske behandling. Anmoder har ikke beskrevet hvorvidt det finnes data som er egnet til å etablere relativ effekt for disse gruppene. DMP finner ikke informasjon som tilsier at dette var predefinerte subgrupper i studien (FIBRONEER-IPF), som det er mulig å gjøre egne analyser for.

- Vurdering: DMP vurderer at det er relevant å undersøke om prioriteringskriteriene er oppfylt for nerandomilast for hele det godkjente bruksområdet, det vil si:
 1. Som monoterapi - hvor komparator er monoterapi med enten pirfenidon eller nintedanib.
 2. Som kombinasjonsbehandling med annen antifibrotisk behandling (nintedanib) – hvor komparator er monoterapi med nintedanib.
- Anbefaling: DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt for nerandomilast for hele det godkjente bruksområdet. DMP vurderer at det trolig foreligger data som muliggjøre en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte analyse) for de gruppene DMP peker på i egnethetsvurderingen.

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.

Utfylt 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: 22.05.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Boehringer Ingelheim International GmbH, Germany
1.2 Navn kontaktperson	Kristie van Lieshout
1.3 Stilling kontaktperson	Market Access & Healthcare Affairs
1.4 Telefon	+47 486 12 826
1.5 E-post	kristie.van_lieshout@boehringer-ingelheim.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	N/A
1.7 Telefon og e-post	N/A

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>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i>	The expected EMA indications are: - Nerandomilast is indicated for the treatment of adult patients with Idiopathic Pulmonary Fibrosis (IPF).

<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>	- Nerandomilast is indicated for the treatment of adult patients with Progressive Pulmonary Fibrosis (PPF). Nerandomilast er indisert til: - Behandling av idiopatisk lungefibrose (IPF) hos voksne pasienter. - Behandling av andre kroniske fibroserende interstitielle lungesykdommer (ILD) med en progressiv fenotype hos voksne. Boehringer Ingelheim proposes the following subgroups of patients for both the IPF and PPF indication: 1) Nerandomilast as monotherapy for patients that cannot tolerate standard antifibrotic (AF) treatment, and 2) Nerandomilast as monotherapy for patients with a contraindication to standard AF treatment.
2.3 Handelsnavn	Jascayd
2.4 Generisk navn/virkestoff	Nerandomilast
2.5 ATC-kode	L04AA61
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingslengde</i> <i>Skriv kort</i>	9 mg or 18 mg twice daily, administered orally approximately 12 hours apart. It is expected that both dosages will be approved by EMA.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Selective immunosuppressants (L04AA61). Nerandomilast is a selective inhibitor of phosphodiesterase 4 (PDE4) with at least 9-fold preferential inhibition of the PDE4B isoenzyme over PDE4A, C and D based on in vitro data. PDE4 hydrolyses and inactivates cyclic adenosine monophosphate (cAMP). Nerandomilast exerts both anti-fibrotic and immunomodulatory effects as preferential PDE4B inhibition elevates intracellular cAMP levels and reduces the expression of pro-fibrotic growth factors and inflammatory cytokines, which are overexpressed in fibrotic lung disease.

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: N/A
---	---

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: ID2019_136: Nintedanib (Ofev)
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: N/A

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: N/A
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/006405/0000 Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Mai/2026 (Positive Opinion received on 21/05/2026) Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Juli/2026 (EMA approval) Hvis metoden har MT: Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: N/A
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: N/A

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»: N/A

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: N/A
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: N/A
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja ☐ Nei ☒ Kommentar: N/A

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: Different treatment practices.
---	---

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 ☐ Nei ☒ Dato for søknad til EMA: N/A
---	--

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse

9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	Boehringer Ingelheim suggests a health economic cost-utility analysis (Markov model) as recommended.
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Boehringer Ingelheim proposes the following subgroups of patients for both the IPF and PPF indication: 1) Nerandomilast as monotherapy for patients that cannot tolerate standard antifibrotic (AF) treatment, and 2) Nerandomilast as monotherapy for patients with a contraindication to standard AF treatment.
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>	Double blind, randomized, placebo-controlled clinical phase III trials (FIBRONEER-IPF and FIBRONEER-ILD).
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Expected patient pool is around 100 patients in year 5 after launch. This results in a budget impact of around 30 to 38 million NOK in year 5.
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>	June 2026

10 Sykdommen og eksisterende behandling

10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon

Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser

IPF is a specific form of chronic, progressive, fibrosing interstitial pneumonia of unknown cause. It is defined by the presence of a histological and radiological pattern of usual interstitial pneumonia (UIP) detected by imaging (high-resolution computed tomography [HCRT]) in the absence of an alternative interstitial lung disease (ILD) diagnosis. IPF is thought to result from sustained or repetitive injury to the lung epithelium followed by activation of fibroblasts and myofibroblast differentiation. Genetic and environmental factors along with age-related changes trigger damage to epithelial cells, which then secrete cytokines that subsequently promote fibroblast migration and proliferation and also differentiation into myofibroblasts. Myofibroblasts secrete large amounts of extracellular matrix, which leads to deposition and progression of lung fibrosis. Other factors that play a role in disease progression include dysfunction and exhaustion of stem cells, abnormal deposition of extracellular matrix and matrix stiffness. Initial symptoms of IPF include unexplained chronic exertional dyspnoea, dry/unproductive cough, bibasilar inspiratory crackles and/or digital clubbing. Pulmonary function testing (PFT) of patients suspected to have IPF can reveal lung function impairment (decreased forced vital capacity [FVC] and diffusion capacity of the lung for carbon monoxide [DLco]). In addition, severe fatigue is highly prevalent and is associated with depression, dyspnoea, functional activity impairment and a lower quality of life.

PPF is a progressive phenotype of fibrosing ILD (F-ILD), and IPF can therefore be considered a prototype of PPF. However, other than IPF, there are many F-ILD subtypes that can develop into PPF. PPF and IPF share common pathophysiologic characteristics: alveolar epithelial cell injury and subsequent dysregulated repair, characterised by excessive deposition of extracellular matrix and loss of normal parenchymal architecture and lung function. In PPF, fibroblasts are recruited from resident fibroblasts, circulating fibroblasts in addition to epithelial cells and fibrocytes undergoing epithelial-mesenchymal transition. Growth factors are released by the damaged epithelium and endothelium, and leukocytes are recruited. In addition, ononuclear cells and T-cells are also

	recruited to the injury site and release pro-fibrotic mediators. Activated fibroblasts transition to myofibroblasts, which release excessive amounts of extracellular matrix, resulting in increased tissue stiffness, which drives self-sustaining and progressive fibrosis. Chronic inflammation is thought to be an important mediator of pulmonary fibrosis in diseases such as systemic sclerosis (SSc), hypersensitivity pneumonitis (HP), sarcoidosis and rheumatoid arthritis (RA). Common symptoms reported by patients include dyspnoea, cough and fatigue.
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Lunge- og luftveissykdommer
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>	Currently, no treatment alternatives exist for patients that do not tolerate AF treatment or have a contraindication for AF treatment. Patients are treated with palliative care or lung transplantation.
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	IPF is a progressive and irreversible ILD characterized by progressive fibrosis (scarring of the lungs), worsening lung function, and dyspnea (shortness of breath). Disease progression is associated with worsening symptoms and health-related quality of life (HRQoL) as well as decline in lung function measured as Forced Vital Capacity (FVC) and high mortality (Cox et al. 2020, Martinez et al. 2017, Raghu et al. 2022). The median post-diagnosis survival in patients with IPF has been reported to be around 2.5–7 years in a mixed population of IPF patients receiving antifibrotic treatment and not receiving antifibrotic treatment (Doubková et al. 2018, Hyldgaard et al. 2014, Kärkkäinen et al. 2018, Lassenius et al. 2020, Lee et al. 2023a, Yoon et al. 2024, Zaman et al. 2020). In one study that compared patients receiving and not receiving antifibrotics, median survival was around 3.0–3.75 years for those patients who had received

	antifibrotics and 2.5 years in those who were untreated (Noor et al. 2020). PPF is a progressive phenotype of fibrosing ILD (F-ILD), and IPF can therefore be considered a prototype of PPF. However, other than IPF, there are many F-ILD subtypes that can develop into PPF. PPF other than IPF has a clinical course like IPF, irrespective of underlying ILD diagnosis or the fibrotic pattern on imaging (HRCT). This includes declining lung function, worsening symptoms, functional impairment and HRQoL as well as early mortality (Brown et al. 2022, Brown et al. 2020, Simpson et al. 2021). Currently, no treatment alternatives exist for patients that do not tolerate AF treatment or have a contraindication for AF treatment. Patients are then treated with palliative care or lung transplantation.
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Boehringer Ingelheim proposes nerandomilast as monotherapy for 1) patients that cannot tolerate standard antifibrotic (AF) treatment, and 2) patients with a contraindication to standard AF treatment.
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>	IPF: IPF is a rare disease. The prevalence of IPF is estimated at not more than 3 in 10,000 in the Community (EPAR Ofev). We are not aware of any (reliable) Norwegian estimates. PPF: In a previous HTA (Ofev HTA), BI estimated a yearly incidence of 64 new PPF patients and a prevalence of 429 PPF patients in Norway. This was considered to be reasonable by DMP. We are not aware of updated/more reliable Norwegian estimates. IPF and PPF combined: Combined data for IPF and PPF from Legemiddelregisteret shows there were 774 and 927 Norwegian patients who filled a prescription for pirfenidone and nintedanib in 2023 and 2024, respectively. If we take into account treatment switches because of adverse events (meaning double counting of patients in the Legemiddelregisteret) and the fact that most patients

	tolerate standard AF treatment (and have no contraindications for AF treatment), we expect there to be around 100 patients eligible for nerandomilast in year 5.
--	--

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	A Study to Find Out Whether BI 1015550 Improves Lung Function in People With Idiopathic Pulmonary Fibrosis (IPF) (NCT05321069)	A Study to Find Out Whether BI 1015550 Improves Lung Function in People With Progressive Fibrosing Interstitial Lung Diseases (PF-ILDs) (NCT05321082)	N/A
11.2 Studietype og -design	A double-blind, randomized, placebo-controlled trial conducted at 332 sites in 36 countries.	A double-blind, randomized, placebo-controlled trial conducted at 403 sites in 44 countries.	N/A
11.3 Formål	To investigate the efficacy and safety of nerandomilast at a dose of 9 mg twice daily or 18 mg twice daily, as monotherapy or with background AF therapy, in patients with IPF.	To investigate the efficacy and safety of nerandomilast at a dose of 18 mg twice daily or 9 mg twice daily, as monotherapy or with background AF therapy, in patients with PPF.	N/A
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	Eligible patients were 40 years of age or older and had IPF, a FVC of at least 45% of the predicted value, and a DLCO of at least 25% of the predicted value. IPF was diagnosed by the investigator according to	Eligible patients were 18 years or older with a diagnosis of ILD other than IPF and a fibrotic lung disease extent of more than 10% on the basis of an HRCT scan obtained no more than 12 months before screening and confirmed by central	N/A

	guidelines, on the basis of an HRCT scan obtained no more than 12 months before screening. A UIP or probable UIP pattern on HRCT was confirmed by central review. Patients with an indeterminate pattern on HRCT or a pattern suggesting an alternative diagnosis could participate if IPF was confirmed locally on the basis of historical surgical lung biopsy or cryobiopsy. Patients who were receiving nintedanib or pirfenidone needed to have taken a stable dose for at least 12 weeks before potentially receiving add-on of nerandomilast to AF treatment. Patients who had not received AF therapy for at least 8 weeks were eligible to participate; these patients could initiate nintedanib or pirfenidone in the event of IPF progression, acute exacerbation, or both after 12 weeks of the trial. Prednisone at a dose of more than 15 mg per day or equivalent for respiratory reasons, not permitted at enrollment, could be prescribed during the trial for suspected acute exacerbation.	review. Patients had an FVC of least 45% of the predicted value and a DLCO of at least 25% of the predicted value. Patients also met at least one of the following criteria no more than 24 months before screening: a relative decline of at least 10% in the percentage of the predicted FVC; a relative decline of at least 5% but less than 10% in the percentage of the predicted FVC with worsened respiratory symptoms, an increased extent of fibrotic changes on imaging, or both; or worsened respiratory symptoms and an increased extent of fibrotic changes on imaging. Patients who were receiving nintedanib at screening needed to have taken a stable dose for at least 12 weeks before potentially receiving add-on of nerandomilast to AF treatment. Patients who had not received nintedanib therapy for at least 8 weeks were eligible to participate; these patients could initiate nintedanib in the event of ILD progression or acute exacerbation after week 12 of the trial. Immunosuppressant therapy that had been received at a stable dose for at least 12 weeks was permitted at	
--	--	--	--

		enrollment, with the following exceptions: cyclophosphamide, tocilizumab, mycophenolate (mycophenolate mofetil or mycophenolate sodium), and rituximab were not permitted at enrollment but could be prescribed after 6 months to manage worsening of systemic disease, and prednisone at a dose of more than 15 mg per day or equivalent was not permitted at enrollment but could be prescribed for acute exacerbation of ILD. Other changes in immunosuppressant therapy were not permitted during the first 6 months of the trial. Pirfenidone was not permitted.	
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Nerandomilast: 9 mg or 18 mg twice daily over a period of 52 weeks.	Nerandomilast: 9 mg or 18 mg twice daily over a period of 52 weeks.	N/A
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Placebo over a period of 52 weeks.	Placebo over a period of 52 weeks.	N/A
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og</i>	Primary: Absolute change from baseline in FVC (mL) [Time Frame: at baseline, at week 52].	Primary: Absolute change from baseline in FVC (mL) [Time Frame: at baseline, at week 52].	N/A

<i>eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Key secondary: Time to the first occurrence of any of the components of the composite endpoint: time to first acute IPF exacerbation, first hospitalization for respiratory cause, or death (whichever occurs first) over the duration of the trial [Time Frame: up to 30 months]. Other secondary [Time Frame: up to 30 months]: Time to first acute IPF exacerbation or death; Time to hospitalization for respiratory cause or death; Time to absolute decline in FVC % predicted of >10% from baseline or death; Time to absolute decline in DLCO % predicted of >15% from baseline or death; Time to death. Other secondary [Time Frame: at baseline, at week 52]: Absolute change from baseline in Living with Pulmonary Fibrosis (L-PF) Symptoms Dyspnea domain score; Absolute change from baseline in L-PF Symptoms Cough domain score; Absolute change from baseline in L-PF Symptoms Fatigue domain score; Absolute change from baseline in FVC %; Absolute change from baseline in DLCO %.	Key secondary: Time to the first occurrence of any of the components of the composite endpoint: time to first acute ILD exacerbation, first hospitalization for respiratory cause, or death (whichever occurs first) [Time Frame: up to 31 months]. Other secondary [Time Frame: up to 31 months]: Time to first acute Interstitial Lung Disease (ILD) exacerbation or death; Time to hospitalization for respiratory cause or death; Time to absolute decline in FVC % predicted of >10% from baseline or death; Time to absolute decline in DLCO % predicted of >15% from baseline or death; Time to death. Other secondary [Time Frame: at baseline, at week 52]: Absolute change from baseline in L-PF Symptoms Dyspnea domain score; Absolute change from baseline in L-PF Symptoms Cough domain score; Absolute change from baseline in L-PF Symptoms Fatigue domain score; Absolute change from baseline in FVC %; Absolute change from baseline in DLCO %.	
---	---	---	--

11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	Nerandomilast as monotherapy.	Nerandomilast as monotherapy.	N/A
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>	52 weeks.	52 weeks.	N/A
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Completed study.	Completed study.	N/A
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Richeldi L et al. Nerandomilast in Patients with Idiopathic Pulmonary Fibrosis. N Engl J Med. 2025 Jun 12;392(22):2193-2202. doi: 10.1056/NEJMoa2414108. Epub 2025 May 18. PMID: 40387033.	Maher TM et al. Nerandomilast in Patients with Progressive Pulmonary Fibrosis. N Engl J Med. 2025 Jun 12;392(22):2203-2214. doi: 10.1056/NEJMoa2503643. Epub 2025 May 19. PMID: 40388329.	N/A

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 ☐ The long-term efficacy and safety of nerandomilast in adult patients with IPF or PPF are investigated in the ongoing FIBRONEER-ON open label extension of the phase III clinical trials (NCT06238622): A Follow-up Study to Test Long-term Treatment With Nerandomilast in People With Pulmonary Fibrosis Who Took Part in a Previous Study With Nerandomilast (FIBRONEER™-ON). The results are expected to be available in April 2027. The efficacy and safety of nerandomilast in adult patients treated with immunosuppressant treatment will be investigated in the double-blinded, randomized controlled phase III clinical trial (NCT06806592): A Study to Test Whether Nerandomilast Helps People With Lungfibrosis Related to Rheumatic Diseases. The study is expected to be completed in July 2027. The efficacy and safety of nerandomilast in patients with interstitial lung disease secondary to systemic sclerosis will be investigated in the double-blinded, randomized placebo-controlled, phase IIb clinical trial (NCT06195072): Platform Clinical Study for Conquering Scleroderma (CONQUEST). The study is expected to be completed in November 2026.
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja ☐ Nei ☒ N/A

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	N/A

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 ☒ Nei ☐ For IPF: Michael Durheim, OUS Phuong Phuong Diep, OUS Ragnhild Gagama, Ahus Tomas Mikal Lind Eagan, HUS Marit Wilschow, Bodø Merethe Selnes Hansen, UNN Kamilla Flaatten Federici, Sørlandet Sykehus For PPF: Ragnhild Gagama, Ahus Phuonh Phuong Diep, OUS Tomas Mikal Lind Eagan, HUS Merethe Selnes Hansen, UNN Jens Vikse, SUS
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 ☒ N/A
14.3 Andre relevante opplysninger?	No.

--	--

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2025_077
Handelsnavn (virkestoff)	Jascayd (nerandomilast)
Virkningsmekanisme	Hemmer av fosfodiesterase 4 (PDE4-hemmer)
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder et nytt virkestoff. Legemidlet fikk markedsføringstillatelse (MT) i Europa 15.07.2026.
Aktuell indikasjon	Behandling av voksne pasienter med progressiv lungefibrose (PPF). Nerandomilast fikk samtidig MT for behandling av voksne pasienter med idiopatisk lungefibrose (IPF), som også er anmodet i Nye metoder (se ID2025_076).
Dosering	Oral/tablett. Den anbefalte dosen er 18 mg to ganger daglig, administrert med ca. 12 timers mellomrom. Behandlingen er langvarig.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Boehringer Ingelheim (leverandør)
Bakgrunn	Lungefibrose er en samlebetegnelse for flere sykdommer som har ulik årsak, behandling og prognose. Ved lungefibrose erstattes lungevevet gradvis av bindevev/arrvev (fibrose), noe som medfører nedsatt lungefunksjon (1). En av sykdommene som faller innunder denne betegnelsen er idiopatisk lungefibrose, IPF. Majoriteten av pasienter med lungefibrose har IPF. Fagfeltet er i utvikling, og betegnelsene for de øvrige variantene av lungefibrose er ofte knyttet til den bakenforliggende årsaken til fibrosen. Det som er viktig for behandlingsstrategien er hvorvidt lungefibrosen er av en progressiv art. Lenge ble dette kalt progressivt fibroserende interstitielle lungesykdommer, forkortet PF-ILD, som fellesbetegnelse for sykdomsgruppen. I nyere litteratur er fellesbetegnelsen progressiv lungefibrose (<i>progressiv pulmonal fibrose</i>, PPF). Betegnelsene PF-ILD og PPF er helt overlappende. Det finnes ingen behandling som reverserer fibrose som allerede er til stede i lungene, og dagens medikamentelle behandling av PPF retter seg derfor mot å hindre videre fibroseutvikling. Av antifibrotisk behandling er nintedanib metodevurdert og innført i spesialisthelsetjenesten (ID2019_136). Til forskjell fra IPF vil de andre PPF-typene respondere på kortikosteroider og immundempende legemidler (2). Pasienter < 60 (–65) år som kan være aktuelle for lungetransplantasjon (forventet levetid < 1–2 år) bør henvises til transplantasjonssenter (Rikshospitalet) tidlig i sykdomsforløpet (2). Effekt og sikkerhet av nerandomilast er undersøkt i en dobbeltblindet, placebokontrollert, fase III-studie, FIBRONEER-ILD. Studien inkluderte 1176 pasienter. Pasientene ble randomisert 1:1:1 til enten nerandomilast 9 mg to ganger daglig (BID), nerandomilast 18 mg BID eller placebo. Pasientene måtte være over 18 år, ha bekreftet PF-ILD diagnose som ikke var IPF, mer enn 10 % utbredelse av fibrose i

	lungene (målt med CT), samt ha en FVC¹ på minst 45 % av predikert verdi og DLCO² på minst 25 % av predikert verdi. Pasientene kunne være tidligere behandlet med andre antifibrotiske legemidler (nintedanib), samt fortsette på denne behandlingen mens de mottok enten nerandomilast eller placebo. Dette gjaldt 43,7 % av pasientene som inngikk i studien. Pasientene i studien kunne også fortsette sin immunsuppressive behandling (med noen unntak). Pasienter som ikke stod på nintedanibbehandling ved baseline kunne starte med nintedanib etter 12 uker på nerandomilast eller placebo, hvis de opplevde ILD-progresjon eller en akutt eksaserbasjon. Pasientene ble stratifisert basert på bruk av samtidig bakgrunnsbehandling (nintedanib vs. ingen behandling). Studiens resultater er publisert (3). Leverandør har tidligere anmodet om vurdering i Nye Metoder og DMP utarbeidet en egnethetsvurdering. Det var på dette tidspunktet knyttet usikkerhet til hva som ble endelig godkjent bruksområde/indikasjon for nerandomilast, og i Bestillerforum 08.12.2026 ble leverandøren bedt om å anmode på nytt når det forelå en anbefaling (opinion) fra EMA (det europeiske legemiddelbyrået). Nerandomilast fikk positiv opinion 22. mai 2026, og leverandør har sendt inn en ny anmodning.
Begrunnelse i forslag	Anmoder ønsker å sende inn to analyser (kostnad-nytte-analyser) på to ulike populasjoner/bruksområder: 1) Nerandomilast som monoterapi for pasienter som ikke tolererer standard antifibrotisk behandling. 2) Nerandomilast som monoterapi for pasienter hvor standard antifibrotisk behandling er kontraindisert.
Preliminær PICO³	P: I tråd med endelig godkjent indikasjon; Behandling av PPF hos voksne pasienter I: I tråd med endelig godkjent indikasjon; både monoterapi, og kombinasjonsterapi med annen antifibrotisk behandling (nintedanib). C: For nerandomilast monoterapi: komparator er monoterapi med nintedanib For nerandomilast i kombinasjon med annen antifibrotisk behandling (nintedanib); komparator er monoterapi med annen antifibrotisk behandling (nintedanib) O: Tap av lungefunksjon, eksaserbasjoner, totaloverlevelse, lungetransplantasjon, helserelatert livskvalitet, ressursbruk.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Dagens medikamentelle behandling av (ikke-IPF) PF-ILD består primært av nintedanib (antifibrotisk), samt kortikosteroider og immundempende legemidler. Det finnes generika på nintedanib med MT som nylig er markedsført i Norge. Anmoder er MT-innehaver for nintedanib originallegemiddel (Ofev). FIBRONEER-ILD undersøker effekten av nerandomilast hos behandlingserfarne- og naive pasienter, og både som monoterapi og som tillegg til annen antifibrotisk behandling (nintedanib).

¹ Forced vital capacity (FVC)

² Diffusing capacity of the lungs for carbon monoxide (DLCO)

³ Pasientpopulasjon, intervensjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering

	Innspill til Nye metoder fra fagmiljøet peker på følgende pasientgrupper som aktuelle for nerandomilast; - istedenfor nintedanib som monoterapi. - som tilleggsbehandling til eksisterende antifibrotisk behandling. - til bruk hos pasienter som har/får uakseptable bivirkninger av nintedanib I den oppdaterte anmodningen har leverandør endret forslaget for hvilken populasjon/bruksområdet de ønsker å sende inn analyser for. I den opprinnelige anmodningen foreslo leverandør følgende: 1) <i>Nerandomilast som tilleggsbehandling til annen standard antifibrotisk behandling.</i> 2) <i>Nerandomilast som monoterapi for de pasientene som ikke tolererer standard antifibrotisk behandling.</i> De foreslåtte analysene i den oppdaterte anmodningen fra leverandør er innsnevring fra godkjent indikasjon, som innebærer å begrense bruken til pasienter som ikke tolererer eller som har kontraindikasjoner mot dagens antifibrotiske behandling. Anmoder har ikke beskrevet hvorvidt det finnes data som er egnet til å etablere relativ effekt for disse gruppene. DMP finner ikke informasjon som tilsier at dette var predefinerte subgrupper i FIBRONEER-ILD, som det er mulig å gjøre egne analyser for. DMP vurderer at det er relevant å undersøke om prioriteringskriteriene er oppfylt for nerandomilast for hele det godkjente bruksområdet, det vil si: 1. Som monoterapi - hvor komparator er monoterapi med nintedanib. 2. Som kombinasjonsbehandling med annen antifibrotisk behandling (nintedanib) – hvor komparator er monoterapi med nintedanib.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt for nerandomilast for hele det godkjente bruksområdet. DMP vurderer at det trolig foreligger data som muliggjør en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse), for de gruppene DMP peker på i egnethetsvurderingen.

Kilder:

1. Akershus Universitetssykehus, Lungefibrose. [Lungefibrose - Akershus universitetssykehus HF](#).
2. Nintedanib (Ofev) ID2019_136 – Metodevurdering. [id2019_136_nintedanib_ofev_progressiv-kronisk-fibroserende-interstitiell-lungesykdom_metodevurdering_offentlig-versjon.pdf](#)
3. Nerandomilast in Patients with Progressive Pulmonary Fibrosis, Maher et.al, New England Journal of Medicine, Volume 392. Number 22. June 12, 2025. Pages: 2203-2214. [Nerandomilast in Patients with Progressive Pulmonary Fibrosis | New England Journal of Medicine](#)

Versjonslogg*	
Dato	Hva
25.11.2025	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP
11.08.2026	Oppdatert egnethetsvurdering fra DMP ferdigstilt.

*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](https://legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.

Saksnummer 101-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2018_130 Risankizumab (Skyrizi) til behandling av moderat til alvorlig plakkpsoriasis hos voksne som er kandidater for systemisk behandling. Indikasjonsutvidelse til barn og ungdom fra 6 års alder.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er Abbvie.
- Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse og en ny styrke til bruk hos barn og ungdom fra 6 års alder.
- Nye metoder har tidligere behandlet legemidlet for samme indikasjon hos voksne.
- Forventer markedsføringstillatelse (MT) for den anmodede indikasjonen i juni 2026.
- Leverandør vurderer at legemidlet i anmodningen er sammenlignbart med flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre for den samme indikasjonen; [ID2019_130](#) (Iksekizumab), [ID2020_011](#) (Sekukinumab) og [ID2019_112](#) (Ustekinumab). Risankizumab vil imidlertid være den eneste IL-23-hemmeren for behandling av barn fra 6 års alder dersom legemidlet innføres i Norge.
- Leverandør mener at risankizumab er aktuell for å inngå i anbudet for «psoriasis hos barn og unge».
- Pasientgrunnlag: Risankizumab forventes ikke å øke det totale antallet behandlede pasienter med IL-hemmere i aldersgruppen, men ses som et alternativ til de øvrige. Anslår at 3–4 pasienter per år vil bli behandlet med risankizumab.
- Type helseøkonomisk analyse: Foreslår et prisnotat. Det er den eneste IL-23-hemmeren, samtidig vurderes risankizumab og øvrige aktuelle IL-hemmere som faglig likeverdige, og de forventes derfor å konkurrere på pris i anbud for pediatrik psoriasis.

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: 18.06.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	
1.2 Navn kontaktperson	Jeanette Lagerlund
1.3 Stilling kontaktperson	HEOR og HTA manager
1.4 Telefon	+46 76 834 23 01
1.5 E-post	jeanette.lagerlund@abbvie.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?	Risankizumab (RZB) er indicert for behandling av moderat til alvorlig plakkpsoriasis hos barn og ungdom fra 6 års alder som er kandidater for systemisk behandling.

<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>	
2.3 Handelsnavn	Skyrizi
2.4 Generisk navn/virkestoff	Risankizumab
2.5 ATC-kode	L04AC18
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingsslengde</i> <i>Skriv kort</i>	Anbefalt dose for pediatriske pasienter er basert på kroppsvekt og administreres som en subkutan injeksjon ved uke 0, uke 4 og deretter hver 12. uke. Anbefalt dose for pediatriske pasienter med moderat til alvorlig psoriasis basert på kroppsvekt: Kroppsvekt ved doseringstidspunkt <40 kg: 55 mg (gitt som én 55 mg ferdigfylt sprøyteinjeksjon) Kroppsvekt ved doseringstidspunkt ≥40 kg: 150 mg (gitt som to 75 mg ferdigfylte sprøyteinjeksjoner eller én 150 mg ferdigfylt penn eller ferdigfylt sprøyteinjeksjon)
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Risankizumab er et humanisert immunglobulin G1 (IgG1) monoklonalt antistoff som bindes til p19-subenheten av humant interleukin 23 (IL-23)-cytokin og hemmer dens interaksjon med IL-23-reseptorkomplekset.

3 Historikk – virkestoff og indikasjon	
3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?	Ja ☒ Nei ☐ ID-nummer:

Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder	ID2018_130 ID2021_095 ID2022_050 ID2023_102
3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon? Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder	Ja ☒ Nei ☐ ID-nummer: ID2019_112 ID2019_130 ID2020_111
3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng? Hvis ja, oppgi referanse	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? Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen	Ja ☒ Nei ☐ Dato for MT for første indikasjon: 26.04.2019
4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?	Ja ☒ Nei ☐
4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon? For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået) Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA. Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT	MT i Norge: Ja ☐ Nei ☒ Prosedyrenummer i EMA: X-0000296763 Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): 2026-04-23 Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): 2026-06-29 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: Risankizumab vil være den eneste IL-23-hemmeren for å behandle barn fra 6 års alder, dersom den innføres i Norge.
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: Iksekizumab ID2019_130 Sekukinumab ID2020_011 Ustekinumab ID2019_112
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja ☒ Nei ☐ Kommentar: Risankizumab er aktuell for å inngå i anbudet for «psoriasis hos barn og unge».

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:

Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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

Vi foreslår at det bestilles og utarbeides et prisnotat. Vurderingen tar utgangspunkt i at risankizumab vil bli en ny tilgjengelig MoA og første IL-23 for denne pasientgruppen. Samtidig som risankizumab og andre IL-hemmere anses som faglig likeverdig, og vil dermed konkurrere på pris i anbudet for pediatrik psoriasis.

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

Godkjent indikasjon

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.

Risankizumab har i en direkte sammenlignende studie (OptIMMize-1, NCT04435600) blitt sammenlignet med ustekinumab hos pediatriske pasienter med moderat til alvorlig plakkpsoriasis.

I studien har risankizumab høyere numeriske responsrater for de primære effektmålene PASI 75 og sPGA 0/1, og sekundære endepunkter PASI 90 og PASI 100, sammenlignet med ustekinumab. Risankizumab har også blitt sammenlignet med øvrige biologiske legemidler som er godkjent for behandling av barn og unge fra 6 års

	alder gjennom NMA. Analysen viser at risankizumab har høyere responsrate enn alle andre godkjente legemidler for PASI 75, PASI 90 og PASI 100. Resultatene er publisert på ClinicalTrials.gov OptIMMize-1, og som en poster.
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Vi forventer ingen økning i legemiddelbudsjett da det inngår i anbud, og antallet pasienter som behandles med IL-hemmere i norsk klinisk praksis er lavt (8 individer i 2024, se avsnitt 10.7).
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>	NMA-rapporten og posteren sendes separat till Sykehusinnkjøp. Vi oversender gjerne tilleggsdokumentasjon ved behov, men legger til grunn at den publiserte studien og NMAen er tilstrekkelig som dokumentasjon i denne sammenhengen. Dersom ytterligere informasjon skulle være nødvendig, forventer vi å kunne levere dette innen 30 dager etter bestilling, avhengig av hva forespørselen omfatter.

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>	Psoriasis er en kronisk hudsykdom som starter i barndommen i nesten en tredjedel av tilfellene. I sin vanligste form, plakkpsoriasis, kjennetegnes tilstanden av dannelse av røde, skjellende hudområder som utvikles som et resultat av immunmediert hyperproliferasjon av keratinocytter i overhuden. Kløe (pruritus) er et sentralt symptom ved plakkpsoriasis, og kan være mer uttalt hos barn med psoriasis enn hos voksne, og som følge av dette er søvnforstyrrelser og nedsatt daglig aktivitet vanlig. Mild til intens kløe, sårhet eller hudsensitivitet er vanlige symptomer ved spesielt ansiktspsoriasis, mens irritasjon og ømhet forårsaket av svette i hudfolder ofte er assosiert med invers psoriasis. Plakkene kan være smertefulle, og noen ganger føles det som om de brenner.
10.2 Fagområde	Velg fagområde fra menyen:

<i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Hudsykdommer
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>	Behandling av psoriasis består av lokal behandling av huden, som retter seg mot avskjelling og demping av inflammasjon. Systemisk behandling med metotreksat vurderes ved dårlig effekt av lokalbehandling, ved betydelig, utbredt psoriasis eller ved dokumentert redusert livskvalitet. Når metotreksat ikke har effekt eller tolereres, gis biologiske legemidler. Etanercept (≥ 6 år), adalimumab (≥ 4 år), secukinumab (<6 år), ustekinumab (≥ 6 år) og iksekizumab (>6 år), er godkjent til bruk på barn med psoriasis. Nyere forskning viser at tidlig behandling med IL-23 hemmere kan påvirke sykdomsforløpet positivt. «Hit hard and hit early» er et behandlingsprinsipp som utredes fremover. Siden det mangler IL-23-hemmere for aldersgruppen barn og unge, finnes det et udekket behov i pasientgruppen, der risankizumab utgjør et ytterligere behandlingsalternativ. Referanse: Norsk legemiddelhåndbok, revidert 12.01.2026. https://www.legemiddelhandboka.no/legacy/chapter/T16.4
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Psoriasis er en kronisk hudsykdom med spontane bedringer og forverringer. Varig remisjon er uvanlig, bortsett fra ved guttat psoriasis. Med dagens tilbud av biologiske legemidler mot psoriasis, er det en rimelig forventning at de verst påvirkede psoriasispatientene opplever en vesentlig reduksjon av sykdomsbelastningen. Psoriasis kan oppleves som svært stigmatiserende, men kun de færreste blir så hardt rammet at det går ut over deres arbeidsevne eller muligheter til å fungere i det daglige. Leddsymptomer og alvorlig hånd- og fotpsoriasis kan påvirke arbeidsevnen. Vi har imidlertid ingen tilgjengelig offentlig statistikk som viser hvor mange som er blitt

	uføretrygdet på grunn av psoriasis, men 15-20 % oppfyller kriteriene for alvorlig psoriasis, og har betydelig sykdomsbyrde og økt risiko for følgesykdommer og redusert livslengde. Nyere forskning viser at tidlig behandling med IL-23 hemmere kan påvirke sykdomsforløpet positivt. «Hit hard and hit early» er et behandlingsprinsipp som utredes fremover. Source: Text from Norsk legemiddelhåndbok, revidert 12.01.2026. (https://www.legemiddelhandboka.no/legacy/chapter/T16.4)
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Risankizumab forventes å få samme plassering i behandlingsalgoritmen som øvrige IL-hemmere. Risankizumab innebærer at behandling med en ytterligere virkningsmekanisme blir mulig, ettersom ingen annen IL-23-hemmer tidligere har vært tilgjengelig. Sammenlignet med behandlingsbredden for voksne pasienter finnes det få biologiske behandlinger som er godkjent for pasienter fra 6 års alder, og det er et behov for flere behandlingsalternativer.
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>	En registerstudie om PsO, basert på data fra NorPD, fant en prevalens i Norge på 3,8–4,6 % og en insidens på 0,29–0,25 % for perioden 2015 til 2020. I 2020 var det 8318 prevalente pasienter i alderen 5–19 år. For hele studiepopulasjonen mottok 3,9 % av pasientene biologisk behandling.¹ Ifølge anbudsrekkefølgen forventes biosimilare biologiske legemidler å benyttes først, og en liten andel av disse pasienter behandles med risankizumab. Ifølge data fra det norske pasientregisteret ble 8 individer med diagnosen PsO i alderen 6–17 år behandlet med IL-17-hemmere i 2024.² Risankizumab forventes ikke å øke det totale antallet behandlede pasienter med IL-hemmere i aldersgruppen, men ses som et alternativ til de øvrige.

	Antallet pasienter som vil bli behandlet med risankizumab er lavt, og anslås til 3–4 pasienter per år. Referanse: 1. Solberg SM. Psoriasis in Norway: A Prescription-based Registry Study of Incidence and Prevalence. Acta Derm Venereol. 2023 Apr 19;103:adv4591–adv4591. 2. Norsk patientregister (NPR), 2024. Abbvie Data on File.
--	---

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	OptIMMize-1, NCT04435600, https://clinicaltrials.gov/study/NCT04435600?term=OptIMMize-1&rank=1&tab=study	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.2 Studietype og -design	Fase 3, ustekinumab (UST) -kontrollert, effektvurderingsblindet studie med vektbasert dosering av risankizumab (RZB) hos ungdom (12 til <18 år) og barn (6 til <12 år). Studien bestod av fire deler, hvor ungdom deltok i del 1 og 2, og barn i del 3 og 4. Del 1: Dette var en åpen, sentinel kohort av ungdom med alvorlig sykdom. Deltakerne fikk PK-prøver de første 16 ukene. Doseringen ble bestemt basert på data fra voksne. Data fra de første 16 ukene påvirket doseringsregimet for del 2 hos ungdom og	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	initierte inkluderingen av barn i del 3. Del 2: En randomisert, effektvurderingsblindet kohort der RZB ble sammenlignet med UST hos ungdom med moderat til alvorlig sykdom. Studien hadde tre perioder: 16 uker behandling (periode A), deretter opptil 36 uker med randomisert behandling eller seponering (periode B) for RZB-respondere, etterfulgt av 16 uker gjenbehandling (periode C) ved sykdomsforverring. Ikke-respondere på RZB eller de som fikk UST i periode A fikk RZB til uke 40. Del 3: En åpen, sentinel kohort av barn med alvorlig sykdom med PK-prøver til uke 16. Barn fikk RZB basert på kroppsvekt ved uke 0, 4, 16, 28 og 40. PK-data til uke 16 la grunnlaget for doseringen i del 4. Inklusjon startet da del 1 ga data ved uke 16. Del 4: En 52-ukers åpen sikkerhetskohort av barn med moderat til alvorlig sykdom med administrering av legemiddel ved uke 0, 4, 16, 28 og 40. Inklusjon ble igangsatt av uke 16-dataene fra del		
--	--	--	--

11.3 Formål	Studien evaluerte farmakokinetikk, sikkerhet og effekt av risankizumab (RZB) hos deltakere i alderen 6 til <18 år med moderat til alvorlig plakkpsoriasis.	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>	Studien inkluderte pasienter i alderen 6–17 år med diagnostisert kronisk plakkpsoriasis i minst 6 måneder før baseline. Sykdomsalvorlighet ble definert som følger: Alvorlig sykdom (del 1 og 3): • Minst 20 % av kroppsoverflaten (BSA) affisert av psoriasis (PsO) med sPGA-score på 4; • ELLER minst 10 % BSA-affeksjon som inkluderer ansikts- eller genitalområder med sPGA-score på 4; • ELLER PASI ≥ 20 Moderat til alvorlig sykdom (del 2 og 4): • Minst 10 % BSA-affeksjon med sPGA-score på ≥ 3 eller PASI ≥ 12 Pasientene måtte være kandidater for systemisk behandling etter vurdering av utprøver og oppfylle sykdomsaktivitet ved både screening og baseline i henhold til protokoll. De måtte også være kandidater for behandling med UST i	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	henhold til lokal godkjenning.		
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	I del 1 mottok alle deltakerne 150 mg RZB subkutant ved uke 0, 4, 16, 28 og 40. I del 2, 3 og 4 var RZB-dosene basert på vekt og ble administrert ved uke 0, 4, 16 og deretter hver 12. uke.	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>	I del 2 mottok patienterna randomisert til UST subkutant UST basert på kroppsvekt: 0,75 mg/kg hvis <60 kg, 45 mg hvis 60 til <100 kg, 90 mg hvis ≥100 kg, administrert ved uke 0 og 4.	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>	De definerte co-primære endepunkter: Oppnåelse av PASI 75* (definert som minst 75 % forbedring fra baseline i PASI) ved uke 16 av initial behandling. Oppnåelse av sPGA "clear" eller "almost clear" (0 eller 1) ved uke 16 av initial behandling.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	Rangerte sekundære endepunkter: Oppnåelse av PASI 90 (definert som minst 90 % forbedring fra baseline i PASI) ved uke 16 av initial behandling. Oppnåelse av PASI 100 (definert som 100 % forbedring fra baseline i PASI) ved uke 16 av initial behandling. • Oppnåelse av sPGA "clear" eller "almost clear" (0 eller 1)		
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	- Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	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>	16 uker	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>	Studien er avsluttet.	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 publisasjon</i>	Magnolo, N., Lee, L., Reich, A., Lara-Corrales, I., Morita, A., Bukhalo, M., Paller, A. (2025, October 9–11). Efficacy and Safety of Risankizumab in Pediatric Patients With Psoriasis: Results From the OptIMMize-1 Phase 3 Study. PeDRA 2025. Minneapolis, USA: Poster 70096.	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 ☐ Omtrent 132 deltakere som fullførte OptIMMize-1 er blitt inkludert i en åpen forlengelsesstudie, OptIMMize-2, for å vurdere langtids sikkerhet og sykdomsaktivitet. OptIMMize-2 startet 24. juli 2021 og er estimert å bli fullført i april 2028 (forventet database-lås 5. mars 2029). (NCT04862286)
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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
------------------------------------	---

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Saksnummer 102-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2026_032 Klemastin (Clemastine Macure) til behandling av voksne og barn over 1 år:

- Som adjuvant behandling ved anafylaktisk eller anafylaktoid sjokk og angioødem.
- Til forebygging eller behandling av allergiske eller pseudoallergiske reaksjoner, for eksempel mot kontrastmiddel.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren som har markedsføringstillatelse (MT): Macure Healthcare Ltd.
- Anmodningen gjelder et nytt virkestoff.
- Markedsføringstillatelse (MT) i Norge for indikasjonen: 22.05.2026.
- Legemidlet har tidligere kun vært tilgjengelig som uregistrert legemiddel. Det nå registrerte klemastin forventes å erstatte bruken av uregistrert legemiddel.
- Plassering i behandlingsalgoritmen: antas å bli uendret.
- Leverandør skriver at Clemastine Macure er rettet mot den pasientgruppen som hittil har blitt behandlet med uregistrert intravenøs clemastin. Clemastin er et godt dokumentert og veletablert legemiddel, og legene har hatt fri tilgang til preparatet, selv om det kun har vært tilgjengelig som et uregistrert legemiddel.
- Pasientgrunnlag: leverandør estimerer 4.333 tilfeller per år basert på en eldre norsk undersøkelse av akutt allergi/anafylaks hvor insidens ble estimert til 77 per 100.000 personer pr. år. Den samlede populasjonen som omfatter denne indikasjonen er imidlertid bredere og dermed kan ikke leverandør estimere pasientgrunnlaget presist på bakgrunn av offentlige kilder ikke er tilgjengelig.
- Leverandør forventer at pasientpopulasjonen og forbruket vil forbli uendret med bakgrunn i at legemidlet er tidligere benyttet som uregistrert legemiddel.

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: 01.06.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Macure Healthcare Ltd.
1.2 Navn kontaktperson	Josefine Stokholm Neergaard
1.3 Stilling kontaktperson	Launch Manager
1.4 Telefon	+45 31 24 45 93
1.5 E-post	jsn@macurepharma.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?	Clemastine Macure er indisert hos voksne og barn over 1 år: Som adjuvant behandling ved anafylaktisk eller anafylaktoid sjokk og angioødem.

<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>	- Til forebygging eller behandling av allergiske eller pseudoallergiske reaksjoner, for eksempel mot kontrastmiddel. Clemastine Macure is indicated in adults and children over 1 year of age: - As adjunctive treatment in anaphylactic or anaphylactoid shock and angioedema. - For the prevention or treatment of allergic or pseudoallergic reactions, for example to contrast media.
2.3 Handelsnavn	Clemastine Macure
2.4 Generisk navn/virkestoff	Clemastine (klemastinfumarat)
2.5 ATC-kode	R06AA04
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingsslengde</i> <i>Skriv kort</i>	1mg/ml solution for injection (2 ml ampuller) Voksne: Dosering: Vanlig dose er 1 ampulle (= 2 mg/2 ml) administrert intravenøst eller intramuskulært om morgenen og kvelden. Profylakse: 1 ampulle (= 2 ml) administrert via langsom intravenøs injeksjon før mulig utbrudd av anafylaktisk sjokk eller grunnet histamininduserte reaksjoner. Pediatrisk populasjon: barn over 1 år: Dosering: 0,025 mg/kg administrert intramuskulært hver dag, fordelt på 2 injeksjoner. Legemidlet er kontraindisert hos barn under 1 års alder. Administrasjonsmåte: Til intravenøs eller intramuskulær bruk. Intravenøse injeksjoner skal administreres langsomt (2-3 minutter per ampulle). Ampulleoppløsningen kan fortynnes med isoton saltløsning eller en 5 % glukoseløsning i forholdet 1:5. Eldre

	Det finnes ingen holdepunkter for at eldre pasienter trenger en annen dose. Den anbefalte doseringen må ikke overskrides.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Respiratory system, antihistamines for systemic use, aminoalkyl ethers, clemastine, ATC code: R06AA04

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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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: 22.05.2026
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>	MT i Norge: Ja ☒ Nei ☐ Prosedyrenummer i EMA: NL/H/6351/001/DC

<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>	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: 22.05.2026
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: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et	Ja ☐ Nei ☒

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>	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: Der finnes ikke et eksisterende udbud for parenterale antihistaminer (ATC R06) i Norge. Præparatet har hidtil været anvendt via godkjenningfritak.

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: N/A

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 ☐ 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? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	N/A
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Clemastine Macure er målrettet den patientgruppe, der hidtil er blevet behandlet med uregistreret intravenøs clemastine.

	Clemastine er et veldokumenteret og veletableret lægemiddel, og lægerne har haft fri adgang til præparatet – selvom det kun har været tilgængeligt som et uregistreret lægemiddel. Macure forventer derfor, at både patientpopulationen og forbruget vil forblive uændret.
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>	N/A
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	N/A
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>	N/A

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>	Anafylaksi er en akut og potensielt livstruende systemisk hypersensitivitetsreaktion udløst af immunologiske eller ikke-immunologiske mekanismer, bl.a. ved lægemidler, kontrastmidler, insektstik og fødevarer. Indikationen omfatter anafylaktisk/anafylaktoid shock, angioødem samt allergiske og pseudoallergiske reaktioner. Clemastine Macure er indiceret hos voksne og børn over 1 år til følgende: Adjuvant behandling ved anafylaktisk eller anafylaktoid sjokk og angioødem. Til forebygging eller behandling av allergiske eller pseudoallergiske reaksjoner, for eksempel mot kontrastmiddel. Symptomer:

	De mest alvorlige symptomer skyldes kredsløbssvigt med hypotension, kapillærlækage og/eller nedsat pumpefunktion samt respiratoriske problemer som følge af larynxødem, bronkial obstruktion eller anden påvirkning af luftvejene. https://www.helsebiblioteket.no/innhold/retningslinjer/pediatric/akuttveileder-i-pediatric/6.anafylaktiske-reaksjoner-og-akutte-hudlidelser/6.1-anafylaksi https://metodebok.no/index.php?action=topic&item=yCgj2aY2 https://metodebok.no/index.php?action=topic&item=n7gksffS https://www.helsebiblioteket.no/innhold/retningslinjer/pediatric/akuttveileder-i-pediatric/6.anafylaktiske-reaksjoner-og-akutte-hudlidelser/6.2-akutt-urtikaria https://www.legeforeningen.no/contentassets/ede4275911c447979a93f42d1a04cbfd/norsk-veileder-i-praktisk-anafylaksihandtering.pdf https://pri.rn.dk/Sider/29838.aspx https://www.gentoftehospital.dk/DAAC/Documents/Behandlingsvejledning-DAAC-240216.pdf
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 krefdområde som er aktuelt</i>	Velg krefdområde fra menyen: Velg et element.
10.4 Dagens behandling <i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i>	Der findes ikke et registreret intravenøst alternativ i ATC-gruppe R06AA04. Hidtil har der været anvendt et uregistreret præparat til patienter med behov for intravenøs farmakologisk behandling. Det registrerede clemastine forventes at erstatte brugen af det uregistrerede præparat. Behandlingsalgoritmen forventes at forblive uændret efter introduktionen af Clemastine Macure.

10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Anafylaksi er en dynamisk og progredierende akut tilstand, som i værste fald kan udvikle sig fatalt i løbet af få minutter, hvis effektiv behandling ikke iværksættes hurtigt. Prognosen er generelt god, når tilstanden erkendes tidligt og behandles hurtigt. Prognosen ved brug af registreret og uregistreret clemastine vurderes som sammenlignelig. Derfor forventes prognosen ikke at ændre sig i forbindelse med, at Clemastine Macure erstatter den uregistrerede clemastine behandling. https://www.legeforeningen.no/contentassets/c44026d511a64bf7b6a212a36a69e431/norsk-veileder-i-praktisk-anafylaksihandtering-oppdatt-020714.pdf https://www.helsebiblioteket.no/innhold/retningslinjer/pediatric/akuttveileder-i-pediatric/6.anafylaktiske-reaksjoner-og-akutte-hudlidelser/6.1-anafylaksi https://metodebok.no/index.php?action=topic&item=n7gksffS
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Clemastine Macure erstatter brugen af uregistreret clemastine på det norske marked. Behandlingsalgoritmen forventes at forblive uændret, selvom der nu introduceres et registrert præparat.
10.7 Pasientgrunnlag <i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i>	Præcise norske data for patientgrundlaget er ikke offentligt tilgængeligt – men i en ældre norsk undersøgelse blev incidensen af akut allergi/anafylaksi estimeret til 77 pr. 100.000 personer pr. år, hvilket med Norges befolkning i 2026 på 5.627.400 svarer til ca. 4.333 tilfælde årligt.

Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen. * Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives	Den samlede patientpopulation, som er omfattet af indikationen, er imidlertid bredere end anafylaksi alene, idet indikationen også inkluderer angioødem samt allergiske eller pseudoallergiske reaktioner, eksempelvis i relation til kontrastmidler. Det er derfor mest korrekt at anføre, at det samlede norske patientgrundlag for den godkendte indikation ikke kan kvantificeres præcist på baggrund af offentlige kilder. Clemastine Macure forventes at erstatte den eksisterende anvendelse via godkjenning fritak, og patientpopulationen forventes at forblive uændret. https://www.legeforeningen.no/contentassets/c44026d511a64bf7b6a212a36a69e431/norsk-veileder-i-praktisk-anafylaksihandtering-oppdag-020714.pdf https://www.ssb.no/befolkning/faktaside/befolkningen https://www.helsebiblioteket.no/innhold/retningslinjer/pediatric/akuttveileder-i-pediatric/6.anafylaktiske-reaksjoner-og-akutte-hudlidelser/6.1-anafylaksi
---	---

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke	Hybrid application Art.10(3)	Hybrid application Art.10(3)	Hybrid application Art.10(3)
11.2 Studietype og -design	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	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>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	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>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	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>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	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>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	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>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	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>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	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>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	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>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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?	N/A
------------------------------------	-----

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Saksnummer 103-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2026_024 Filgotinib (Jyseleca) for behandling av:

- aktiv ikke-radiografisk aksial spondyloartritt (nr-axSpA) hos voksne med objektive tegn på inflammasjon, dokumentert ved forhøyet C-reaktivt protein (CRP) og/eller magnetisk resonanstomografi (MR), som har hatt utilstrekkelig respons på eller ikke tåler ikke-steroide antiinflammatoriske legemidler (NSAIDs).
- aktiv ankyloserende spondylitt (radiografisk aksial spondyloartritt) (r-axSpA) hos voksne som har hatt utilstrekkelig respons på eller ikke tåler konvensjonell behandling.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er leverandøren som søker markedsføringstillatelse (MT): Alfasigma Spa.
- Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse.
- Virkestoffet er tidligere metodevurdert og innført ([ID2020 005](#) og [ID2021 014](#)).
- Flere andre virkestoff er metodevurdert og innført til liknende indikasjoner. Se pkt. 3.2 i anmodningsskjema.
- Sammenlignbarhet: Leverandør skriver at de har foretatt en indirekte sammenligning (ITC) som støtter den sammenlignbare effekt- og sikkerhetsprofilen mellom Jyseleca og de andre legemidler som Nye metoder har besluttet å introdusere til samme indikasjon. Analyser er tilgjengelige for både TNF-naive og erfarne pasienter.
- Det er eksisterende anbud: 2606b TNF BIO.
- Plassering behandlingsalgoritme: forventer å ha en tilsvarende plassering som Xeljanz (tofacitinib), det vil si etter TNF-hemmere og før IL-17-hemmere.
- Pasientgrunnlag: Data om prevalensen av aksial spondyloartritt (axSpA) er begrenset, og det er ikke identifisert data for den samlede prevalensen av axSpA eller ikke-radiografisk axSpA (nr-axSpA) i EU5-landene. Prevalensen av radiografisk axSpA (r-axSpA) i EU5 varierer fra 8,8 til 37 per 10 000 innbyggere. Data spesifikt for Norge viser en prevalens på mellom 13,1 og 53,0 pasienter per 10 000 innbyggere.
- Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) i Norge for indikasjonen: Q4 2026.
- Forventet tidspunkt for levering av dokumentasjon: September 2026.
- Leverandør foreslår at prisnotat (med eller uten forenklet metodevurdering) er aktuelt for denne indikasjonen. Leverandør antar at en eventuell innføring av Jyseleca til denne indikasjonen ikke vil påvirke det totale antall pasienter som behandles. Jyseleca vil inngå i anbud og dermed eventuelt erstatte andre etablerte legemidler. Det antas derfor at en eventuell innføring av Jyseleca trolig ikke vil medføre budsjettvirkninger av betydning for spesialisthelsetjenesten.

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.

- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: 1 innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF) (vedlagt): 1 innspill (Norsk Revmatologisk Forening)

Innspill fra Helsedirektoratet:

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Ingen relevante nasjonale faglige retningslinjer kan påvirkes.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret plassert hos RHF-ene siden 01.04.2020.

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: 28.04.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Alfasigma Spa Company number 03432221202 Via Ragazzi del '99, 5 40133 Bologna Italy
1.2 Navn kontaktperson	Line de Linde Henriksen
1.3 Stilling kontaktperson	Nordic Lead
1.4 Telefon	+4526339168
1.5 E-post	Line.delindehenriksen@alfasigma.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?	Aksial spondyloartritt

<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>	Ikke-radiografisk aksial spondyloartritt (nr-axSpA) Jyseleca er indisert for behandling av aktiv ikke-radiografisk aksial spondyloartritt hos voksne pasienter med objektive tegn på inflammasjon, dokumentert ved forhøyet C-reaktivt protein (CRP) og/eller magnetisk resonanstomografi (MR), som har hatt utilstrekkelig respons på eller ikke tåler ikke-steroid antiinflammatoriske legemidler (NSAIDs). Ankyloserende spondylitt (AS, radiografisk aksial spondyloartritt (r-axSpA)) Jyseleca er indisert for behandling av aktiv ankyloserende spondylitt (radiografisk aksial spondyloartritt) hos voksne pasienter som har hatt utilstrekkelig respons på eller ikke tåler konvensjonell behandling. 28th of Jan 2026 Alfasigma SpA submitted a Type II variation to extend the indication of Jyseleca to the treatment of axial spondyloarthritis (nr-axSpA & AS r-xSpA) English: Axial spondyloarthritis Non-radiographic axial spondyloarthritis (nr-axSpA): Jyseleca is indicated for the treatment of active non-radiographic axial spondyloarthritis in adult patients with objective signs of inflammation as indicated by elevated C-reactive protein (CRP) and/or magnetic resonance imaging (MRI), who have responded inadequately or are intolerant to nonsteroidal anti-inflammatory drugs (NSAIDs). Ankylosing spondylitis (AS, radiographic axial spondyloarthritis (r-axSpA)): Jyseleca is indicated for the treatment of active ankylosing spondylitis (radiographic axial spondyloarthritis) in adult patients who have responded inadequately or are intolerant to conventional therapy.
2.3 Handelsnavn	Jyseleca
2.4 Generisk navn/virkestoff	Filgotinib
2.5 ATC-kode	L04AF04
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingsslengde</i> <i>Skriv kort</i>	1 stk 100mg eller 1 stk 200mg tablett peroralt en gang daglig til kronisk behandling. Anbefalt dose av filgotinib for voksne pasienter er 200 mg én gang daglig. Hos voksne med økt risiko for venøs tromboembolisme (VTE), alvorlige kardiovaskulære hendelser (MACE) og malignitet, som har oppnådd tilstrekkelig terapeutisk

	effekt under behandling med 200 mg én gang daglig, er anbefalt dose 100 mg én gang daglig og kan økes til 200 mg én gang daglig ved oppbluss. Ved langtidsbehandling skal laveste effektive dose benyttes.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	<i>Selektivt immunsuppressivt middel, JAK-hemmer.</i> <u>L04A F04 (Filgotinib)</u>

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: ID2020_005 (rheumatoid arthritis) ID2021_014 (ulcerative colitis)
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: ID2015_024 (secukinumab – AS/r-axspa) ID2019_120 (secukinumab – nr-axspa) ID2019_126 (ixekinumab – AS/r-axspa og nr-axspa) ID2020_081 og ID2022_134 (upadacitinib – AS/r-axspa og nr-axspa) ID2021_093 (tofacitinib – AS/r-axspa) ID2022_145 (bimezikumab – AS/r-axspa og nr-axspa)
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: EMA Type II variation ansøking sent 28. Jan 2026

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: 26.10 2020 RA
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>	MT i Norge: Ja ☐ Nei ☒ Prosedyrenummer i EMA: EMA/H/C/005113/II/XXX - C.6.a Type II variation EMA/VR/0000325892

<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>	
	Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): September 2026 Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Q4, 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	Ja ☒ Nei ☐

tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?	Kommentar:
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: Alfasigma har foretatt en indirekte sammenligning (ITC) som støtter den sammenlignbare effekt- og sikkerhetsprofilen mellom Jyseleca og de andre legemidler som Nye metoder har besluttet å introdusere til samme indikasjon. Analyser er tilgjengelige for både TNF-naive og erfarne pasienter. See section 3.2.
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja ☒ Nei ☐ Kommentar: 2606b TNF BIO

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: Jyseleca og andre avanserte behandlinger som er relevante for denne indikasjonen er inkludert i konfidensielle avtaler med SYKEHUSINNKJØP HF.
---	--

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 ☐ 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?	Det antas at en eventuell innføring av Jyseleca til denne indikasjonen ikke vil påvirke det totale antall pasienter som behandles. Jyseleca vil inngå i anbud og dermed eventuelt erstatte andre etablerte
--	--

<i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	legemidler. Det antas derfor at en eventuell innføring a Jyseleca trolig ikke vil medføre budsjettvirkninger av betydning for spesialisthelsetjenesten. Vi antar derfor at prisnotat (med eller uten en forenklete metodevurdering) er aktuelt for denne indikasjonen.
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 avklart. Pris er konfidensielle.
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>	At CHMP (September 2026)

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>	Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag Ankyloserende spondylitt (tidligere kalt Bekhterevs sykdom) er en kronisk antiinflammatorisk sykdom som hovedsakelig angriper bekkenet, ryggen, nakken og brystkassen, men også perifere ledd kan rammes. Betennelse i et av leddene nederst i ryggen med strukturforandringer påvist ved røntgen er et av diagnosekriteriene. Sykdommen kjennetegnes først og fremst ved morgenstivhet i ryggen og i mindre grad av smerter. Typisk er at smerter og stivhet bedres ved aktivitet, men ikke ved hvile. Sykdommen er hyppigst hos individer med genetisk disposisjon og debuterer vanligvis før 40 års alder. Tilstanden innebærer økt tilbøyelighet til inflammasjon på steder der sener,

	ligamenter eller leddkapsler fester til ben (entesitt). (3) Tilstanden er hyppigere hos menn enn hos kvinner. Prevalensen i europeisk befolkning er mellom 0,15 og 0,5% Aksial spondylartritt (axSpA) er en, kronisk, inflammatorisk artrittsykdom i vertebralcolumna (spondylitt) og iliosakralledd (sakroiliitt). Den debuterer oftest før 45 år alder og gir plager med kroniske ryggsmarter samt stivhet i rygg som lindres ved aktivitet. Andre muskel- og skjelettmanifestasjoner er artritt, entesitt og daktylitt. Fremre uveitt, inflammatorisk tarmlidelse og psoriasis kan opptre som ekstraartikulære manifestasjoner. Sykdomsgruppen er assosiert med HLA-B27 og pasienter med aktiv sykdom har ofte forhøyet akutfaserespons. Sykdomsårsaken er ukjent. AxSpA omfatter gruppen av pasienter hvor symptomer fra bekken/rygg/nakke dominerer, mens ved Perifer Spondyloartritt (pSpA) dominerer symptomer fra perifere ledd (artritt, entesitt, daktylitt). 4
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>	Current standard of care include options from the TNF inhibitors class (adalimumab, etanercept, certolizumab, golimumab), the IL-17 class (secukinumab, bimezikumab), and the JAK-inhibitor class (tofacitinib in radiographic axSpA only). It is worth noting that ixekizumab (IL-17) and upadacitinib (JAKi) have not been recommended in Norway. The recommendation of filgotinib would therefore offer a second option in radiographic axSpA and be the first option from the JAKi class to be available in non-radiographic axSpA. In current norwegian guidelines, tofacitinib (JAKi) is ranked before IL-17s. TNF BIO - Sykehusinnkjøp HF
10.5 Prognose	Despite the availability of advanced therapies (TNFi, IL-17i, JAKi), many patients fail to achieve sustained disease control:

Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse

- **Suboptimal response rates:** Only around 30–60% of patients reach ASAS40¹⁻⁴, ASAS20⁴⁻¹⁰, or BASDAI50¹¹⁻¹² responses within 3–24 months, and just 18–24% achieve ASDAS <1.3 remission, within this window¹³.
- **High discontinuation rates:** Approximately 33–50% of patients with axSpA discontinue advanced therapies within 2 to 4 years¹⁴⁻¹⁷.
- **High switching rates:** Treatment switching is also common, with around 7–27% of patients switching to another biologic often due to lack of efficacy or tolerability¹⁴, and the time to first switch is often short, occurring within just 5 to 8 months of initiating bDMARD therapy¹⁶.
- bDMARDs use is limited by:
 - Immunogenicity, leading to secondary loss of efficacy¹⁸.
 - Parenteral administration burdens and injection-site reactions, which may not be preferred by some patients¹⁹⁻²¹.
 - Limited suitability for certain EMMs, which complicates treatment selection and sequencing in clinical practice and often necessitate therapy changes even when axial symptoms are controlled²²⁻²³.

Additional effective treatment options are needed to manage the diverse clinical features of axSpA and to accommodate patients' individual preferences regarding route of administration and achievement of specific treatment targets.

1. Van Der Heijde, D., et al. Efficacy and safety of bimekizumab in axial spondyloarthritis: results of two parallel phase 3 randomised controlled trials. *Annals of the rheumatic diseases* **2023**, 82, 515-526.
2. van der Heijde, D., et al. Efficacy and safety of upadacitinib in patients with active ankylosing spondylitis (SELECT-AXIS 1): a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 2/3 trial. *Lancet* **2019**, 394, 2108-2117 <[https://doi.org/10.1016/s0140-6736\(19\)32534-6](https://doi.org/10.1016/s0140-6736(19)32534-6)>.
3. Deodhar, A., et al. Upadacitinib for the treatment of active non-radiographic axial spondyloarthritis (SELECT-AXIS 2): a randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial. *The Lancet* **2022**, 400, 369-379.
4. Ørnbjerg, L.M., et al. Treatment response and drug retention rates in 24 195 biologic-naïve patients with axial spondyloarthritis initiating TNFi treatment: routine care data from 12 registries in the EuroSpA collaboration. *Ann Rheum Dis* **2019**, 78, 1536-1544 <<https://doi.org/10.1136/annrheumdis-2019-215427>>.
5. van der Heijde, D., et al. Efficacy and safety of adalimumab in patients with ankylosing spondylitis: results of a multicenter, randomized, double-blind, placebo-controlled trial. *Arthritis Rheum* **2006**, 54, 2136-46 <<https://doi.org/10.1002/art.21913>>.
6. Deodhar, A., et al. Tofacitinib for the treatment of ankylosing spondylitis: a phase III, randomised, double-blind, placebo-controlled study. *Ann Rheum Dis* **2021**, 80, 1004-1013 <<https://doi.org/10.1136/annrheumdis-2020-219601>>.
7. Baeten, D., et al. Secukinumab, an Interleukin-17A Inhibitor, in Ankylosing Spondylitis. *N Engl J Med* **2015**, 373, 2534-48 <<https://doi.org/10.1056/NEJMoa1505066>>.
8. Kivitz, A., et al., *SECUKINUMAB REDUCES SIGNS AND SYMPTOMS OF ACTIVE ANKYLOSING SPONDYLITIS: RESULTS FROM A 16-WEEK, RANDOMIZED PLACEBO-CONTROLLED PHASE 3 TRIAL*, in *JCR-JOURNAL OF CLINICAL RHEUMATOLOGY*. 2016. LIPPINCOTT WILLIAMS & WILKINS TWO COMMERCE SQ, 2001 MARKET ST, PHILADELPHIA
9. 16-week Efficacy and 3-year Safety, Tolerability and Efficacy of Secukinumab in Active Ankylosing Spondylitis Patients (MEASURE 3). Identifier: NCT02008916. 2015. ClinicalTrials.gov. Available online: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04626297> (accessed on 13 Aug 2025).
10. Landewé, R., et al. Efficacy of certolizumab pegol on signs and symptoms of axial spondyloarthritis including ankylosing spondylitis: 24-week results of a double-blind randomised placebo-controlled Phase 3 study. *Ann Rheum Dis* **2014**, 73, 39-47 <<https://doi.org/10.1136/annrheumdis-2013-204231>>.
11. Navarro-Compán, V., et al. Switching biological disease-modifying antirheumatic drugs in patients with axial spondyloarthritis: results from a systematic literature review. *RMD Open* **2017**, 3, e000524 <<https://doi.org/10.1136/rmdopen-2017-000524>>.
12. Glinborg, B., et al. Ankylosing Spondylitis versus Nonradiographic Axial Spondyloarthritis: Comparison of Tumor Necrosis Factor Inhibitor Effectiveness and Effect of HLA-B27 Status. *An Observational Cohort Study*

	from the Nationwide DANBIO Registry. <i>J Rheumatol</i> 2017, 44, 59-69 <https://doi.org/10.3899/jrheum.160958>. 13. Doumeth, S.A., O. Pamuk, and M.N. Magrey, <i>Achieving ASDAS Inactive Disease Status in Axial Spondyloarthritis: A Systematic Review and Meta-analysis</i>, in <i>ARTHRITIS & RHEUMATOLOGY</i>. 2023. WILEY 111 RIVER ST, HOBOKEN 07030-5774, NJ USA. 14. Perrone, V., et al. Treatment Pattern Analysis and Health-care Resource Consumption on Patients with Psoriatic Arthritis or Ankylosing Spondylitis Treated with Biological Drugs in a Northern Italian Region. <i>Ther Clin Risk Manag</i> 2020, 16, 509-521 <https://doi.org/10.2147/tcrm.S248390>. 15. Pons, M., et al. Four-year secukinumab treatment outcomes in European real-world patients with axial spondyloarthritis and psoriatic arthritis. <i>Joint Bone Spine</i> 2025, 92, 105824. 16. Perrone, V., et al. Analysis of the prevalence of ankylosing spondylitis and treatment patterns and drug utilization among affected patients: an Italian real-world study. <i>Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res</i> 2022, 22, 327-333 <https://doi.org/10.1080/14737167.2022.2032663>. 17. Pinto, A.S., et al. Effectiveness and safety of original and biosimilar etanercept (Enbrel® vs Benepali®) in bDMARD-naïve patients in a real-world cohort of Portugal. <i>ARP Rheumatol</i> 2022, 1, 109-116. 18. Hiltunen, J., et al. Immunogenicity of subcutaneous TNF inhibitors and its clinical significance in real-life setting in patients with spondyloarthritis. <i>Rheumatol Int</i> 2022, 42, 1015-1025 <https://doi.org/10.1007/s00296-021-04955-8>. 19. Feng, H., et al. Adverse events of tumor necrosis factor alpha inhibitors for the treatment of ankylosing spondylitis: a meta-analysis of randomized, placebo-controlled trials. <i>Frontiers in Pharmacology</i> 2023, 14, 1084614. 20. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Upadacitinib for treating active ankylosing spondylitis. 30 September 2022. Accessed: 30 June 2025. Available at: https://www.nice.org.uk/guidance/ta829 21. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Tofacitinib for treating active ankylosing spondylitis. 8 October 2023. Accessed: 30 June 2025. Available at: https://www.nice.org.uk/guidance/ta920 22. Ramiro, S., et al. ASAS-EULAR recommendations for the management of axial spondyloarthritis: 2022 update. <i>Ann Rheum Dis</i> 2023, 82, 19-34 <https://doi.org/10.1136/ard-2022-223296>. 23. Zhao, S.S., et al. The 2025 British Society for Rheumatology guideline for the treatment of axial spondyloarthritis with biologic and targeted synthetic DMARDs. <i>Rheumatology</i> 2025, keaf089.
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Treatment algorithms are influenced by the existing ranking and confidential rebates provided in the context of the TNF BIO tenders. We expect to have a similar ranking as Xeljanz (tofacitinib), i.e. after TNF-inhibitors and before IL17s.
10.7 Pasientgrunnlag <i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i>	www.metodebok.no Data on axSpA prevalence is limited, with no data identified for the overall axSpA or nr-axSpA prevalence in the EU5. The prevalence of r-axSpA in EU5 ranged from 8.8 to 37 per 10,000 people¹⁻⁵. Data specific to Norway range from 13.1 to 53.0 patients for 10,000 people^{3,6-7}.

Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.

** Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives*

- Bohn, 2018³: 1986–1987, axSpA in Norway, prevalence of 53,0 per 10.000 people
- Bohn, 2018³: 1960–1993, r-axSpA in Norway: prevalence of 26,0 per 10.000 people
- Kerola, 2023⁶: 2017, axSpA in Norway: prevalence of 41.4 per 10.000 people
- Kerola, 2023⁶: 2017, r-axSpA in Norway: prevalence of 28.3 per 10.000 people:
- Kerola, 2023⁶: 2017, nr-axSpA in Norway: prevalence of 13.1 per 10.000 people:
- Dean, 2013⁷: r-axSpA in Norway: prevalence of 26,3 per 10.000 people

Data on the incidence of axSpA are sparse. Most of the identified data are outdated and limited to r-axSpA only^{2-3,8}. Only one study reported r-axSpA incidence in EU-4 or the UK, showing 0.54 per 10,000 person-year (PY) in the UK-based Clinical Practice Research Datalink database (1988–2017) among people with rheumatic and musculoskeletal diseases².

One systematic literature review (SLR) reported crude incidence rates of AS (also known as r-axSpA) recorded in Norway between 1960 and 1993 (0.73 per 10,000 PYs), in Albania between 1995 and 2010 (0.60 per 10,000 PYs), and annual incidence in Iceland between 1947 and 2005 (ranging from 0.04 to 0.55 per 10,000 persons)³.

In Denmark, an increasing trend in the number of r-axSpA cases over time was reported with 476 incident cases between 2000 and 2004 and 660 cases between 2010 and 2013⁸.

1. Perrone, V., et al. Analysis of the prevalence of ankylosing spondylitis and treatment patterns and drug utilization among affected patients: an Italian real-world study. *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res* **2022**, 22, 327-333 <<https://doi.org/10.1080/14737167.2022.2032663>>.
2. Crossfield, S.S.R., et al. Changes in ankylosing spondylitis incidence, prevalence and time to diagnosis over two decades. *RMD Open* **2021**, 7, <<https://doi.org/10.1136/rmdopen-2021-001888>>.
3. Bohn, R., et al. Incidence and prevalence of axial spondyloarthritis: methodologic challenges and gaps in the literature. *Clin Exp Rheumatol* **2018**, 36, 263-274.
4. Dean, L.E., et al. Global prevalence of ankylosing spondylitis. *Rheumatology (Oxford)* **2014**, 53, 650-7 <<https://doi.org/10.1093/rheumatology/ket387>>.
5. Quilis, N., et al. Prevalence of ankylosing spondylitis in Spain: EPISER2016 Study. *Scandinavian Journal of Rheumatology* **2020**, 49, 210-213.
6. Kerola, A., et al. Psoriatic arthritis, axial spondyloarthritis and rheumatoid arthritis in Norway: nationwide prevalence and use of biologic agents. *Scandinavian Journal of Rheumatology* **2023**, 52, 42-50.
7. Dean, L.E., et al. Global prevalence of ankylosing spondylitis. *Rheumatology* **2014**, 53, 650-657.
8. Nygaard, A., et al. Incidence of ankylosing spondylitis and spondyloarthritis in 2000–2013: a nationwide Danish cohort study. *Scandinavian journal of rheumatology* **2020**, 49, 21-27.

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier

	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID	TORTUGA (NCT03117270)	OLINGUITO Study A (NCT05785611)	OLINGUITO Study B (NCT05785611)
Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke	Study Details NCT03117270 A Study to Assess Efficacy and Safety of Filgotinib in Ankylosing Spondylitis ClinicalTrials.gov	Study Details NCT05785611 A Study Evaluating the Effect of Filgotinib in Participants With Active Axial	Study Details NCT05785611 A Study Evaluating the Effect of Filgotinib in Participants With Active Axial

		Spondyloarthritis ClinicalTrials.gov	Spondyloarthritis ClinicalTrials.gov
11.2 Studietype og -design	Multicenter, Phase 2, double-blind, placebo-controlled study in subjects with active Ankylosing Spondylitis (AS – radiographic AxSpA)	Multicenter, Phase 3, double-blind, placebo-controlled study in subjects with active Ankylosing Spondylitis (AS – radiographic AxSpA)	Multicenter, Phase 3, double-blind, placebo-controlled study in subjects with active non-radiographic AxSpA.
11.3 Formål	Evaluate the efficacy and safety of filgotinib in radiographic axSpA.	Evaluate the efficacy and safety of filgotinib in radiographic axSpA.	Evaluate the efficacy and safety of filgotinib in non-radiographic axSpA.
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	Key Inclusion Criteria: - Male or female subjects who are ≥18 years of age on the day of signing informed consent. - Diagnosis of moderate to severe ankylosing spondylitis with documented evidence of fulfilling the Modified New York (NY) criteria - Have active ankylosing spondylitis with a BASDAI ≥4 (numeric rating scale [NRS] 0-10) and spinal pain ≥4 (0-10 NRS) (based on BASDAI question 2, see protocol) at screening and baseline. - Have had a documented inadequate response to NSAIDs including cyclooxygenase-2 (COX-2) inhibitors. - If using cDMARD therapy, stable dose for at least 4 weeks prior to Baseline. - If using non-drug therapies (including physical therapies), these should be kept stable during screening. - Male and female subjects of childbearing potential who engage in heterosexual intercourse must agree to use highly effective methods of contraception as described in the protocol. Key Exclusion Criteria: - Use of JAK inhibitors, investigational or approved, at any time, including filgotinib; - Prior use of more than one TNF inhibitor, at any time. - Use of oral steroids at a dose >10	Key Inclusion Criteria: - Have an established diagnosis of axSpA by a rheumatologist (or other specialist with expertise in diagnosing axSpA). - Study A (r-axSpA): Meet Assessment of SpondyloArthritis International Society (ASAS) classification criteria with radiographic sacroiliitis on X-ray as follows: - History of back pain ≥12 weeks and age at onset of back pain <45 years, AND - Have radiographic bilateral grade 2-4 sacroiliitis or unilateral grade 3-4 sacroiliitis, based on New York grading system, confirmed by central reading, AND, - ≥1 spondyloarthritis (SpA) feature. - Have active axSpA at screening and Day 1 defined by: - Bath Ankylosing Spondylitis Disease Activity Index (BASDAI) ≥4 (numeric rating scale [NRS] 0-10), AND - Spinal pain score ≥4 (0-10 NRS) (based on BASDAI question 2), - Have a history of inadequate response to ≥2 NSAIDs at the maximum dose of NSAIDs used in axSpA for ≥2 weeks each (a total duration of NSAID trial ≥4 weeks) or intolerance to ≥2 NSAIDs for the treatment of	Key Inclusion Criteria: - Have an established diagnosis of axSpA by a rheumatologist (or other specialist with expertise in diagnosing axSpA). - Study A (r-axSpA): Meet Assessment of SpondyloArthritis International Society (ASAS) classification criteria with radiographic sacroiliitis on X-ray as follows: - History of back pain ≥12 weeks and age at onset of back pain <45 years, AND - No radiographic bilateral grade 2-4 sacroiliitis or unilateral grade 3-4 sacroiliitis, AND, - Presence of sacroiliitis on MRI (based on central reading) and at least 1 SpA feature or when positive for human leukocyte antigen (HLA)-B27: having at least 2 SpA features, AND - Have objective signs of inflammation, by sacroiliitis on MRI or elevated CRP. - Have active axSpA at screening and Day 1 defined by: - Bath Ankylosing Spondylitis Disease Activity Index (BASDAI) ≥4 (numeric rating scale

	mg/day of prednisone or prednisone equivalent or at a dose that hasn't been stable for at least 4 weeks prior to baseline; - Any therapy by intra-articular injections (e.g. corticosteroid, hyaluronate) within 4 weeks prior to screening; - Use of more than 1 NSAID or COX-2 inhibitor. - Contraindication to MRI. - History of known or suspected complete ankylosis of the spine. - Presence of very poor functional status or unable to perform self-care. - Have undergone surgical treatment for ankylosing spondylitis within the last 12 weeks prior to screening. - Administration of a live or attenuated vaccine within 12 weeks prior to baseline.	axSpA. - Participants who are biologic disease-modifying antirheumatic drug (bDMARD)(s) experienced; defined as below. - Participants designated as bDMARD(s)-inadequate responder(IR) must have received not more than 2 bDMARD(s), that was/were administered in accordance with its/their labeling and discontinued due to: - Participants designated as bDMARD(s) non-IR have previously received bDMARD(s) and have discontinued these due to other reasons than non-response or intolerance (e.g. economic reasons, treatment as part of a clinical study, other, or unknown). - If continuing conventional synthetic disease-modifying antirheumatic drugs (csDMARDs) during the study, participants are permitted to use only a maximum of 2 csDMARDs and must have been on this treatment for >=12 weeks prior to screening, with a stable dose and route of administration (defined as no change in prescription) for >4 weeks prior to Day 1. - For participants aged 65 years or above on the date of signing the informed consent form (ICF), the investigator should carefully consider if participation is in the best interest of the participant. Key Exclusion Criteria: - Prior exposure to a Janus kinase inhibitor, investigational or approved, at any time, including filgotinib. - Use of any opioid analgesic at average daily doses >30 mg/day of morphine (or equivalent) or use of unstable doses of any opioid analgesic <=2 weeks prior to Day 1. - Use of any of the following systemic immunomodulating therapies <= 4 weeks prior to Day 1, including, but not limited to: 6-mercaptopurine, azathioprine, cyclosporine or other calcineurin inhibitors (e.g. sirolimus, tacrolimus), methotrexate if being discontinued, mycophenolate, antimalarials (e.g. hydroxychloroquine, chloroquine) if being discontinued, or sulfasalazine if being discontinued. - Complete spinal ankylosis defined as the presence of consecutive bridging syndesmophytes in >=5 segments on the lateral radiograph (assessed by the central reader). - Have undergone surgical treatments for peripheral manifestation of axSpA, including synovectomy or arthroplasty, or	[NRS] 0-10), AND - Spinal pain score >=4 (0-10 NRS) (based on BASDAI question 2), - Have a history of inadequate response to >=2 NSAIDs at the maximum dose of NSAIDs used in axSpA for >=2 weeks each (a total duration of NSAID trial >=4 weeks) or intolerance to >=2 NSAIDs for the treatment of axSpA. - Participants who are biologic disease-modifying antirheumatic drug (bDMARD)(s) experienced; defined as below. - Participants designated as bDMARD(s)-inadequate responder(IR) must have received not more than 2 bDMARD(s), that was/were administered in accordance with its/their labeling and discontinued due to: - Participants designated as bDMARD(s) non-IR have previously received bDMARD(s) and have discontinued these due to other reasons than non-response or intolerance (e.g. economic reasons, treatment as part of a clinical study, other, or unknown). - If continuing conventional synthetic disease-modifying antirheumatic drugs (csDMARDs) during the study, participants are permitted to use only a maximum of 2 csDMARDs and must have been on this treatment for >=12 weeks prior to screening, with a stable dose and route of administration (defined as no change in prescription) for >4 weeks prior to Day 1. - For participants aged 65 years or above on the date of signing the informed consent form (ICF), the investigator should carefully consider if participation is in the best interest of the participant. Key Exclusion Criteria: - Prior exposure to a Janus kinase inhibitor, investigational or approved, at any time, including filgotinib. - Use of any opioid analgesic at average daily doses >30 mg/day of morphine (or equivalent) or use of unstable doses of any opioid analgesic <=2 weeks prior to Day 1. - Use of any of the following systemic immunomodulating therapies <= 4 weeks prior to Day 1, including, but not limited to: 6-mercaptopurine, azathioprine, cyclosporine or other calcineurin inhibitors (e.g. sirolimus, tacrolimus), methotrexate if being discontinued, mycophenolate, antimalarials (e.g. hydroxychloroquine, chloroquine) if being discontinued, or sulfasalazine if
--	--	--	--

		major surgery (requiring regional block or general anesthesia) <=12 weeks prior to Day 1 or planned major surgery during the study. - Have a diagnosis of any generalized musculoskeletal disorder, e.g. generalized osteoarthritis, or systemic inflammatory condition other than axSpA. - Have active Crohn's disease (CD) or active ulcerative colitis (UC). Note: participants may be enrolled if they have had a history of inflammatory bowel disease (IBD), including CD and UC, but have had no exacerbation within 6 months prior to Day 1, and, if currently on treatment, must be on stable treatment for >=6 months prior to Day 1 and this treatment should be allowed per protocol. - Active autoimmune disease that would interfere with assessment of study parameters or increase risk to the participant by participating in the study (e.g. uncontrolled uveitis, uncontrolled thyroiditis, transverse myelitis, current peptic ulcer disease or prior history of severe diverticulitis [i.e. requiring hospitalization] or previous gastrointestinal perforation), per judgment of investigator, - History of opportunistic infection, or immunodeficiency syndrome, which would put the participant at risk, as per investigator judgment, - Active infection that is clinically significant, as per judgment of the investigator, or history of a serious infection (requiring hospitalization or systemic antibiotics) within 12 weeks prior to screening. - Participant has a history of malignancy or myelo- or lymphoproliferative disorder, including non-melanoma skin cancer (NMSC), excised and curatively treated non-metastatic basal cell carcinoma, squamous cell carcinoma of the skin, or in situ uterine cervical carcinoma within the past 5 years prior to screening. - Participant has any other condition for which, in the opinion of the investigator, participation would not be in the best interest of the participant (e.g. compromise the well-being) or that could prevent, limit, or confound the protocol-specified assessments. For participants at increased risk of major cardiovascular problems (such as heart attack or stroke), those who smoke or have done so for a long time in the past (>10 pack-years) and those at increased risk of cancer, the investigator should carefully consider if participation is in the best interest of the participant.	being discontinued. - Complete spinal ankylosis defined as the presence of consecutive bridging syndesmophytes in >=5 segments on the lateral radiograph (assessed by the central reader). - Have undergone surgical treatments for peripheral manifestation of axSpA, including synovectomy or arthroplasty, or major surgery (requiring regional block or general anesthesia) <=12 weeks prior to Day 1 or planned major surgery during the study. - Have a diagnosis of any generalized musculoskeletal disorder, e.g. generalized osteoarthritis, or systemic inflammatory condition other than axSpA. - Have active Crohn's disease (CD) or active ulcerative colitis (UC). Note: participants may be enrolled if they have had a history of inflammatory bowel disease (IBD), including CD and UC, but have had no exacerbation within 6 months prior to Day 1, and, if currently on treatment, must be on stable treatment for >=6 months prior to Day 1 and this treatment should be allowed per protocol. - Active autoimmune disease that would interfere with assessment of study parameters or increase risk to the participant by participating in the study (e.g. uncontrolled uveitis, uncontrolled thyroiditis, transverse myelitis, current peptic ulcer disease or prior history of severe diverticulitis [i.e. requiring hospitalization] or previous gastrointestinal perforation), per judgment of investigator, - History of opportunistic infection, or immunodeficiency syndrome, which would put the participant at risk, as per investigator judgment, - Active infection that is clinically significant, as per judgment of the investigator, or history of a serious infection (requiring hospitalization or systemic antibiotics) within 12 weeks prior to screening. - Participant has a history of malignancy or myelo- or lymphoproliferative disorder, including non-melanoma skin cancer (NMSC), excised and curatively treated non-metastatic basal cell carcinoma, squamous cell carcinoma of the skin, or in situ uterine cervical carcinoma within the past 5 years prior to screening. - Participant has any other condition for which, in the opinion of the investigator, participation would not be in the best interest of the participant (e.g. compromise the well-being) or that could prevent, limit, or confound the protocol-specified
--	--	---	---

		- Contraindication to magnetic resonance imaging (MRI).	assessments. For participants at increased risk of major cardiovascular problems (such as heart attack or stroke), those who smoke or have done so for a long time in the past (>10 pack-years) and those at increased risk of cancer, the investigator should carefully consider if participation is in the best interest of the participant. - Contraindication to magnetic resonance imaging (MRI).
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Filgotinib 200mg daily vs placebo (double-blind) for 12 weeks.	Filgotinib 200mg daily or placebo (double-blind) until week 16, then open-label filgotinib 200mg or 100mg until week 234	Filgotinib 200mg daily or placebo (double-blind) until week 16, then open-label filgotinib 200mg or 100mg until week 234
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Placebo for 12 weeks	Placebo for 16 weeks	Placebo for 16 weeks
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Primary endpoint - Change from Baseline (CFB) in ASDAS-CRP at week 12 Secondary endpoints (all at week 12) - ASAS response - CFB in severity of peripheral arthritis by TJC44 and SJC44 in subjects with at least one affected joint at baseline - CFB in BASDAI - CFB in BASFI - CFB in BASMI (linear score) - CFB in SPARCC MRI score of sacroiliac joints - CFB in MASES - CFB in FACIT-Fatigue - CFB in SF-36 score - CFB in ASQoL - Frequency and severity of TEAEs	Primary endpoint - Achieving ASAS40 response at week 16 Secondary endpoints (at week 16) - Change from Baseline (CFB) in ASDAS-CRP - CFB in SPARCC MRI score of sacroiliac joints - CFB in BASFI - CFB in ASQoL - CFB in BASMI (linear score) - Other efficacy endpoints - Achieving ASAS20 response - Achieving ASDASCRP <2.1 - Achieving Inactive disease (ASDAS-CRP <1.3) - Achieving BASDAI50 response - CFB in ASDAS-CRPΔ - CFB in BASDAI - CFB in morning stiffness - CFB in SPARCC MRI score of spine - CFB in chest expansion - CFB in MASES - CFB in ASAS-HI - CFB in SF-36 score - CFB in FACIT-Fatigue - CFB in MOS-Sleep	Primary endpoint - Achieving ASAS40 response at week 16 Secondary endpoints (at week 16) - Change from Baseline (CFB) in ASDAS-CRP - CFB in SPARCC MRI score of sacroiliac joints - CFB in BASFI - CFB in ASQoL - CFB in BASMI (linear score) - Other efficacy endpoints - Achieving ASAS20 response - Achieving ASDASCRP <2.1 - Achieving Inactive disease (ASDAS-CRP <1.3) - Achieving BASDAI50 response - CFB in ASDAS-CRPΔ - CFB in BASDAI - CFB in morning stiffness - CFB in SPARCC MRI score of spine - CFB in chest expansion - CFB in MASES - CFB in ASAS-HI - CFB in SF-36 score - CFB in FACIT-Fatigue - CFB in MOS-Sleep

		- CFB in WPAI-axSpA - CFB in PGA of Disease - CFB in severity of peripheral arthritis by TJC44 and SJC44 in subjects with at least one affected joint at baseline - CFB in CANDEN MRI Score (spine) - CFB in mSASSS - Pharmacokinetics - Pharmacodynamic Safety endpoints - Frequency and severity of TEAEs - Frequency and severity of treatment-emergent SAEs - Frequency and severity of TEAEs leading to treatment discontinuation	- CFB in WPAI-axSpA - CFB in PGA of Disease - CFB in severity of peripheral arthritis by TJC44 and SJC44 in subjects with at least one affected joint at baseline - CFB in CANDEN MRI Score (spine) - CFB in mSASSS - Pharmacokinetics - Pharmacodynamic Safety endpoints - Frequency and severity of TEAEs - Frequency and severity of treatment-emergent SAEs - Frequency and severity of TEAEs leading to treatment discontinuation
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	None	Per sex (male/female), age, risk factor, race, region, BMI, duration of disease since first symptoms, disease activity (ASDASCRP level at baseline), hs-CRP level at screening, use of prior bDMARD(s), use of prior csDMARD(s).	Per sex (male/female), age, risk factor, race, region, BMI, duration of disease since first symptoms, disease activity (ASDASCRP level at baseline), hs-CRP level at screening, use of prior bDMARD(s), use of prior csDMARD(s), disease phenotype (MRI, HLA-B27), inflammation based on SIJ/CRP.
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 weeks data	Open-label filgotinib 200mg or 100mg until week 234. Data at 52 weeks already available and to be submitted to the DMP.	Open-label filgotinib 200mg or 100mg until week 234. Data at 52 weeks already available and to be submitted to the DMP.
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Study concluded.	Ongoing study. 52 weeks data cut-off available. Future data cut-off planned at 104 weeks.	Ongoing study. 52 weeks data cut-off available. Future data cut-off planned at 104 weeks.

11.11 Publikasjoner			
<i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Efficacy and safety of filgotinib, a selective Janus kinase 1 inhibitor, in patients with active ankylosing spondylitis (TORTUGA): results from a randomised, placebo-controlled, phase 2 trial. Van Der Heijde D. et al. Lancet. 2018 Impact of filgotinib on sacroiliac joint magnetic resonance imaging structural lesions at 12 weeks in patients with active ankylosing spondylitis (TORTUGA trial). Maksymowych WP et al. Rheumatology (Oxford). 2022 Filgotinib decreases both vertebral body and posterolateral spine inflammation in ankylosing spondylitis: results from the TORTUGA trial. Maksymowych WP et al. Rheumatology (Oxford). 2022	Primary manuscript in development. 52 weeks data publication expected Q3 2026. 104 week data publication expected 2027.	Primary manuscript in development. 52 weeks data publication expected Q3 2026. 104 week data publication expected 2027.

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>	A phase 4 study is in the design stage. Expected 2027.
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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan	Ja ☐ Nei ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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	
14.3 Andre relevante opplysninger?	1) 1. Jyseleca, Preparatomtale.Oppdatert 29.04.2020. Hentet fra https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/jyseleca 3) Ankyloserende spondylitt. Norsk elektronisk legehåndbok. Hentet 20.08.2020 fra https://legehandboka.no/handboken/kliniskekapitler/revmatologi/tilstander-og-sykdommer/artritter/ankyloserende-spo 4) Metodebok

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_024

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	TNFi, IL-17 hemmere (IL-17i) og JAK-inhibitorer (JAKi) har indikasjon ved axSpA. TNFi bør være komparator i eventuell metodevurdering ID2026_024 (Filgotinib) supplerer terapeutiske opsjoner i behandlingen av aksial spondyloartritt
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Filgotinib anses som et nyttig alternativ i behandlingsalgoritme ved aksial spondyloartritt. Preparatet er ikke første valg, men kan tas i betrakning ved behandlingssvikt av TNFi eller IL-17 A eller IL-12/23 inhibitorer Filgotinib anses som et nisse preparat, anses som 3. valg i behandlingsalgoritme
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Nei

4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Det vises til advarsel fra bl.a. EMA grunnet trombose- og kreftisiko ved bruk av JAK inhibitorer. Vider forskning anmodes.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Ikke aktuelt

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Ikke relevant

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	Stavanger Universitetssjukehus
Avdeling	Revamtologisk avdeling
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Klaus Wildhagen, spesialist i indremedisin og revmatologi
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Innspill til Nye metoder fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_024 Filgotinib (Jyseleca)

For behandling av aktiv ikke-radiografisk aksial spondyloartritt (nr-axSpA) hos voksne med objektive tegn på inflammasjon, dokumentert ved forhøyet C-reaktivt protein (CRP) og/eller magnetisk resonanstomografi (MR), som har hatt utilstrekkelig respons på eller ikke tåler ikke-steroid antiinflammatoriske legemidler (NSAIDs).

-For behandling av aktiv ankyloserende spondylitt (radiografisk aksial spondyloartritt) (r-axSpA) hos voksne som har hatt utilstrekkelig respons på eller ikke tåler konvensjonell behandling.

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Viser til metodebok for Norsk Revmatologisk forening angående spondyloartritt Metodebok Etablert behandling for denne pasientgruppen er trening, NSAIDs, biologiske legemidler og Jak-hemmer. Biologiske legemidler og JAK-hemmer vurderes hos pasienter med vedvarende høy sykdomsaktivitet uten effekt av ikke-medikamentelle tiltak og NSAIDs. Valgt av biologisk legemiddel eller JAK-hemmer tar utgangspunkt i rangeringen i LIS-anbudet for TNF/BIO. Den aktuelle metoden under vurdering (filgotinib) er en JAK-hemmer, og det er naturlig å sammenlikne den med de biologiske legemidlene og JAK-hemmerne som brukes allerede. TNF-hemmer er vanligvis førstevalg ved aksial

	spondylartritt. Dette basert på på omfattende publisert forskning og bred klinisk erfaring. TNFi er derfor naturlige å sammenlikne med, og spesielt adalimumab er ofte brukt som komparator.
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	For denne pasientgruppen er det etablert bruk av medikamentell behandling med god effekt og akseptabel sikkerhetsprofil. Det er imidlertid klinisk behov for flere behandlingsalternativer blant annet ved følgende situasjoner: 1. Ikke tilfredsstillende behandlingsrespons på de andre aktuelle medikamentene. 2. Medikamentreaksjoner på de andre aktuelle medikamentene. 3. Ønske om peroral behandling for pasienter som ikke klarer eller ønsker å bruke subkutan eller intravenøs behandling. 4. Ønske om medikament med kort halveringstid ved infeksjonstendens. 5. En andel av pasientene med aksial spondylartritt har samtidig inflammatorisk tarmsykdom. Det er kun noen av legemidlene for aksial spondylartritt som også har indikasjon for inflammatorisk tarmsykdom, men det har altså filgotinib. Filgotinib er en JAK-hemmer, og det er bare ett annet av legemidlene som er tilgjengelig for spondyloartritt nå som har denne virkningsmekanismen. Der vil være nyttig med flere behandlingsalternativer ved valg av JAK-hemmer.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Aktuell pasientpopulasjon er den samme som er aktuell for øvrige biologiske og JAK-hemmere ved aksial spondyloartritt. Prevalens aksial spondyloartritt antas i Norge å være 0.5-1%, hvorav ca 30% er aktuelle for biologisk medikasjon eller JAK-hemmer. Vanligvis starter pasienter med TNFi men 15-20 % manglende eller avtagende effekt, og disse er aktuelle for JAK-hemmer.

4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Vi har ikke like gode langtidsdata for JAK-hemmer som TNFi og IL-17i, og viser til sikkerhetsinformasjon for JAK-hemmere: Janus kinase inhibitors (JAKi) - referral European Medicines Agency (EMA)
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Gunnstein Bakland: Speakers fee Abbvie, Johnson& Johnson

Hilde Stray: Ingen aktuelle interessekonflikter

Inger Jorid Berg: Ingen aktuelle interessekonflikter

7. Avsender av faglig innspill

Fagmedisinsk forening	Norsk Revmatologisk Forening
Navn, stilling og arbeidsplass	Gunnstein Bakland, overlege, revmatolog Revmatologisk avdeling, UNN Hilde Stray, overlege, revmatolog, Haugesund Revmatismesykehus Inger Jorid Berg, overlege revmatog, Revmatologisk avdeling, Diakonhjemmet sykehus
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒

Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒
---	-------------------------------------

Saksnummer 104-26 Oppsummering fra sekretariatet

Tre anmodninger med Serplulimab (Hetronifly):

- ID2026_037 Serplulimab (Hetronifly) i kombinasjon med karboplatin og pemetreksed er indisert til førstelinjebehandling av voksne pasienter med ikke-plateepitel- ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) uten EGFR-, ALK- eller -positive mutasjoner, som har lokalavansert NSCLC som ikke er kandidater for kirurgi eller radioterapi, eller metastatisk NSCLC.
- ID2026_038 Serplulimab (Hetronifly) i kombinasjon med fluoropyrimidin- og platinabasert kjemoterapi er indisert til førstelinjebehandling av voksne pasienter med ikke-resekterbart, lokalavansert, residiverende eller metastatisk øsofagealt plateepitelkarsinom (OSCC) med tumorer som uttrykker PD-L1 med en CPS $\geq$ 5.
- ID2026_039 Serplulimab (Hetronifly) i kombinasjon med karboplatin og nab-paklitaxel er indisert til førstelinjebehandling av voksne pasienter med ikke-resekterbart, lokalavansert eller metastatisk ikke-småcellet plateepitelkarsinom i lungene (plateepitel-NSCLC).

Kort om metodene fra anmodningen(e):

- Den som anmoder om vurdering, er Pharmalex Cencora på vegner av Accord Healthcare AB
- Anmodningen(e) gjelder flere indikasjonsutvidelser/metoder.
- Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme: PD-L1-hemmer.
- Nye metoder har tidligere innført ID2024_076 Serplulimab (Hetronifly) i kombinasjon med etoposid og karboplatin til førstelinjebehandling av voksne med utbredt småcellet lungekreft.
- Kommentar til anbud: Onkologianbudet.

Notat fra Sykehusinnkjøp HF (vedlagt)

- Leverandøren har i august 2026 registrert legemidlet i ordningen «Forenklet vurdering av PD-(L)1 legemidler».
- Det foreligger markedsføringstillatelse for disse tre indikasjonsutvidelsene.

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: 25.06.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Accord Healthcare AB
1.2 Navn kontaktperson	Tomas Hallafors
1.3 Stilling kontaktperson	Commercial Project and Market Access Manager Speciality Products Scandinavia
1.4 Telefon	+46 0706940717
1.5 E-post	Tomas_Hallafors@accord-healthcare.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Jakob Andreassen / Pharmalex Cencora
1.7 Telefon og e-post	Jakob.andreassen@cencora.com - +45 44 12 74 13

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?	1. Ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) HETRONIFLY i kombinasjon med karboplatin og pemetreksed er indisert til førstelinjebehandling

<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>	av voksne pasienter med ikke-plateepitel-NSCLC uten EGFR-, ALK- eller -positive mutasjoner, som har - lokalavansert NSCLC som ikke er kandidater for kirurgi eller radioterapi, eller - metastatisk NSCLC. 2. <u>Øsofagealt plateepitelkarsinom (OSCC)</u> HETRONIFLY i kombinasjon med fluoropyrimidin- og platinabasert kjemoterapi er indisert til førstelinjebehandling av voksne pasienter med ikke-resekterbart, lokalavansert, residiverende eller metastatisk øsofagealt plateepitelkarsinom med tumorer som uttrykker PD-L1 med en CPS ≥ Pending EC decision: 3. HETRONIFLY i kombinasjon med karboplatin og nab-paklitaksel er indisert til førstelinjebehandling av voksne pasienter med ikke-resekterbart, lokalavansert eller metastatisk ikke-småcellet plateepitelkarsinom i lungene (plateepitel-NSCLC). We are applying for the reimbursement of Hetronifly (Serplulimab) for all the above indications.
2.3 Handelsnavn	Hetronifly
2.4 Generisk navn/virkestoff	Serplulimab
2.5 ATC-kode	L01FF12
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingslengde</i> <i>Skriv kort</i>	Serplulimab is administered intravenously. The initial infusion rate should be set up to 100 mL per hour. If the first infusion is well tolerated, all subsequent infusions may be shortened to 30 minutes (± 10 minutes). Serplulimab must not be administered as an IV push or bolus injection. The total serplulimab dose required can be diluted with a sodium chloride 9 mg/mL (0.9%) solution for injection. When administered in combination with ChT, serplulimab should be given first, followed by ChT on the same day. Use separate infusion bags for each infusion. The recommended dose is 4.5 mg/kg every 3 weeks until disease progression or unacceptable toxicity. Dose escalation or reduction of serplulimab is not recommended. Dose withholding or discontinuation may be required based on individual safety and tolerability. Dose withholding for up to 12 weeks for tolerability is acceptable.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme.	Pharmacotherapeutic group: antineoplastic agents, monoclonal antibodies and antibody drug conjugates,

<i>Skriv kort</i>	PD-1/PD-L1 (Programmed cell death-1/death ligand 1) inhibitors ATC code: L01FF12. Therapeutic area: see example below Small Cell Lung Carcinoma. Serplulimab is a humanized monoclonal IgG4 antibody, which binds to the PD-1 receptor and blocks its interaction with ligands PD-L1 and programmed cell death-ligand 2 (PD-L2). The PD-1 receptor is a negative regulator of T-cell activity that has been shown to be involved in the control of T-cell immune responses. Engagement of PD-1 with the ligands PD-L1 and PD-L2, which are expressed in 16 antigen presenting cells and may be expressed by tumours or other cells in the tumour microenvironment, results in inhibition of T-cell proliferation and cytokine secretion. Serplulimab potentiates T-cell responses, including anti-tumour responses, through the blockade of PD-1 binding to PD-L1 and PD-L2.
--------------------------	--

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_076
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: 1st line treatment nsNSCLC (metastatic or unresectable) Atezolizumab (Tecentriq): ID2019_036 Cemiplimab (Libtayo): ID2021_007 Pembrolizumab (Keytruda): ID2016_067 Tislelizumab (Tevimbra): ID2022_127 Durvalumab (Imfinzi): ID2018_022 1st line treatment of squamous NSCLC (metastatic or unresectable) Pembrolizumab (Keytruda): ID2018_125 Tislelizumab (Tevimbra): ID2022_151 Ipilimumab (Yervoy) og Nivolumab (Opdivo): ID2023_005 Nivolumab (Opdivo): ID2016_075 Oesophageal squamous cell carcinoma (OSCC): Tislelizumab (Tevimbra): ID2024_081

	Nivolumab (Opdivo): ID2020_026
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: 02.03.2025
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: Nsq NSCLC, OSCC: EU/1/24/1870 On the market from 15.6.2026 Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Sq NSCLC: Positive opinion 21-05-2026 Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Sq NSCLC: End of June 2026 Hvis metoden har MT: Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: 30.04.2026
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: 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: Onkologitender start 1:a okt 2026. Nr 2607

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: This assessment could be a candidate for the fast-track procedure for PD-(L)1 inhibitors, "Forenklet vurdering av PD-(L)1 legemidler"
---	--

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

Given the therapeutic comparability of PD-(L)1 inhibitors, in terms of effectiveness in within this indication, we propose a simplified health economic evaluation process based on cost-minimization analysis (CMA) versus atezolizumab (and potentially durvalumab) or Budget impact model (BIM), i.e., “forenklet metodevurdering (løp A)” as was decided previously by DMP in the assessment of the PD-(L)1 inhibitor Tislelizumab (ID2022_127)

https://www.nyemetoder.no/4a6aac/siteassets/documents/forslag/id2022_127-tislelizumab-nsclc-metodevarsel.pdf

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

The population of interest in this analysis are the patients with nsNSCLC, squamous NSCLC and OSCC, aligned with the study population in ASTRUM-002, ASTRUM-004 and ASTRUM-007 respectively.

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT03952403>
<https://clinicaltrials.gov/study/NCT04033354>
<https://clinicaltrials.gov/study/NCT03958890>

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.

Relative efficacy of serplulimab (HLX10) is documented in:

Astrum-002:

- serplulimab + chemotherapy + HLX04 placebo (the approved indication) vs.
- serplulimab in combination with HLX04 (bevacizumab) and chemotherapy vs.
- chemotherapy + serplulimab placebo + HLX04 placebo

Astrum-004:

Serplulimab in combination with chemotherapy compared to chemotherapy in combination with HLX10 placebo

	Astrum-007: Serplulimab in combination with chemotherapy compared to chemotherapy and HLX10 placebo
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	As in the metodevurdering for Tislelizumab (ID2022_127) for nsNSCLC and squamous NSCLC (ID2022_151), a price note was published 12. August 2024 where the budget consequences were not calculated. Similarly for Tislelizumab (ID2024_081) for OSCC where a price note was published 20. December 2024, where budget impact was also not calculated. NSCLC: There is a big uncertainty in how many patients would be eligible for these indications. As for Tislelizumab for the indications of nsNSCLC and squamous NSCLC, the patient population was estimated to be around 650. In the pricenote published the 12. August 2024 for nsNSCLC and squamous NSCLC, no significant budgetary consequences are expected since most of the expected patients are likely offered a treatment with PD(L1) drug already. OSCC: The patient population in question is not calculated in the pricenote published the 20. December 2024 for OSCC indication, however no expansion to the patient population eligible to PD(L1) drug in this indication is expected when introducing new PD(L1) drug into the indication. In line with the above, 5 year-Budget impact is not provided due to the uncertainty in the eventual pricing for Hetronifly (serplulimab).
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>	Week 41

10 Sykdommen og eksisterende behandling	
10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon	Non-squamous and squamous NSCLC: Lung cancer is one of the most common types of cancer and a leading cause of cancer-related deaths [Sung et al, 2020; WHO 2024; Bray 2024]. NSCLC

<i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i>	accounts for approximately 85% of all lung cancer cases and may be further subcategorized into either squamous (sq) or non-squamous (nsq) NSCLC. Within nsq NSCLC, adenocarcinoma is the most common histologic subtype, followed by large cell carcinoma (Hendriks et al, 2024, Paik et al, 2024). In the early stages, lung cancer is often asymptomatic, which is why the disease is often diagnosed only when it has reached the advanced stages, when symptoms, such as cough, haemoptysis (blood stained mucus), dyspnoea (shortness of breath) and weight loss may appear [Spiro 2007; Hendriks et al, 2024; Paik et al, 2024]. As mentioned, there are two main histological subtypes – squamous and non-squamous NSCLC. Squamous NSCLC could be characterised by keratinization areas, while non-squamous NSCLC is characterised mainly by gland formation. [icholson, 2015] There are also epidemiological differences between squamous and non-squamous NSCLC, where nonsquamous NSCLC is more common among women, while men are more at risk of developing squamous NSCLC. The proportion of women affected by non-squamous NSCLC has been increasing in past few decades, even without a clear presence of other risk factors. [Huang, 2019] The treatment of squamous NSCLC is particularly challenging and therefore this disease is associated with a worse prognosis. [Socinski, 2016] Sources: Sung H., Ferlay J., Siegel RL. et al. (2020). Global Cancer Statistics 2020: GLOBOCAN Estimates of Incidence and Mortality Worldwide for 36 Cancers in 185 Countries. CA Cancer J. Clin. 2021;71:209–249. doi: 10.3322/caac.21660. WHO. (2024). "Cancer Today." available from https://gco.iarc.who.int/today/en/dataviz/bars?mode=cancer&key=total&group_populations=0&types=1&sort_by=value0&populations=900&multiple_populations=0&values_position=out&cancers_h=15. Bray, F., Laversanne, M., Sung, H., et al. (2024). "Global cancer statistics 2022: GLOBOCAN estimates of incidence and mortality worldwide for 36 cancers in 185 countries." CA Cancer J Clin 74(3): 229-263. Hendriks LEL, Remon J, Faivre-Finn C et al. (2024). Non-small-cell lung cancer. Nat Rev Dis Primers. 2024 Sep 26;10(1):71. doi: 10.1038/s41572-024-00551-9.
---	--

	Paik PK, Zhang J, West HJ, et al. (2026). Squamous Non-Small Cell Lung Cancer: Current and Emerging Treatment Options. Clin Lung Cancer. Apr;27(3):28-45. doi: 10.1016/j.clcc.2025.10.001. Epub 2025 Oct 6. PMID: 41253679. Socinski, M.A. · Obasaju, C. · Gandara, D. ... Clinicopathologic features of advanced squamous NSCLC J Thorac Oncol. 2016; 11:1411-1422 Huang, C. · Qu, X. · Du, J. Proportion of lung adenocarcinoma in female never-smokers has increased dramatically over the past 28 years J Thorac Dis. 2019; 11:2685-2688 Nicholson, A.G. · Tsao, M.S. · Beasley, M.B. ... The 2021 WHO Classification of lung tumors: impact of advances since 2015 J Thorac Oncol. 2022; 17:362-387 OSCC: Esophageal squamous cell carcinoma is a malignancy arising from the flat epithelial cells lining the inner surface of the esophagus. The esophagus is a muscular tube connecting the throat to the stomach, running through the chest cavity behind the heart and in front of the spine. Squamous cell carcinoma typically develops in the upper and middle portions of the esophagus. It represents the most common histological subtype globally, although adenocarcinoma is more prevalent in Western countries. Key risk factors include long-term smoking, excessive alcohol consumption, poor diet, and chronic irritation of the esophageal lining. Source: https://www.cancer.gov/types/esophageal
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Kreftsykdommer
10.3 Kreftområde <i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i>	Velg kreftområde fra menyen: Lungekreft
10.4 Dagens behandling	NSCLC:

<i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i>	Non-squamous NSCLC: For patients without driver mutations, the introduction of immunotherapy around ten years ago has led to a significant improvement in the survival prognosis [Yarchoan et al, 2019]. According to the ESMO 2023 guidelines, regardless of tumour PD-L1 status, for patients with newly diagnosed stage IV non-oncogene-addicted NSCLC (i.e., without EGFR-, ALK- or ROS1-positive driver mutations), with a PS of 0-1 and no contraindications for immunotherapy; a combination of platinum-based chemotherapy with an immunotherapy (namely an ICI such as an anti-PD-1/PDL1) represents the most common first-line treatment approach. (Hendriks et al, 2023; Hendriks et al, 2025) Squamous NSCLC: In the recent years, immunotherapy has been widely applicable as the first line treatment of squamous NSCLC. ICI with chemotherapy is a first line treatment of patients with advanced squamous NSCLC. [Henriks et al., 2025] As previously mentioned, squamous NSCLC has however clearly lower survival rates among adult patients compared to non-squamous NSCLC. The combination of PD-1 blockade and VEGF(R) inhibition has been shown as a promising treatment option for patients with squamous NSCLC. [Paik, 2025] Source: Yarchoan, M., Albacker, LA., Hopkins, AC., et al. (2019). PD-L1 expression and tumour mutational burden are independent biomarkers in most cancers. JCI Insight, 4. Hendriks LE, Kerr KM, Menis J et al. (2023). ESMO Guidelines Committee. Electronic address: clinicalguidelines@esmo.org. Non-oncogene-addicted metastatic non-small-cell lung cancer: ESMO Clinical Practice Guideline for diagnosis, treatment and follow-up. Ann Oncol. Apr;34(4):358-376. doi: 10.1016/j.annonc.2022.12.013. Hendriks L, Cortiula F, Martins-Branco D et al. (2025). Updated treatment recommendations for systemic treatment: from the ESMO non-oncogene-addicted metastatic NSCLC Living Guideline. Annals of Oncology, 2025; 36, 1223-1227 Paik P, Zhang J, West H ... Squamous Non-Small Cell Lung Cancer: Current and Emerging Treatment Options Clinical Lung Cancer, 2025; 27, 28-45
---	--

	OSCC: Immunotherapy has significantly improved outcomes in metastatic esophageal squamous cell carcinoma by enhancing the body's immune response against tumor cells. Unlike conventional therapies, it acts indirectly by activating immune-mediated tumor recognition and destruction. Immune checkpoint inhibitors represent the main class of immunotherapies in this setting. These agents block inhibitory signals that suppress T-cell activity, thereby enhancing anti-tumor immunity. PD-1 inhibitors, including nivolumab and pembrolizumab, disrupt the PD-1/PD-L1 interaction, restoring T-cell function and promoting tumor cell elimination. Source: https://aoe.amegroups.org/article/view/8535/html
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Non-squamous and squamous NSCLC: Non-squamous NSCLC: With a low relative 5-year survival rate (25% for women and around 19% for men), the prognosis for patients with lung cancer is poor [Center for Cancer Registry Data 2024]. Although morbidity and death rates are higher among men than in women, for men, these rates have decreased and for women have increased over the recent decades; largely attributed to different smoking habits [AWMF Guideline 2025]. More than half of NSCLC patients have advanced disease at the time of initial diagnosis, with the probability of survival decreasing significantly as the disease progresses (i.e., a 5-year survival rate of 75% in stage I and 7.8% in stage IV) [Kraywinkel 2018; Tumour Registry Munich 2021]. In the advanced stage, there are differences in the probability of survival between sq NSCLC and nsq NSCLC. Squamous NSCLC: Compared to non-squamous NSCLC, patients with sq NSCLC have a worse prognosis, mainly because fewer targeted treatment options are available for this subtype [Center for Cancer Registry Data 2024]. Sources: Center for Cancer Registry Data (2024). Database query with data up to 2022. Robert Koch Institute.

	AWMF (Association of Scientific Medical Societies) Guideline (2025). S3 Guideline Prevention, Diagnosis, Therapy and Aftercare of Lung Carcinoma - Registration number 020-0070OL - Version 4.0 - Status: 02.04.2025 - Valid until 02.04.2030 - Long version. Kraywinkel, K. & Schönfeld, I. (2018). Epidemiology of non-small cell lung cancer in Germany. The oncologist, 24, 946–51. Munich Tumour Registry (TRM) (2022). ICD-10 C34: Non-small cell lung cancer – Survival. https://www.tumorregister-muenchen.de/facts/surv/sC34N_G-ICD-10-C34-Nicht-kleinzell.-BCSurvival.pdf. OSCC: Metastatic esophageal squamous cell carcinoma is associated with a poor prognosis, as curative treatment options are limited once the disease has disseminated. Treatment is therefore primarily aimed at controlling disease progression, extending survival, and maintaining quality of life. Survival statistics should be interpreted with caution, as they reflect population averages and may not capture individual variability. Outcomes are influenced by patient- and disease-specific factors, and the introduction of new therapies such as immunotherapy provides optimism for improved future outcomes. Sources: https://www.cancerresearchuk.org/about-cancer/oesophageal-cancer/survival https://cancer.ca/en/cancer-information/cancer-types/esophageal/treatment/stage-3
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	First-line treatment of adult patients with locally advanced or metastatic or unresectable NSCLC or OSCC

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>	Non-squamous and squamous NSCLC: Lung cancer is one of the most common types of cancer in the world and is the leading cause of cancer mortality in Norway The disease is the second most common type of cancer among men and the third most common among women. Approximately 2,600 new cases of lung cancer are diagnosed in Norway each year, of which approximately 85% are classified as non-small cell lung cancer NSCLC. Of these, approximately 75 % have locally advanced or metastatic disease at the time of diagnosis. The main types of NSCLC are squamous cell carcinoma (squamous carcinoma). adenocarcinoma and large cell carcinoma. Adenocarcinomas adn large cell carcinomas together accont for approximately 50-55% of all lung cancer cases. Squamous cell carcinoma accounts for about 25-30%. Although NSCLC is associated with smoking in about 90% of cases, adenocarcinomas can be found in patients who have never smoked. Source: https://www.fhi.no/publ/2012/pemetrexed-som-vedlikeholdsbehandling-ved-avansert-ikke-plateepitel-ikke-sm/#bakgrunn https://legehandboka.no/handboken/kliniske-kapitler/lunger/tilstander-og-sykdommer/svulster/lungekreft Restrepo, J. C., Dueñas, D., Corredor, Z., & Liscano, Y. (2023). Advances in Genomic Data and Biomarkers: Revolutionizing NSCLC Diagnosis and Treatment. <i>Cancers</i>, 15(13), 3474. https://doi.org/10.3390/cancers15133474 OSCC: According to the Norwegian cancer Registry rapport from 2024, 325 persons were diagnosed with oesophageal squamous cell carcinoma in 2024. Although internationally cancers of oesophagus and stomach are among those most common ones, in Norway their incidence is relatively low accounting for about 2% of all newly diagnosed cancer cases. Source: https://www.fhi.no/contentassets/e48ffae32c644d87b9cb28e636e5ddb0/rapport-kreft-i-spiseror-og-magesekk-2024.pdf
---	--

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID	ASTRUM-002	ASTRUM-004	ASTRUM-007
Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke	NCT03952403 https://clinicaltrials.gov/study/NCT03952403	NCT04033354 https://clinicaltrials.gov/study/NCT04033354	NCT03958890 https://clinicaltrials.gov/study/NCT03958890
11.2 Studietype og -design	A Three Arm, Randomized, Double-blind, Multicenter, Phase III Clinical Study to Evaluate HLX10 (Recombinant Humanized Anti-PD-1 Monoclonal Antibody Injection) in Combination with Chemotherapy (Carboplatin-Pemetrexed) Versus HLX10 + HLX04 (Recombinant Humanized Anti-VEGF Monoclonal Antibody Injection) in Combination with Chemotherapy (Carboplatin-Pemetrexed) Versus Chemotherapy (Carboplatin-Pemetrexed) as First-line Therapy for Advanced Non-squamous Non-small Cell Lung Cancer (NSCLC)	A Randomized, Double-blind, Multi-center, Phase III Clinical Study of HLX10 (Recombinant Humanized Anti-PD-1 Monoclonal Antibody Injection) in Combination with Chemotherapy (Carboplatin and Nanoparticle Albumin-bound Paclitaxel) versus Chemotherapy (Carboplatin and Nanoparticle Albumin-bound Paclitaxel) as First-line Treatment for Locally Advanced or Metastatic Squamous Non-small Cell Lung Cancer (NSCLC)	A Randomized, Double-Blind, Multicenter, Phase III Clinical Study to Evaluate HLX10 (Recombinant Humanized Anti-PD-1 Monoclonal Antibody Injection) versus Placebo in Combination with Chemotherapy (Cisplatin + 5-FU) as First-Line Therapy in Patients with Locally Advanced/Metastatic Esophageal Squamous Cell Carcinoma (ESCC)
11.3 Formål	Primary Objective:	Primary Objective:	Primary objective:

	• To evaluate the clinical efficacy of HLX10 in combination with chemotherapy, and HLX10 in combination with HLX04 and chemotherapy as first-line therapy in patients with advanced non-squamous NSCLC. Secondary Objective: • To evaluate the safety and tolerability of HLX10 in combination with chemotherapy, and HLX10 in combination with HLX04 and chemotherapy as first-line therapy in patients with advanced non-squamous NSCLC.	• To compare the clinical efficacy of HLX10 combined with chemotherapy versus placebo combined with chemotherapy as first-line therapy in patients with locally advanced or metastatic squamous NSCLC. Secondary Objectives: • To evaluate pharmacokinetics (PK), and immunogenicity profiles of HLX10, and to explore the biomarkers. • To compare the safety of HLX10 combined with chemotherapy versus placebo combined with chemotherapy as first-line therapy in patients with locally advanced or metastatic squamous NSCLC.	• To evaluate the clinical efficacy of HLX10 versus placebo in combination with chemotherapy as first-line therapy in patients with locally advanced/metastatic ESCC. Secondary objective: • To evaluate the safety and tolerability of HLX10 versus placebo in combination with chemotherapy as first-line therapy in patients with locally advanced/metastatic ESCC.
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	In the phase III study the actual enrollment was 643 subjects (HLX10 + HLX04 + chemotherapy group: 212 subjects; HLX10 + chemotherapy group: 214 subjects; placebo + chemotherapy group: 210 subjects). Key inclusion criteria: 1. Histologically or cytologically confirmed, Stage IIIB/IIIC or IV non-squamous NSCLC 2. Participants with no EGFR, ALK	A total of 537 subjects were randomized and received the study drugs treatment. Key inclusion criteria: 1. Patients with histologically or cytologically confirmed stage IIIB/IIIC and stage IV (AJCC Edition 8) squamous NSCLC where surgery or radiotherapy cannot be performed. 2. No known sensitizing EGFR	The number of subjects actually randomized was 551, including 368 subjects in the HLX10 group and 183 subjects in the control group. Key inclusion criteria: • Volunteer to participate in this clinical study; completely understand and know this study as well as sign the informed consent form (ICF); be willing to follow and be able to complete

	and ROS1 mutation. - Participants with no prior treatment for Stage IIIB/IIIC or IV non-squamous NSCLC - Measurable disease as defined by RECIST v1.1 - Eastern Cooperative Oncology Group performance status 0 or 1 - Adequate hematologic and end organ function 18 Years to 75 Years (Adult, Older Adult), all sexes Key exclusion criteria: - Malignancies other than NSCLC within 5 years prior to randomization, with the exception of those with a negligible risk of metastasis or death treated with expected curative outcome - Active central nervous system metastases - Prior treatment with cluster of differentiation immune checkpoint	mutations or ALK, ROS1 gene rearrangements. - Major organs are functioning well - Participant must keep contraception - Patients with prior denosumab use who can agree to switch to bisphosphonate therapy for bone metastases in the study. 18 Years and older (Adult, Older Adult), all sexes Key exclusion criteria: - Patients with histologically non-squamous NSCLC. Mixed tumors will be classified according to the primary cell type. Patients do not meet the requirements for enrollment if small cell components and neuroendocrine carcinoma components are present. For non-small cell histology, patients meet the requirements for enrollment if squamous components (e.g.,	all study procedures; - Age $\geq$ 18 years and $\leq$ 75 years when ICF is signed; - Never received systemic anti-tumor drug therapy before.Exception : for patients who have received neoadjuvant/adj uvant treatment, the time from the last treatment to recurrence or progression can be screened for more than 6 months;For patients who have received radical concurrent chemoradiotherapy or radiotherapy for esophageal cancer, the time from the last chemotherapy/r adiotherapy to the recurrence or progression time is more than 12 months. - According to the curative effect evaluation criteria in solid tumors (RECIST) v1.1, assessed by the center image with at least one measurable lesions (such as
--	---	--	--

	blockade therapies or Bevacizumab 4. Has received a surgical operation within 4 weeks from the initial drug administration 5. Active or suspected autoimmune diseases. Subjects in a stable state with no need for systemic immunosuppressant therapy are allowed to enroll. 6. Currently having or have had interstitial pneumonia, pneumoconiosis, radiation pneumonitis, drug-related pneumonitis and severe impaired pulmonary function that may interfere with the detection and management of suspected drug-related pulmonary toxicity 7. Any active infection requiring systemic anti-infective therapy within 14 days prior to study drug administration	adenosquamous) are present. 2. Patients with known history of severe hypersensitivity to any monoclonal antibody. 3. Patients with known hypersensitivity to any compositions of carboplatin or nab-paclitaxel. 4. Pregnant or breastfeeding females. 5. Patients with a known history of psychotropic drug abuse or drug addiction; or a history of alcohol abuse. 6. Patients who have other factors that could lead to the early termination of this study based on the investigator's judgment.	esophageal cavity structure not as measurable lesions), measurable lesions should be not received radiotherapy, etc (lesions located in the usual radiation area, if confirm progress, can also be selected as the target lesion); • PD-L1 positive subjects (CPS 1%).The subject must provide tumor tissue for pd-l1 expression level determination; • Within 7 days before the first use of the study drug, ECOG: 0 ~ 1; • Expected survival 12 weeks; • The functions of the vital organs meet the following requirements (no blood transfusion, cytokine growth factor, or platelet raising drugs are allowed within 14 days before the first use of the study drugs); H. Absolute neutrophil count (ANC) $\geq 1.5 \times 10^9/L$
--	--	--	--

	8. Uncontrollable active infection(s) 9. History of immunodeficiency, including HIV antibody positive 10. active hepatitis B; or hepatitis C virus infections 11. Has bleeding tendency 12. History of severe cardiovascular diseases 13. Known gastrointestinal diseases as follows, Gastrointestinal perforation, abdominal fistula or abdominal abscess within 6 months before signing the informed consent; History of poorly controlled or recurrent inflammatory bowel disease; Active peptic ulcers, or > moderate esophageal varices 14. Pregnant or breastfeeding female		I. platelet ≥ 100 109/L; J. Hemoglobin ≥ 9g/dL; K. Serum albumin ≥ 3.0g/dL; L. Total bilirubin ≤ 1.5 ULN, ALT, AST and/or ALP ≤ 2.5 ULN; ALT and/or AST ≤ 5 ULN in the presence of liver metastasis; If there is liver metastasis or bone metastasis ALP ≤ 5 ULN; M. Serum creatinine ≤ 1.5 ULN or creatinine clearance > 60 mL/min (Cockcroft-Gault formula); N. APTT, INR and PT ≤ 1.5 ULN; • For fertile female subjects, the serum pregnancy test must be negative within 7 days before the first dose. With fertile women subjects, and the partner for childbearing age women of male subjects, needs during the therapy, and after the last use HLX10 / placebo at least 3 months and the last time to use at least 6 months after
--	---	--	--

			chemotherapy using an approved by the medical contraception (such as intrauterine device, the pill or condoms); • Subjects voluntarily participated in this study and signed the informed consent, with good compliance and follow-up. Key exclusion criteria: • 1. BMI < 17.5kg /m²; • 2. A history of gastrointestinal perforation and/or fistula within 6 months prior to the first administration; • 3. Obvious invasion of tumor into adjacent organs (aorta or trachea) of esophageal lesions leads to high risk of bleeding or fistula;3. Subjects after endotracheal stent implantation; • 4. Uncontrollable pleural effusion, pericardial effusion or
--	--	--	---

			ascites requiring repeated drainage; • 5. Previous allergies to monoclonal antibody, HLX10, 5-fu, cisplatin and other platinum drugs; • 6. Have received any of the following treatments: A. Previous treatment with anti-pd-1 or anti-pd-L1 antibodies; B. Have received any research drugs within 4 weeks before the first use of the study drugs; C. Be enrolled in another clinical study at the same time, unless it is an observational (non-interventional) clinical study or a follow-up interventional clinical study; D. Receive the final anticancer treatment within 4 weeks before the first use of the study drug; Palliative radiotherapy for bone metastases was allowed and was completed 2 weeks before the first
--	--	--	---

			dose. Radiotherapy covering more than 30% of the bone marrow area is not allowed within 28 days before the first dose. • Subjects who require systemic treatment with corticosteroids (> 10 mg/ day prednisone therapeutic dose) or other immunosuppressive agents within 14 days prior to the first use of the study drug; In the absence of active autoimmune disease, inhalation or topical use of steroids is permitted, and the therapeutic dose of prednisone 10mg/ day is allowed. • Those who have received the anti-tumor vaccine or the live vaccine within 4 weeks before the first dose of the study drug • Have undergone major surgery within 28 days prior to the first use of the study drug. Major surgery in this
--	--	--	---

			study is defined as requiring at least 3 weeks of postoperative recovery time before being able to receive the surgery treated in this study. Tumor puncture or lymph node biopsy were allowed.
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	HLX10, an engineered anti-PD-1 antibody - HLX10 will be administered as IV infusion at a dose of 4.5mg/kg on Day 1 of each 21-day cycle until loss of clinical benefit or up to 2 year. HLX04, a bevacizumab biosimilar - HLX04 will be administered as IV infusion at a dose of 15 milligrams per kilogram (mg/kg) on Day 1 of each 21-day cycle until progressive disease, unacceptable toxicity, death or up to 2 year. Carboplatin - Carboplatin will be administered at area under the concentration-time curve (AUC) 5 on Day 1 of each 21-day	HLX10: 4.5 mg/kg, intravenous infusion, administered on Day 1 of each cycle, once every 3 weeks (21 days), for up to 2 years (up to 35 treatment cycles) or until loss of clinical benefit. Placebo: Intravenous infusion, administered on Day 1 of each cycle, once every 3 weeks (21 days), for up to 2 years (up to 35 treatment cycles) or until loss of clinical benefit. The investigational products were infused within 30 to 90 minutes if no infusion reaction occurred. Nab-paclitaxel: 100 mg/m², intravenous infusion, administered on Day 1, 8, and 15 of each 3 week (21-day), for 4-6 treatment cycles. Carboplatin:	Dosing sequence for combination therapy: HLX10/placebo, cisplatin, and 5-FU were administered sequentially, with 2 weeks (14 days) as a cycle. HLX10: 3 mg/kg, intravenous infusion (IV), it was recommended to filter with 0.2–5 µm in-tube filter before infusion; administered on Day 1 of each cycle, once every 2 weeks (14 days), with no reduction in dose for up to 2 years or until loss of clinical benefit, intolerable toxicity, discontinuation decided by the subject or physician, death, withdrawal of informed consent, pregnancy or other reasons specified in the protocol (whichever occurred first).

	cycle for 4 cycles, or until loss of clinical benefit whichever occurs first. Pemetrexed - Pemetrexed will be administered as IV infusion at a dose of 500 milligrams per square meter (mg/m²) on Day 1 of each 21-day cycle until progressive disease, unacceptable toxicity, death or up to 2 year.	AUC = 5, maximum dose was not more than 750 mg, or AUC = 6, maximum dose was not more than 900 mg, intravenous infusion, administered on Day 1 of each cycle, once every 3 weeks (21 days), for 4-6 treatment cycles. The choice of AUC 5 or 6 was based on local guidance. Subjects received HLX10 or placebo via intravenous infusion first and then nab-paclitaxel followed by carboplatin via intravenous infusion. HLX10 or placebo was given by infusion in a blinded state and nab-paclitaxel followed by carboplatin were given by open-label infusion	Cisplatin: 50 mg/m², IV, once every 2 weeks (14 days), administered on Day 1 of each cycle, for up to 8 cycles. 5-FU: at a total dose of 2400 mg/m², continuous IV for 44–48 hours in each cycle, once every 2 weeks (14 days), for up to 12 cycles
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	HLX10 Placebo • Dosage and administration: 4.5 mg/kg, intravenous infusion, on Day 1 of each cycle (3 weeks, i.e., 21 days), continuous treatment until loss of clinical benefit or completion of 2 year treatment (35 cycles), after which Investigator assessed whether the subject should continue to receive the investigational product. HLX04 Placebo • Dosage and administration: 15 mg/kg, intravenous	Placebo: Intravenous infusion, administered on Day 1 of each cycle, once every 3 weeks (21 days), for up to 2 years (up to 35 treatment cycles) or until loss of clinical benefit. The investigational products were infused within 30 to 90 minutes if no infusion reaction occurred.	Placebo: 3 mg/kg, intravenous infusion (IV), it was recommended to filter with 0.2–5 µm in-tube filter before infusion; administered on Day 1 of each cycle, once every 2 weeks (14 days), with no reduction in dose for up to 2 years or until loss of clinical benefit, intolerable toxicity, discontinuation decided by the subject or physician, death, withdrawal of informed consent,

	infusion, on Day 1 of each cycle (3 weeks, i.e., 21 days), continuous treatment until loss of clinical benefit or completion of 2 year treatment (35 cycles), after which Investigator assessed whether the subject should continue to receive the investigational product.		pregnancy or other reasons specified in the protocol (whichever occurred first).
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Primary Efficacy Endpoint: Progression-free survival (PFS) assessed by IRRC per RECIST v1.1: the time from randomization to the first documented PD or death by any cause, whichever occurred first. Key Secondary Efficacy Endpoint: Overall survival (OS): the time from randomization to death by any cause. Other Secondary Efficacy Endpoints • PFS assessed by Investigator per RECIST v1.1: the time from randomization to the first documented PD or death by any cause,	Primary Efficacy Endpoint: Progression-free survival (PFS) (assessed by independent radiology review committee [IRRC] based on Response Evaluation Criteria in Solid Tumors [RECIST] 1.1). Secondary Efficacy Endpoints: -Overall survival (OS); - PFS (assessed by Investigator based on RECIST 1.1); -PFS (assessed by IRRC and Investigator based on a modified RECIST 1.1 for immune based therapeutics [iRECIST]); - Objective response rate (ORR) (assessed by IRRC and Investigator based on RECIST 1.1);	Primary endpoints: • Progression-free survival (PFS) (assessed by Independent Radiology Review Committee [IRRC] as per RECIST v1.1); • Overall survival (OS). Secondary endpoints: • PFS (assessed by IRRC as per iRECIST, and assessed by Investigator as per RECIST v1.1 and iRECIST); • Objective response rate (ORR) (assessed by IRRC and Investigator as per RECIST v1.1 and iRECIST); • Relationship between PD-L1 expression of tumor tissues and efficacy; • Duration of response (DOR) (assessed by IRRC and Investigator as per RECIST v1.1 and iRECIST);

	whichever occurred first. • Objective response rate (ORR): the proportion of subjects whose best overall response (BOR) was evaluated as complete response (CR) or partial response (PR) by IRRC and Investigator, respectively, as per RECIST v1.1. Subjects without post-baseline tumor assessments were considered as non-responders. • Duration of response (DOR): the time from the first documented response (CR or PR) to the first documented PD assessed by IRRC and Investigator per RECIST v1.1, or death (whichever occurred first). Quality of Life: • The EuroQol 5-dimension 5-level (EQ-5D-5L) questionnaire; • European organization for research and treatment of cancer core quality of life (EORTC QLQ-C30) questionnaire; • European organization for research and treatment of cancer quality of life 13-item lung cancer-specific questionnaire module (EORTC QLQ-LC13). Pharmacokinetics : Serum drug concentrations and PK	-Duration of response (DOR) (assessed by IRRC and Investigator based on RECIST 1.1); - Quality of life assessment. Safety Endpoints: -Adverse events (AEs) (including serious adverse events [SAEs]), laboratory tests (hematology, blood chemistry, coagulation function, urinalysis, thyroid function, cardiac function), 12-lead electrocardiogram (12 lead ECG), vital signs, and physical examination, etc. Pharmacokinetic Endpoint: - The concentration of HLX10 in serum. Immunogenicity Endpoint: - HLX10 anti-drug antibody/neutralizing antibody (ADA/NAb) positive rate. Biomarker Endpoints: - Relationship between PD-L1 expression, microsatellite instability (MSI), tumor mutation burden (TMB) in tumor tissue and efficacy.	• Incidence of adverse events (AEs) and serious adverse events (SAEs); • Pharmacokinetics (PK): concentration of HLX10 in serum; • Immunogenicity evaluation: positive rate of anti-drug antibody (ADA)/neutralizing antibody (NAb); • Relationship between microsatellite instability (MSI), tumor mutational burden (TMB) and efficacy; • Quality of life assessment.
--	--	--	---

	parameters of HLX10 and HLX04, in which PK parameters included: • Maximum concentration (C_{max}): the concentration within 2 h after the administration in Cycle 1 and 8; • Trough concentration (C_{trough}): the concentration within 3 days before the administration in Cycle 2 and 8; • Accumulation ratio (Rac_C_{max}): the ratio of C_{max} after the administration in cycle 8 to that in Cycle 1; • Accumulation ratio (Rac_C_{trough}): the ratio of C_{trough} before the administration in Cycle 8 to that in Cycle 2. Immunogenicity: • Anti-drug antibody (ADA). Biomarkers: • PD-L1 expression level; • Microsatellite instability (MSI); • Tumor mutation burden (TMB). Safety: • Incidence of adverse events (AEs) and serious adverse events (SAEs).		
--	---	--	--

11.8 Relevante subgruppeanalyse <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyse</i>	Subgroup analysis included the subgroups defined by stratification factors and biomarkers (if a subgroup population was less than 5% of the ITT set, only the number of subjects and events were summarized). The subgroup analysis results were used to plot forest plots. The subgroup analysis was performed in the ITT set. The subgroups planned for analysis included: • Age: < 65 years vs. ≥ 65 years; • ECOG score: 0 vs. 1; • Gender: male vs. female; • Smoking history: yes vs. no; • Brain metastases: yes vs. no; • PD-L1 expression level: negative (CPS < 1) vs. positive (CPS ≥ 1) vs. not evaluable; • PD-L1 expression level: CPS < 1 vs. 1 ≤ CPS < 10 vs. CPS ≥ 10; • PD-L1 expression level: TPS < 1% vs. 1% ≤ TPS < 50% vs. TPS ≥ 50%; • Tumor status: locally advanced (stage IIIB/IIIC) vs. distant metastasis (stage IV); • MSI: MSS/MSI-L vs. MSI-H; • TMB: < 10 muts/Mb vs. ≥ 10 muts/Mb.	N/A	Age (< 65 years vs. ≥ 65 years): - PFS assessed by IRRC based on RECIST v1.1: - The subgroup analysis results of PFS assessed by IRRC and investigator based on RECIST v1.1 showed that subjects aged < 65 years and ≥ 65 years both could benefit from the treatment of HLX10. ECOG Score (0 vs. 1): - The subgroup analysis results of PFS assessed by IRRC and investigator based on RECIST v1.1 showed that subjects with ECOG scores of 0 and 1 both could benefit from the treatment of HLX10. Gender (Male vs. Female): - The subgroup analysis results of PFS assessed by IRRC and investigator based on RECIST v1.1 showed that subjects of different genders both could benefit from the treatment of HLX10.
---	--	-----	---

			PD-L1 Expression Level ($1 \leq \text{CPS} < 10$ vs. $\text{CPS} \geq 10$): - The subgroup analysis results of PFS assessed by IRRC and investigator based on RECIST v1.1 showed that subjects with different PD-L1 expression levels both could benefit from the treatment of HLX10. Tumor Status (Locally Advanced vs. Distant Metastasis): - The subgroup analysis results of PFS assessed by IRRC and investigator based on RECIST v1.1 showed that subjects with different tumor status both could benefit from the treatment of HLX10. MSI/MMR (MSS/MSI-L vs. MSI-H): - There were no subjects with MSI-H in the HLX10 group, whereas two were observed in the control group. Due to the small number of subjects, the MSI-H subgroup could not be analyzed.
--	--	--	--

			TMB (< 10 muts/Mb vs. $\geq$ 10 muts/Mb): - The TMB $\geq$ 10 muts/Mb subgroup had 2 subjects from the HLX10 group and 1 subject from the control group. Due to the small number of subjects, the TMB $\geq$ 10 muts/Mb subgroup could not be analyzed. In summary, in the ITT set, HLX10 group showed higher PFS benefit as compared to the control group in the subgroups of age (< 65 years vs. $\geq$ 65 years), ECOG score (0 vs. 1), gender (male vs. female), PD-L1 expression level ($1 \leq$ CPS < 10 vs. CPS $\geq$ 10), tumor status (distant metastasis vs. locally advanced), MSI/MMR (MSS/MSI-L), and TMB (< 10 muts/Mb).
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>	All subjects should undergo safety follow-up visits by the study site within 30 days ($\pm$ 7 days) after the last dose; if the end-of-treatment visit was delayed for any reason within 30 days ($\pm$ 7 days) after the last dose, no additional safety follow-up visit was required. A safety follow-up telephone call was required within 90 days ($\pm$ 7 days) after the	Safety follow-up by telephone was required 90 days ($\pm$ 7 days) after the final dose of study treatment, and AE, AE-related concomitant treatment, subsequent anti-cancer therapy, and survival status information of the subjects were collected. Subjects who discontinued the drug for reasons other than disease progression,	The follow-up period was defined as the period beyond 90 days after the last dose of study treatment. As of April 15, 2022, the median duration of follow-up in the ITT set was 14.9 months.

	last dose, only collecting the information of AEs and concomitant medications related to AE management. For subjects discontinuing treatment due to non-PD reasons, imaging assessment should be continued as scheduled until PD, initiation of a new anti-tumor therapy, withdrawal of ICF, death, or the end of the study (whichever occurred first). Subjects discontinuing treatment must undergo survival followed-up by telephone every 12 weeks (± 7 days); the frequency of survival follow-up might be increased as appropriate. As of August 07, 2025, the median duration of follow-up in the HLX10 + HLX04 + chemotherapy group, HLX10 + chemotherapy group, and placebo + chemotherapy group were 48.4 months, 45.4 months, and 45.7 months, respectively.	where possible, continued the radiographic assessments in accordance with the stipulations on imaging tests in the protocol until disease progression (including first PD, second PD [if present]), initiation of new anti-cancer treatment, withdrawal of informed consent, death or end of study (whichever occurs first). A telephone follow-up for survival for the subjects were conducted every 12 weeks ± 7 days after the final dose of study drug; the frequency of survival follow-up was increased as appropriate. As of 31 Jan 2023, the median duration of follow-up was 31.11 months. 229 (64.0%) subjects had PFS events in the HLX10 group, of which 177 (49.4%) subjects experienced disease progression and 52 (14.5%) subjects died. In the placebo group, 123 (68.7%) subjects had PFS events, of which 94 (52.5%) subjects experienced disease progression and 29 (16.2%) subjects died.	
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie?</i> <i>Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Study Initiation Date (first subject signed the informed consent form): November 25, 2019 Last Subject Enrolled Date: June 15, 2022	First Patient Enrolled Date: 14 Aug 2019 Last Patient Enrolled Date: 25 Feb 2021	Date of the first subject signed the informed consent form: June 19, 2019

	Data Cut-off Date: August 07, 2025 Database Lock Date: August 07, 2025 Status: Final	Data Cut-Off Date: 31 Jan 2023 Database Lock Date: 12 Apr 2023 Status: Final	Date of the last subject enrollment: December 17, 2021 Data cut-off date: January 09, 2023 Status: Final
11.11 Publikasjoner Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon	https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/41354044/ https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/40932107/	https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/38181795/	https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37215110/ https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/36732627/

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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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	Not applicable
--	----------------

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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
14.3 Andre relevante opplysninger?	This assessment could be a candidate for the fast-track procedure for PD-(L)1 inhibitors, “Forenklet vurdering av PD-(L)1 legemidler”

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Saksnummer: (xxx-2x fylles ut av sekretariatet)

Til:	Bestillerforum for nye metoder
Fra:	Sykehusinnkjøp HF
Dato:	01.02.2024

Anmodning ID2026_037, ID2026_038, ID2026_039. Forslag om bestilling av oppdrag som følge av registrering i ordningen «Forenklet vurdering av PD-(L)1 legemidler».

Hva saken omhandler i korte trekk

Sykehusinnkjøp HF har registret at legemiddelfirma Accord deltar i PD-(L)1 ordningen med legemiddelet serplulimab (Hetronify). Hetronify ble innført til småcellet lungekreft (ES-SCLC) ved beslutning i Beslutningsforum 18.05.2026.

På nåværende tidspunkt foreligger det tre anmodninger om metodevurdering av serplulimab (i kombinasjon med generika, biotilsvarende legemidler eller rimelig kjemoterapi) som ikke er kommet så langt i saksbehandlingen at det foreligger bestilling av oppdrag. Det foreligger allerede markedsføringstillatelse for disse tre indikasjonsutvidelsene.

Sykehusinnkjøp HF informerer derfor om disse sakene, slik at Sekretariatet kan melde dem inn til agenda på første mulige møte i Bestillerforum, og at slik at Bestillerforum kan ta stilling til om det kan gis oppdrag om kun prisnotat, i tråd med intensjonen i ordningen.

Bakgrunn for saken

- Beslutningsforum for nye metoder besluttet den 11. desember 2023 å innføre en forenklet prosess for innføring av PD-(L)1 legemidler i Nye metoder.
- Leverandører som ønsker å delta i ordningen registrerer dette hos Sykehusinnkjøp HF.
- I henhold til beslutningens pkt. 5, kan metodevurderinger som allerede er bestilt i Bestillerforum (og som gjelder monoterapi eller kombinasjon med generika, biotilsvarende legemidler eller rimelig kjemoterapi), men der det foreløpig ikke foreligger noen beslutning, inkluderes i ordningen.
- For de tre aktuelle sakene er ikke oppdrag om metodevurdering bestilt ennå, så det er ikke behov for «omgjøring» av oppdrag, men legemidler som er innmeldt i PD(L)-1 ordningen kan gå rett til bestilling uten forutgående egnethetsvurdering.

Saksfremstilling

Accord meldte 05.08.2026 serplulimab (Hetronify) inn i PD-(L)1 ordningen. Sykehusinnkjøp HF melder inn følgende oppdrag for vurdering av om det kan bestilles oppdrag om kun prisnotat, i tråd med intensjonen i ordningen:

ID2026_037 Serplulimab (Hetronify) i kombinasjon med karboplatin og pemetreksed er indisert til førstelinjebehandling av voksne pasienter med ikke-plateepitel- ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) uten EGFR-, ALK- eller -positive mutasjoner, som har lokalavansert NSCLC som ikke er kandidater for kirurgi eller radioterapi, eller metastatisk NSCLC.

ID2026_038 Serplulimab (Hetronify) i kombinasjon med fluoropyrimidin- og platinabasert kjemoterapi er indisert til førstelinjebehandling av voksne pasienter med ikke-resekterbart,

NYE METODER

lokalavansert, residiverende eller metastatisk øsofagealt plateepitelkarsinom (OSCC) med tumorer som uttrykker PD-L1 med en CPS $\geq$ 5.

ID2026_039 Serplulimab (Hetronify) I kombinasjon med karboplatin og nab-paklitaxel er indisert til førstelinjebehandling av voksne pasienter med ikke-resekterbart, lokalavansert eller metastatisk ikke-småcellet plateepitelkarsinom i lungene (plateepitel-NSCLC).

Forslag til beslutning

Bestillerforum for nye metoder gir oppdrag om kun prisnotat.

Saksnummer 105-26 Oppsummering fra sekretariatet

Legemidler til forebygging av nedre luftveissykdom forårsaket av respiratorisk syncytialvirus (RSV):

- Anmodning: ID2026_043 Nirsevimab (Beyfortus) for forebygging av respiratorisk syncytialt virus (RSV) sykdom i nedre luftveier hos nyfødte og spedbarn i løpet av deres første RSV-sesong.

- Anmodning: ID2026_044 Nirsevimab (Beyfortus) for forebygging av respiratorisk syncytialt virus (RSV) sykdom i nedre luftveier hos barn opptil 24 måneders alder som fortsatt er sårbare for alvorlig RSV-sykdom gjennom sin andre RSV-sesong.

- Forslag: ID2026_008 Klesrovimab (Enflonsia) til forebygging av nedre luftveisinfeksjon forårsaket av respiratorisk syncytialvirus (RSV) hos nyfødte og spedbarn i løpet av deres første RSV-sesong. Forslag om utvidelse av pasientgruppen.

Saksbehandlingshistorikk

- I midten av juni (15.06.2026) besluttet Beslutningsforum å innføre [ID2026_008](#) Klesrovimab (Enflonsia) til forebygging av nedre luftveissykdom forårsaket av respiratorisk syncytialvirus (RSV) hos nyfødte og spedbarn til pasienter med høy risiko for alvorlig RSV-infeksjon i løpet av deres første RSV-sesong. Beslutningsforum presiserte at behandlingen kunne tas i bruk fra 01.08.2026, da ny pris kunne gjelde fra denne datoen.
- I slutten av juni (25.06.2026) kom det et forslag fra et fagmiljø om å utvide pasientgruppen innenfor det som vurderes som høy risiko for alvorlig RSV-infeksjon hos nyfødte og spedbarn. Da forslaget kom, hadde anmodningene omtalt i punktet under ikke kommet og forslaget ble knyttet til ID2026_008.
- I starten av juli (07.07.2026) kom det anmodninger for to indikasjoner av nirsevimab (Beyfortus):
 - o [ID2026_043](#) Nirsevimab (Beyfortus) for forebygging av respiratorisk syncytialt virus (RSV) sykdom i nedre luftveier hos nyfødte og spedbarn i løpet av deres første RSV-sesong.
 - o [ID2026_044](#) Nirsevimab (Beyfortus) for forebygging av respiratorisk syncytialt virus (RSV) sykdom i nedre luftveier hos barn opptil 24 måneders alder som fortsatt er sårbare for alvorlig RSV-sykdom gjennom sin andre RSV-sesong.

Legemidlet har hatt markedsføringstillatelse (MT) siden 2022, men har ikke blitt markedsført i Norge. Leverandøren, Sanofi Aventis Norge AS, opplyser i anmodningene at de nå vil markedsføre i Norge fra og med 01.08.2026.

- Sanofi Aventis Norge AS skriver i anmodningene at de mener at de tre monoklonale antistoffene klesrovimab, nirsevimab og palivizumab mot RSV har sammenlignbar virkningsmekanisme, men ulike egenskaper og ulikt datagrunnlag. Nirsevimab har vektbasert dosering og gis som en enkeltdose. De vurderer at nirsevimab (Beyfortus) er sammenlignbart med ID2026_008 Klesrovimab (Enflonsia) for den innførte indikasjonen.

Direktoratet for medisinske produkter (DMP) har utarbeidet et vedlagt notat for å belyse saken og se anmodningene og forslaget i sammenheng.

Bestillerforum for nye metoder bes ta stilling til hvilke oppdrag som eventuelt skal gis.

Saksnummer: (fylles ut av sekretariat for Nye metoder)

NOTAT TIL BESTILLERFORUM

Til:	Bestillerforum
Fra:	Direktoratet for medisinske produkter (DMP)
Dato:	11.08.2026

Hva saken omhandler i korte trekk

Legemidler til forebygging av nedre luftveissykdom forårsaket av respiratorisk syncytialvirus (RSV) hos nyfødte og spedbarn med stor risiko for alvorlig RSV-infeksjon. Notatet inneholder følgende informasjon:

- Overføring av finansieringsansvaret for nyfødte og spedbarn med stor risiko for alvorlig RSV-infeksjon.
- Beslutninger, bestillinger, anmodninger og forslag i Nye Metoder.
- Metodevurderinger og egnethetsvurderinger fra DMP, og sammenheng med anmodninger og forslag i Nye Metoder.
- Vurdering fra DMP for ID2026_043, ID2024_044 og ID2026_008 (ny).

Bakgrunn for saken

Overføring av finansieringsansvar for høyrisikogrupper

Finansieringsansvaret for legemidler til forebygging av alvorlige nedre luftveisinfeksjoner forårsaket av RS-virus hos barn med stor risiko for alvorlig sykdom ble overført fra folketrygden til RHF-ene [1. januar 2025](#).

Overføringen gjaldt følgende virkestoff og bruksområde:

Handelsnavn	Virkestoff	ATC-kode	Bruksområde
Alle	Pavlizumab	J06BD01	Forebygging av alvorlige nedre luftveisinfeksjoner forårsaket av RS-virus hos barn med stor risiko for alvorlig sykdom
Alle	Nirsevimab	J06BD08	Forebygging av alvorlige nedre luftveisinfeksjoner forårsaket av RS-virus hos barn med stor risiko for alvorlig sykdom
Alle	Klesrovimab	J06BD10	Forebygging av alvorlige nedre luftveisinfeksjoner forårsaket av RS-virus hos barn med stor risiko for alvorlig sykdom

Finansieringsansvaret for disse legemidlene gjelder kun for bruksområdet beskrevet fra Helsedirektoratet i tabellen over: Forebygging av alvorlige nedre luftveisinfeksjoner forårsaket av RS-virus hos barn med stor risiko for alvorlig sykdom. Tabellen under oppsummerer legemidlenes godkjente indikasjon (MT):

Handelsnavn	Virkestoff	Godkjent indikasjon
Synagis	Pavlizumab	Forebygging av alvorlige nedre luftveisinfeksjoner som krever sykehusinnleggelse, forårsaket av respiratorisk syncytialt virus (RS-virus) hos barn med stor risiko for RS-virussykdom: - Barn født i 35 svangerskapsuke eller tidligere som var yngre enn 6 måneder i begynnelsen av RS-virussesongen. - Barn under 2 år som har hatt behov for behandling for bronkopulmonal dysplasi de siste 6 månedene.

		Barn under 2 år med medfødt hjertesykdom som er av hemodynamisk betydning.
Beyfortus	Nirsevimab	Forebygging av respiratorisk syncytialt virus (RSV) sykdom i nedre luftveier hos: i. Nyfødte og spedbarn i løpet av deres første RSV-sesong. ii. Barn opptil 24 måneders alder som fortsatt er sårbare for alvorlig RSV-sykdom gjennom sin andre RSV-sesong.
Enflonsia	Klesrovimab	Forebygging av nedre luftveissykdom forårsaket av respiratorisk syncytialvirus (RSV) hos nyfødte og spedbarn i løpet av deres første RSV-sesong.

Bestillinger, anmodninger og forslag i Nye Metoder

Etter overføringen av finansieringsansvaret for høyrisikogruppene, har det blitt sendt inn anmodninger og forslag for de ulike legemidlene vist i tabellene over. Aktuelle saker i Nye Metoder:

- ID2026_008: Klesrovimab (Enflonsia) - *Til forebygging av nedre luftveisinfeksjon forårsaket av respiratorisk syncytialvirus (RSV) hos nyfødte og spedbarn i løpet av deres første RSV-sesong.*
- ID2026_008 (ny): Klesrovimab (Enflonsia) – *Forslag om å utvide pasientgruppen innenfor det som vurderes som høy risiko for alvorlig RSV-infeksjon hos nyfødte eller spedbarn.*
- ID2026_043: Nirsevimab (Beyfortus) - *For forebygging av respiratorisk syncytialt virus (RSV) sykdom i nedre luftveier hos nyfødte og spedbarn i løpet av deres første RSV-sesong.*
- ID2026_044: Nirsevimab (Beyfortus) - *For forebygging av respiratorisk syncytialt virus (RSV) sykdom i nedre luftveier hos barn opptil 24 måneders alder som fortsatt er sårbare for alvorlig RSV-sykdom gjennom sin andre RSV-sesong.*

Metodevurderinger og egnethetsvurderinger fra DMP, og sammenheng med anmodninger og forslag i Nye Metoder

Se tabellen under for metodevurderinger og egnethetsvurderinger fra DMP, og sammenhengen med anmodninger og forslag i Nye Metoder.

Handelsnavn (virkestoff)	ID-nummer Nye metoder	Godkjent indikasjon vs. Relevant populasjon	DMPs vurderinger av relevant populasjon
Beyfortus (nirsevimab)	ID2026_043 Anmodning fra leverandør	Forebygging av respiratorisk syncytialt virus (RSV) sykdom i nedre luftveier hos nyfødte og spedbarn i løpet av deres første RSV-sesong. Leverandøren anmoder om relevant pasientgruppe. →Subgruppe: barn med stor risiko for alvorlig sykdom	Metodevurdert for folketrygdfinansiering i 2025. DMP har vurdert at en innføring av Beyfortus vil kunne gi kostnadsbesparelser for folketrygden sammenlignet med dagens behandling med palivizumab.
	ID2026_044 Anmodning fra leverandør	Forebygging av respiratorisk syncytialt virus (RSV) sykdom i nedre luftveier hos barn opptil 24 måneders alder som fortsatt er sårbare for alvorlig RSV-sykdom gjennom sin andre RSV-sesong. Leverandøren anmoder om relevant pasientgruppe. →Subgruppe: barn med stor risiko for alvorlig sykdom	Metodevurdert for folketrygdfinansiering i 2025. DMP har vurdert at en innføring av Beyfortus vil kunne gi kostnadsbesparelser for folketrygden sammenlignet med dagens behandling med palivizumab.
Enflonsia (klesrovimab)	ID2026_008	Forebygging av nedre luftveissykdom forårsaket av respiratorisk syncytialvirus (RSV)	DMP har opplyst saken i egnethetsvurdering.

	Anmodning fra leverandør	hos nyfødte og spedbarn i løpet av deres første RSV-sesong. Leverandør anmodet om relevant pasientgruppe. →Subgruppe: barn med stor risiko for alvorlig sykdom	Bestilling av prisnotat fra Sykehusinnkjøp HF. Besluttet innført av Beslutningsforum 15.06.2026.
	ID2026_008 (ny) Forslag om utvidelse av pasientgruppen med stor risiko for alvorlig sykdom	Forslag fra leder for Norsk barnelegeforening (NBF). NBF har oppdatert sine retningslinjer med en utvidelse av risikodefinsjonen. Det er denne utvidelsen som er grunnlag for forslaget i ID2026_008. Se forslaget for definisjonen av pasientgruppen.	Se vurdering under.

Vurdering fra DMP for ID2026_043, ID2024_044 og ID2026_008 (ny)

Palivizumab (Synagis) har vært brukt som forebyggende behandling av spedbarn og barn opptil 24 måneder med høy risiko for å utvikle alvorlig RSV-infeksjon siden 1999. Palivizumab administreres intramuskulært én gang i måneden og opptil fem ganger, gjennom RSV-sesongen. Behandling med palivizumab er ansett som etablert og har vært relevant sammenligningsalternativ for nyere RSV-behandlinger.

DMP metodevurderte nirsevimab (Beyfortus) våren 2025 for refusjon gjennom folketrygden for pasienter med særskilt høy risiko for å få alvorlig RSV-infeksjon. Vurderingen omfattet begge indikasjonene, henholdsvis ID2026_043 og ID2026_044, for relevant subgruppe (barn med stor risiko for alvorlig sykdom). DMP vurderte at en innføring av Beyfortus vil kunne gi kostnadsbesparelser for folketrygden sammenlignet med palivizumab. DMP vurderer at denne metodevurderingen/vedtaket kan benyttes som saksunderlag for videre behandling av ID2026_043 og ID2026_044 i Nye metoder, og sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.

Forslaget fra Norsk barnelegeforeningen (NBF) gjelder ikke spesielt klesrovimab (ID2026_008), men er et forslag om å utvide av pasientgruppen som defineres som «høyrisikobarn» for alvorlig RSV-infeksjon. NBF sin tidligere definisjon har blitt brukt av HELFO ved innvilgelse av individuell stønad (folketrygden) for bruk av palivizumab. Ifølge NBF sine beregninger innebærer den reviderte definisjonen en utvidelse av pasientpopulasjonen til ca. 2000 barn per vintersesong, mot tidligere ca. 300-400 barn. Se [forslaget](#) for definisjonen av pasientgruppen.

For den utvidede pasientgruppen er det relevant å se hen til [DMPs metodevurdering av nirsevimab \(Beyfortus\) til forebyggende behandling av alvorlig RSV-infeksjon hos friske spedbarn](#).

Metodevurderingen ble gjennomført i [systemet for Nye vaksiner](#) for å vurdere legemiddelet finansiert i nasjonalt vaksinasjonsprogram. DMPs analyser viste at forebyggende behandling hos friske spedbarn ville gi betydelige helsemessige og økonomiske gevinster gjennom færre sykehusinnleggelser, og behandlingen er vurdert kostnadseffektiv for hele den metodevurderte indikasjonen. Denne vurderingen vil også gjelde for den utvidede definisjonen av «høyrisikobarn» som NBF foreslår. DMP vurderer at denne metodevurderingen kan benyttes som saksunderlag for videre behandling av ID2026_043 og ID2026_044, og sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.

Anbefaling til Bestillerforum

DMP vurderer at tidligere metodevurderinger, egnethetsvurdering og informasjon i anmodninger og forslag kan benyttes for videre behandling av ID2026_043, ID2026_044 og ID2026_008 (ny), og sammen med et prisnotat kan være tilstrekkelig som beslutningsstøtte i denne saken.

Direktoratet for medisinske produkter, 11.08.2026

Anette Grøvan

Enhetsleder, metodevurdering sykehuslegemidler

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: 07.07.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Sanofi Aventis Norge AS
1.2 Navn kontaktperson	Zina Zolic-Karlsson/Anne Lise K. Hestvik
1.3 Stilling kontaktperson	Value access manager/Medisinsk ansvarlig vaksiner
1.4 Telefon	+47 91381773/+47 97489964
1.5 E-post	zina.zolic-karlsson@sanofi.com/annelise.hestvik@sanofi.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?	Beyfortus er indisert for forebygging av respiratorisk syncytialt virus (RSV) sykdom i nedre luftveier hos: i Nyfødte og spedbarn i løpet av deres første RSV-sesong.

<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>	ii Barn opptil 24 måneders alder som fortsatt er sårbare for alvorlig RSV-sykdom gjennom sin andre RSV-sesong Beyfortus skal brukes i samsvar med offisielle anbefalinger.
2.3 Handelsnavn	Beyfortus
2.4 Generisk navn/virkestoff	Nirsevimab
2.5 ATC-kode	ATC-kode: J06BD08
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingsslengde</i> <i>Skriv kort</i>	<i>Spedbarn i løpet av sin første RSV-sesong:</i> 50 mg og 100 mg injeksjonsvæske, oppløsning i ferdigfylt sprøyte Anbefalte dose er en enkeltdose på 50 mg administrert intramuskulært for spedbarn med kroppsvekt < 5 kg og en enkeltdose på 100 mg administrert intramuskulært for spedbarn med kroppsvekt ≥ 5 kg. <i>Barn som fortsatt er sårbare for alvorlig RSV-sykdom gjennom sin andre RSV-sesong:</i> Anbefalt dose er én enkelt dose på 200 mg gitt som to intramuskulære injeksjoner (2 x 100 mg). Beyfortus bør administreres fra fødselen til spedbarn født i RSV-sesongen. For andre som er født utenfor sesongen bør Beyfortus fortrinnsvis administreres før RSV-sesongen. Behandlingsslengde: nirsevimab gis som en enkeltdose til hvert spedbarn.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Farmakoterapeutisk gruppe: Immunsera og immunglobuliner, antivirale monoklonale antistoffer. Virkningsmekanisme: rekombinant nøytraliserende humant IgG1κ langtidsvirkende monoklonalt antistoff mot prefusjonskonformasjonen fra RSV F-proteinet som har

	blitt modifisert med en trippel aminosyresubstitusjon (YTE) i Fc-regionen for å forlenge serumhalveringstiden. Nirsevimab hemmer det essensielle membranfusjonstrinnet i virusinntrengningsprosessen, nøytraliserer viruset og blokkerer celle-til-celle-fusjon.
--	--

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: 25/08507/ID2024/32: Nirsevimab (Beyfortus). Til forebygging av alvorlig RSV-infeksjon hos spedbarn. Metodevurdering av DMP.
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: Følgende metoder er gjennomført til samme indikasjon: i) DMP har vurdert generell refusjon for nirsevimab (25/08507) for risikogrupper og konkludert med at innføring vil gi kostnadsbesparelser for Folketrygden versus dagens bruk av palivizumab (Nirsevimab_risikogrupper_DMP) ii) DMP har metodevurdert nirsevimab til forebyggende behandling av alvorlig RSV-infeksjon hos spedbarn (Metodevurdering av vaksine finansiert i nasjonalt vaksinasjonsprogram) og konkludert med at nirsevimab er kostnadsnøytralt eller besparende sammenlignet med ingen behandling (25/08507/ID2024/32, beyfortus-nirsevimab-rs-virus-hos-barn-barnevaksinasjonsprogrammet.pdf) iii) Basert på DMPs metodevurdering har FHI anbefalt inklusjon av langtidsvirkende antistoffer i barnevaksinasjonsprogrammet: Anbefaling om immunisering mot RSV_FHI iv) Klesrovimab er vurdert kostnadseffektivt sammenlignet med palivizumab for høyrisiko-populasjonen, ID2026_008 (Klesrovimab (Enflonsia) - Nye metoder)
3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng?	Ja ☒ Nei ☐ Referanse:

<i>Hvis ja, oppgi referanse</i>	Nirsevimab er metodevurdert og anbefalt innført som RSV-forebyggende behandling i de fleste EU-land. Lenker til relevante naboland: Sverige: Inför RSV-säsongen: Förebyggande läkemedel till alla nyfödda och spädbarn i riskgrupp Läkemedelsverket Iceland: Prevention of RSV Introduced for Infants for the First Time in Iceland The Directorate of Health Finland: Summary nirsevimab Summary Nirsevimab in the Prevention of RSV Danmark: Nirsevimab (Beyfortus) - RS-virus hos spædbørn Belgia: Prevention against RSV disease in children - Superior Health Council
---------------------------------	---

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: 31.10.2022
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/776857/2022 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: 31.10.2022

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: De tre monoklonale antistoffene klesrovimab, nirsevimab og palivizumab mot RSV har sammenliknbar virkningsmekanisme, men ulike egenskaper og ulikt datagrunnlag. Nirsevimab skiller seg fra de andre på følgende hovedpunkter: Nirsevimab har en vektbasert dosering og har dokumentert tilsvarende effek for alle barn uavhengig av vekt og alder gjennom hele sesongen (Beyfortus SmPC). Nirsevimab er indisert også for barn i sitt andre leveår med fortsatt forhøyet risiko for alvorlig RSV-sykdom (Beyfortus SmPC). Nirsevimab har til dags dato blitt administrert til mer enn 11 millioner barn på verdensbasis. Mer enn 400 000 barn er inkludert i real world studier som har
--	--

	demonstrert effekt og sikkerhet på linje med de kliniske studiene (Sanofi data on file). <i>Varighet av beskyttelse</i> Basert på kliniske og farmakokinetiske data, er varigheten av beskyttelsen som gis av nirsevimab på minst 5-6 måneder (Sanofi SmPC). Studier pågår for å bestemme varighet av beskyttelse i større detalj.
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: Klesrovimab. ID2026_008 Beslutningsforum for nye metoder (15.06.2026) 1. Klesrovimab (Enflonsia) innføres til forebygging av nedre luftveissykdom forårsaket av respiratorisk syncytialvirus (RSV) hos nyfødte og spedbarn med høy risiko for alvorlig RSV-infeksjon i løpet av deres første RSV-sesong. 2. Det forutsetter at prisen er lik eller lavere enn den prisen som er grunnlaget for denne beslutningen. 3. Behandlingen kan tas i bruk fra 01.08.2026, da ny pris kan gjelde fra denne datoen.
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: JNHB ikke relevant ettersom andre nordiske land enten allerede har innført barnevaksinasjonsprogram mot RSV med antistoff profylakse eller maternell vaksine under svangerskapet.
--	--

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)

8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av	Ja ☐ Nei ☒ Dato for søknad til EMA:
--	---

relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)? <i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i>	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? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	Sanofi foreslår en forenklet prosess med prisnotat fra Sykehusinnkjøp med bakgrunn i følgende: i) DMP har allerede vurdert generell refusjon for nirsevimab for risikogrupper og konkludert med at innføring vil gi kostnadsbesparelser for Folketrygden versus dagens bruk av palivizumab (Nirsevimab risikogrupper DMP) ii) DMP har metodevurdert nirsevimab til forebyggende behandling av alvorlig RSV-infeksjon hos spedbarn (Metodevurdering av vaksine finansiert i nasjonalt vaksinasjonsprogram) og konkludert med at nirsevimab er kostnadsnøytralt eller besparende sammenlignet med ingen behandling (25/08507/ID2024/32, beyfortus-nirsevimab-rs-virus-hos-barn-barnevaksinasjonsprogrammet.pdf) iii) Basert på DMPs metodevurdering har FHI anbefalt inklusjon av langtidsvirkende antistoffer i barnevaksinasjonsprogrammet: Anbefaling om immunisering mot RSV_FHI v) Klesrovimab er vurdert kostnadseffektivt sammenlignet med palivizumab for høyrisiko-populasjonen (Klesrovimab (Enflonsia) - Nye metoder)
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Indikasjonen til Beyfortus: Beyfortus er indisert for forebygging av respiratorisk syncytialt virus (RSV) sykdom i nedre luftveier hos: i) Nyfødte og spedbarn i løpet av deres første RSV-sesong. ii) Barn opptil 24 måneders alder som fortsatt er sårbare for alvorlig RSV-sykdom gjennom sin andre RSV-sesong
9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.)	Data fra det kliniske studieprogrammet som omfatter en bred spedbarnspopulasjon fra ekstremt premature til fullbårne spedbarn, samt barn med underliggende sykdom med forhøyet risiko for RSV-sykdom. Viser til

Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.	rapport fra DMP: beyfortus-nirsevumab-rs-virus-hos-barn-barnevaksinasjonsprogrammet.pdf
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Pasientgruppen omfatter rundt 350-400 pasienter årlig i Norge (Test x). Budsjettvirkning vil være avhengig av pris.
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>	All dokumentasjon er tidligere levert og metodevurdering fra DMP foreligger (25/08507/ID2024/32). Sanofi vil være tilgjengelige for prisforhandlinger med Sykehusinnkjøp fra dags dato.

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>	RSV er en av de viktigste årsakene til akutt luftveisinfeksjon hos spedbarn. RSV er sesongbundet, og RSV-infeksjoner forekommer hyppigst i november til mai. Nesten alle barn har gjennomgått minst én RSV-infeksjon før to års alder. De fleste barn som får RSV-sykdom blir ikke alvorlig syke, men for noen barn blir infeksjonen eller konsekvensene av den så alvorlig at de må legges inn på sykehus for å få hjelp til å puste og spise. Sykdommen er mest alvorlig hos barn under 2–3 måneders alder, og hos barn i medisinske risikogrupper frem til 24 måneders alder. Om lag 1 000 barn under 1 år legges inn på sykehus hvert år grunnet RSV-infeksjon (DMPs metodevurdering 25/08507/ID2024/32).
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Infeksjonssykdommer
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>	Palivizumab (Synagis) er et monoklonalt antistoff (mAb) mot RSV som gis månedlig, og har vært brukt som forebyggende behandling mot RSV infeksjoner til spedbarn med særlig høy risiko for alvorlig sykdom

	siden 1999 (ref Nyfødteveileder, Helsebiblioteket). Ca 400 barn med høy risiko for alvorlig RSV-infeksjon behandles med Synagis hver sesong i Norge.
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Publikasjonen av Havdal et al fra 2022, "The burden of respiratory syncytial virus in children under 5 years of age in Norway" beskriver sykdomsbyrden av RSV i Norge hos barn under 5 år. Konklusjonen fra Havdal et al tilsier at barn uten komorbiditet står for langt de fleste (85%) av alvorlige sykehusforløp for barn med RSV -infeksjon, mens barn med forhøyet risiko (premature, trisomi 21, medfødt hjertesykdom, lungesyke, immunkompromitterte, og barn med nevrologiske sykdommer samt kreft) har høyere rater av innlagte opphold. Referanse: Havdal et al., The burden of respiratory syncytial virus in children under 5 years of age in Norway. J Infect. 2022 Feb;84(2):205-215. Se også metodevurdering fra DMP: 25/08507/ID2024/32, beyfortus-nirsevimab-rs-virus-hos-barn-barnevaksinasjonsprogrammet.pdf
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Nirsevimab vil egne seg for barnevaksinasjonsprogram og til risikopasienter og er anbefalt innført i det norske barnevaksinasjonsprogrammet. Nirsevimab vil kunne erstatte dagens bruk av palivizumab for høyrisiko-spedbarn som frem til 1. januar 2026 ble brukt på §3 etter individuell refusjon. For innføring i barnevaksinasjonsprogram har FHI i første omgang anbefalt at barn født fra og med 1. oktober, til og med 31. mai mottar antistoff på sykehus kort tid etter fødsel og fortrinnsvis før utskrivning. På sikt er det ventet at det vil være behov for økt vaksinasjonskapasitet. For barn født før sesong vil vaksinasjon på helsestasjon være relevant. Spedbarn kalles hyppig inn til helsestasjonen i løpet av det første leveåret, og administrasjon av nirsevimab kan legges til et av disse besøkene. For barn født i sesong vil vaksinasjon under sykehusopphold være hensiktsmessig, f. eks i forbindelse med prøve som tas

	til nyfødtscreening (på sykehus, ca 48 timer etter fødsel). Nirsevimab bør gis kort tid etter fødsel for å gi beskyttelse mot smitte. Det er ventet at et barnevaksinasjonsprogram vil føre til vesentlig avlastning for helsetjenesten som følge av redusert sykdom på populasjonsnivå. Det er ventet at et vaksinasjonsprogram vil kunne føre til mindre belegg på sykehus og redusert behov for bemanning på sykehus i sesong.
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>	Barn med forhøyet risiko for RSV-sykdom er definert av Norsk barnelegeforening og har frem til i dag omfattet omlag 400 barn i Norge (4.21 RS-virus - immunprofylakse og vaksine - Helsebiblioteket). Ved inklusjon i barnevaksinasjonskohorten vises det til rapporten fra FHI (Anbefaling om immunisering mot RSV_FHI): Barnevaksinasjonsprogrammet til friske spedbarn, vil tilbudet sannsynligvis gis i form av enten: • Utvidet sesongprogram (tilbud for spedbarn født f.o.m oktober t.o.m mai) • Sesongprogram med opphenting (tilbud for spedbarn født f.o.m. november t.o.m april, samt tilbud som gis i oktober til november for spedbarn født f.o.m mai t.o.m. oktober) Dette utgjør mellom 34 000 og 53 000 spedbarn per år i Norge.

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	D5290C00003 (fase IIb)	MELODY samlet (primær + sekundær kohort)	MEDLEY

11.2 Studietype og -design	Randomisert dobbeltblindet, placebokontrollert (fase IIb)	Randomisert dobbeltblindet, placebokontrollert (fase III)	Randomisert, dobbeltblindet, palivizumab-kontrollert (fase II/III)
11.3 Formål	Sikkerhet, effekt, farmakokinetikk og ADA (anti-drug antibodies) ved nirsevimab hos friske premature barn i deres første RSV-sesong.	Sikkerhet, effekt, farmakokinetikk og ADA ved nirsevimab hos friske barn i deres første RSV-sesong.	Sikkerhet og tolerabilitet ved nirsevimab hos barn med forhøyet risiko for RSV-sykdom gjennom to sesonger.
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	1453 friske barn (gestasjonsalder fra 29 uker til <35) Barn som ikke kvalifiserer for å motta palivizumab	3012 (1490 +1522) friske barn gestasjonsalder ≥ 35+0 Barn som ikke kvalifiserer for å motta palivizumab	925 spedbarn med gestasjonsalder < 35 uker med høyere risiko for alvorlig RSV-sykdom (inkluderte nesten 200 ekstremt premature spedbarn (med gestasjonsalder < 29 uker) og spedbarn med kronisk lungesykdom grunnet prematuritet, eller hemodynamisk signifikant medfødt hjertesykdom, som gikk inn i sin første RSV-sesong. Studien inkluderte også 262 barn med kronisk lungesykdom grunnet prematuritet eller hemodynamisk signifikant medfødt hjertesykdom som gikk inn i sin andre RSV-sesong)
11.5 Intervensjon (n)	2:1 randomisering Nirsevimab 50 mg: placebo	2:1 randomisering Nirsevimab (en enkeltdose (hvis <5 kg, 50 mg; hvis ≥5 kg, 100 mg): placebo	2:1 randomisering Nirsevimab (en enkeltdose (hvis <5 kg, 50 mg; hvis ≥5 kg, 100 mg), etterfulgt av 4

<i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>			månedlige placebodoser) eller palivizumab (5 månedlige doser 15 mg/kg)
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Placebo	Placebo	Palivizumab
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Primært endepunkt: Forekomst av RSV bekreftet MA-LRTI (medically attended lower respiratory tract infection) gjennom 150 dager etter dosering. Sekundære endepunkter: Forekomst av RSV-LRTI sykehusinnleggelse gjennom 150 dager etter dosering Sikkerhet Farmakokinetikk ADA	Primært endepunkt: Forekomst av RSV bekreftet MA-LRTI gjennom 150 dager etter dosering. Sekundære endepunkter: Forekomst av RSV-LRTI sykehusinnleggelse gjennom 150 dager etter dosering Sikkerhet Farmakokinetikk ADA	Primært endepunkt: Sikkerhet og tolerabilitet av nirsevimab Deskriptivt for MA RSV LRTI og sykehusinnleggelser, farmakokinetikk og ADA
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	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>	150 dager for alle effektendepunkter. Serumprøver for ADA og farmakokinetikk ble samlet opp til dag 361 etter administrering av nirsevimab eller placebo	150 dager for alle effektendepunkter. Serumprøver for ADA og farmakokinetikk ble samlet opp til dag 361 etter administrering av nirsevimab eller placebo	150 dager for alle effektendepunkter. 262 barn med kronisk lungesykdom grunnet prematuritet eller hemodynamisk signifikant medfødt hjertesykdom ble fulgt opp med hensyn på sikkerhet i sin andre RSV-sesong (361 dager).
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Avsluttet studie	Avsluttet studie	Avsluttet studie
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Griffin MP, Yuan Y, Takas T, Domachowske JB, Madhi SA, Manzoni P, Simões EAF, Esser MT, Khan AA, Dubovsky F, Villafana T, DeVincenzo JP; Nirsevimab Study Group. Single-Dose Nirsevimab for Prevention of RSV in Preterm Infants. N Engl J Med. 2020 Jul 30;383(5):415-425. doi: 10.1056/NEJMoa1913556. Erratum in: N Engl J Med. 2020 Aug 13;383(7):698. doi: 10.1056/NEJMx200019. PMID: 32726528.	MELODY samlet: Arbetter D, Gopalakrishnan V, Aksyuk AA, Ahani B, Chang Y, Dagan R, Esser MT, Hammitt LL, Mankad VS, Saez-Llorens X, Shen D, Leach A, Kelly EJ, Villafana T, Wilkins D. Lower Respiratory Tract Infections Following Respiratory Syncytial Virus Monoclonal Antibody Nirsevimab Immunization Versus Placebo: Analysis From a Phase 3 Randomized Clinical Trial (MELODY). Clin Infect Dis. 2025 Oct 6;81(3):634-644. doi: 10.1093/cid/ciae596. PMID: 39656748; PMCID: PMC12497957.	Domachowske J, Madhi SA, Simões EAF, Atanasova V, Cabañas F, Furuno K, et al. Safety of Nirsevimab for RSV in Infants with Heart or Lung Disease or Prematurity. New England Journal of Medicine. 2022;386(9):892-4. Domachowske JB, Chang Y, Atanasova V, Cabañas F, Furuno K, Nguyen KA, et al. Safety of Re-dosing Nirsevimab Prior to RSV Season 2 in Children With Heart or Lung Disease. J Pediatric Infect Dis Soc. 2023;12(8):477-80.

		Primær kohort: Hammitt, L.L., et al., <i>Nirsevimab for Prevention of RSV in Healthy Late-Preterm and Term Infants</i> . N Engl J Med, 2022. 386 (9): p. 837-846.	
--	--	--	--

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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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 ☐ Knut Øymar, Jon Olav Hunderi, Håvard Skjerven, Håvard Trønnes og Per Kristian Knudsen har deltatt i advisory board med nirsevimab som tema. Hunderi, Skjerven og Trønnes har eller skal holde foredrag for Sanofi der nirsevimab er/vil bli omtalt.
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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
14.3 Andre relevante opplysninger?	Viser til DMPs metodevurdering og FHIs anbefaling for andre relevante opplysninger. Nirsevimab vil markedsføres i Norge fra og med 1.08. 2026.

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

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: 07.07.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Sanofi Aventis Norge AS
1.2 Navn kontaktperson	Zina Zolic-Karlsson/Anne Lise K. Hestvik
1.3 Stilling kontaktperson	Value access manager/Medisinsk ansvarlig vaksiner
1.4 Telefon	+47 91381773/+47 97489964
1.5 E-post	zina.zolic-karlsson@sanofi.com/annelise.hestvik@sanofi.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?	Beyfortus er indisert for forebygging av respiratorisk syncytialt virus (RSV) sykdom i nedre luftveier hos: i Nyfødte og spedbarn i løpet av deres første RSV-sesong.

<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>	ii Barn opptil 24 måneders alder som fortsatt er sårbare for alvorlig RSV-sykdom gjennom sin andre RSV-sesong Beyfortus skal brukes i samsvar med offisielle anbefalinger.
2.3 Handelsnavn	Beyfortus
2.4 Generisk navn/virkestoff	Nirsevimab
2.5 ATC-kode	ATC-kode: J06BD08
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingsslengde</i> <i>Skriv kort</i>	<i>Spedbarn i løpet av sin første RSV-sesong:</i> 50 mg og 100 mg injeksjonsvæske, oppløsning i ferdigfylt sprøyte Anbefalte dose er en enkeltdose på 50 mg administrert intramuskulært for spedbarn med kroppsvekt < 5 kg og en enkeltdose på 100 mg administrert intramuskulært for spedbarn med kroppsvekt ≥ 5 kg. <i>Barn som fortsatt er sårbare for alvorlig RSV-sykdom gjennom sin andre RSV-sesong:</i> Anbefalt dose er én enkelt dose på 200 mg gitt som to intramuskulære injeksjoner (2 x 100 mg). Beyfortus bør administreres fra fødselen til spedbarn født i RSV-sesongen. For andre som er født utenfor sesongen bør Beyfortus fortrinnsvis administreres før RSV-sesongen. Behandlingsslengde: nirsevimab gis som en enkeltdose til hvert spedbarn.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Farmakoterapeutisk gruppe: Immunsera og immunglobuliner, antivirale monoklonale antistoffer. Virkningsmekanisme: rekombinant nøytraliserende humant IgG1κ langtidsvirkende monoklonalt antistoff mot prefusjonskonformasjonen fra RSV F-proteinet som har

	blitt modifisert med en trippel aminosyresubstitusjon (YTE) i Fc-regionen for å forlenge serumhalveringstiden. Nirsevimab hemmer det essensielle membranfusjonstrinnet i virusinntrengningsprosessen, nøytraliserer viruset og blokkerer celle-til-celle-fusjon.
--	--

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: 25/08507/ID2024/32: Nirsevimab (Beyfortus). Til forebygging av alvorlig RSV-infeksjon hos spedbarn. Metodevurdering av DMP.
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: Følgende metoder er gjennomført til samme indikasjon: i) DMP har vurdert generell refusjon for nirsevimab (25/08507) for risikogrupper og konkludert med at innføring vil gi kostnadsbesparelser for Folketrygden versus dagens bruk av palivizumab (Nirsevimab risikogrupper DMP) ii) DMP har metodevurdert nirsevimab til forebyggende behandling av alvorlig RSV-infeksjon hos spedbarn (Metodevurdering av vaksine finansiert i nasjonalt vaksinasjonsprogram) og konkludert med at nirsevimab er kostnadsnøytralt eller besparende sammenlignet med ingen behandling (25/08507/ID2024/32, beyfortus-nirsevimab-rs-virus-hos-barn-barnevaksinasjonsprogrammet.pdf) iii) Basert på DMPs metodevurdering har FHI anbefalt inklusjon av langtidsvirkende antistoffer i barnevaksinasjonsprogrammet: Anbefaling om immunisering mot RSV_FHI iv) Klesrovimab er vurdert kostnadseffektivt sammenlignet med palivizumab for høyrisiko-populasjonen, ID2026_008 (Klesrovimab (Enflonsia) - Nye metoder)
3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng?	Ja ☒ Nei ☐ Referanse:

<i>Hvis ja, oppgi referanse</i>	Nirsevimab er metodevurdert og anbefalt innført som RSV-forebyggende behandling i de fleste EU-land. Lenker til relevante naboland: Sverige: Inför RSV-säsongen: Förebyggande läkemedel till alla nyfödda och spädbarn i riskgrupp Läkemedelsverket Iceland: Prevention of RSV Introduced for Infants for the First Time in Iceland The Directorate of Health Finland: Summary nirsevimab Summary Nirsevimab in the Prevention of RSV Danmark: Nirsevimab (Beyfortus) - RS-virus hos spædbørn Belgia: Prevention against RSV disease in children - Superior Health Council
---------------------------------	---

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: 31.10.2022
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/776857/2022 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: 31.10.2022

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: De tre monoklonale antistoffene klesrovimab, nirsevimab og palivizumab mot RSV har sammenliknbar virkningsmekanisme, men ulike egenskaper og ulikt datagrunnlag. Nirsevimab skiller seg fra de andre på følgende hovedpunkter: Nirsevimab har en vektbasert dosering og har dokumentert tilsvarende effek for alle barn uavhengig av vekt og alder gjennom hele sesongen (Beyfortus SmPC). Nirsevimab er indisert også for barn i sitt andre leveår med fortsatt forhøyet risiko for alvorlig RSV-sykdom (Beyfortus SmPC). Nirsevimab har til dags dato blitt administrert til mer enn 11 millioner barn på verdensbasis. Mer enn 400 000 barn er inkudert i real world studier som har
--	---

	demonstrert effekt og sikkerhet på linje med de kliniske studiene (Sanofi data on file). <i>Varighet av beskyttelse</i> Basert på kliniske og farmakokinetiske data, er varigheten av beskyttelsen som gis av nirsevimab på minst 5-6 måneder (Sanofi SmPC). Studier pågår for å bestemme varighet av beskyttelse i større detalj.
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: Klesrovimab. ID2026_008 Beslutningsforum for nye metoder (15.06.2026) 1. Klesrovimab (Enflonsia) innføres til forebygging av nedre luftveissykdom forårsaket av respiratorisk syncytialvirus (RSV) hos nyfødte og spedbarn med høy risiko for alvorlig RSV-infeksjon i løpet av deres første RSV-sesong. 2. Det forutsetter at prisen er lik eller lavere enn den prisen som er grunnlaget for denne beslutningen. 3. Behandlingen kan tas i bruk fra 01.08.2026, da ny pris kan gjelde fra denne datoen.
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: JNHB ikke relevant ettersom andre nordiske land enten allerede har innført barnevaksinasjonsprogram mot RSV med antistoff profylakse eller maternell vaksine under svangerskapet.
--	--

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)

8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av	Ja ☐ Nei ☒ Dato for søknad til EMA:
--	---

relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)? <i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i>	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? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	Sanofi foreslår en forenklet prosess med prisnotat fra Sykehusinnkjøp med bakgrunn i følgende: i) DMP har allerede vurdert generell refusjon for nirsevimab for risikogrupper og konkludert med at innføring vil gi kostnadsbesparelser for Folketrygden versus dagens bruk av palivizumab (Nirsevimab risikogrupper DMP) ii) DMP har metodevurdert nirsevimab til forebyggende behandling av alvorlig RSV-infeksjon hos spedbarn (Metodevurdering av vaksine finansiert i nasjonalt vaksinasjonsprogram) og konkludert med at nirsevimab er kostnadsnøytralt eller besparende sammenlignet med ingen behandling (25/08507/ID2024/32, beyfortus-nirsevimab-rs-virus-hos-barn-barnevaksinasjonsprogrammet.pdf) iii) Basert på DMPs metodevurdering har FHI anbefalt inklusjon av langtidsvirkende antistoffer i barnevaksinasjonsprogrammet: Anbefaling om immunisering mot RSV_FHI v) Klesrovimab er vurdert kostnadseffektivt sammenlignet med palivizumab for høyrisiko-populasjonen (Klesrovimab (Enflonsia) - Nye metoder)
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Indikasjonen til Beyfortus: Beyfortus er indisert for forebygging av respiratorisk syncytialt virus (RSV) sykdom i nedre luftveier hos: i) Nyfødte og spedbarn i løpet av deres første RSV-sesong. ii) Barn opptil 24 måneders alder som fortsatt er sårbare for alvorlig RSV-sykdom gjennom sin andre RSV-sesong
9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.)	Data fra det kliniske studieprogrammet som omfatter en bred spedbarnspopulasjon fra ekstremt premature til fullbårne spedbarn, samt barn med underliggende sykdom med forhøyet risiko for RSV-sykdom. Viser til

Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.	rapport fra DMP: beyfortus-nirsevimab-rs-virus-hos-barn-barnevaksinasjonsprogrammet.pdf
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Pasientgruppen omfatter rundt 350-400 pasienter årlig i Norge (Test x). Budsjettvirkning vil være avhengig av pris.
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>	All dokumentasjon er tidligere levert og metodevurdering fra DMP foreligger (25/08507/ID2024/32). Sanofi vil være tilgjengelige for prisforhandlinger med Sykehusinnkjøp fra dags dato.

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>	RSV er en av de viktigste årsakene til akutt luftveisinfeksjon hos spedbarn. RSV er sesongbundet, og RSV-infeksjoner forekommer hyppigst i november til mai. Nesten alle barn har gjennomgått minst én RSV-infeksjon før to års alder. De fleste barn som får RSV-sykdom blir ikke alvorlig syke, men for noen barn blir infeksjonen eller konsekvensene av den så alvorlig at de må legges inn på sykehus for å få hjelp til å puste og spise. Sykdommen er mest alvorlig hos barn under 2–3 måneders alder, og hos barn i medisinske risikogrupper frem til 24 måneders alder. Om lag 1 000 barn under 1 år legges inn på sykehus hvert år grunnet RSV-infeksjon (DMPs metodevurdering 25/08507/ID2024/32).
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Infeksjonssykdommer
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>	Palivizumab (Synagis) er et monoklonalt antistoff (mAb) mot RSV som gis månedlig, og har vært brukt som forebyggende behandling mot RSV infeksjoner til spedbarn med særlig høy risiko for alvorlig sykdom

	siden 1999 (ref Nyfødteveileder, Helsebiblioteket). Ca 400 barn med høy risiko for alvorlig RSV-infeksjon behandles med Synagis hver sesong i Norge.
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Publikasjonen av Havdal et al fra 2022, "The burden of respiratory syncytial virus in children under 5 years of age in Norway" beskriver sykdomsbyrden av RSV i Norge hos barn under 5 år. Konklusjonen fra Havdal et al tilsier at barn uten komorbiditet står for langt de fleste (85%) av alvorlige sykehusforløp for barn med RSV -infeksjon, mens barn med forhøyet risiko (premature, trisomi 21, medfødt hjertesykdom, lungesyke, immunkompromitterte, og barn med nevrologiske sykdommer samt kreft) har høyere rater av innlagte opphold. Referanse: Havdal et al., The burden of respiratory syncytial virus in children under 5 years of age in Norway. J Infect. 2022 Feb;84(2):205-215. Se også metodevurdering fra DMP: 25/08507/ID2024/32, beyfortus-nirsevimab-rs-virus-hos-barn-barnevaksinasjonsprogrammet.pdf
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Nirsevimab vil egne seg for barnevaksinasjonsprogram og til risikopasienter og er anbefalt innført i det norske barnevaksinasjonsprogrammet. Nirsevimab vil kunne erstatte dagens bruk av palivizumab for høyrisiko-spedbarn som frem til 1. januar 2026 ble brukt på §3 etter individuell refusjon. For innføring i barnevaksinasjonsprogram har FHI i første omgang anbefalt at barn født fra og med 1. oktober, til og med 31. mai mottar antistoff på sykehus kort tid etter fødsel og fortrinnsvis før utskrivning. På sikt er det ventet at det vil være behov for økt vaksinasjonskapasitet. For barn født før sesong vil vaksinasjon på helsestasjon være relevant. Spedbarn kalles hyppig inn til helsestasjonen i løpet av det første leveåret, og administrasjon av nirsevimab kan legges til et av disse besøkene. For barn født i sesong vil vaksinasjon under sykehusopphold være hensiktsmessig, f. eks i forbindelse med prøve som tas

	til nyfødtscreening (på sykehus, ca 48 timer etter fødsel). Nirsevimab bør gis kort tid etter fødsel for å gi beskyttelse mot smitte. Det er ventet at et barnevaksinasjonsprogram vil føre til vesentlig avlastning for helsetjenesten som følge av redusert sykdom på populasjonsnivå. Det er ventet at et vaksinasjonsprogram vil kunne føre til mindre belegg på sykehus og redusert behov for bemanning på sykehus i sesong.
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>	Barn med forhøyet risiko for RSV-sykdom er definert av Norsk barnelegeforening og har frem til i dag omfattet omlag 400 barn i Norge (4.21 RS-virus - immunprofylakse og vaksine - Helsebiblioteket). Ved inklusjon i barnevaksinasjonskohorten vises det til rapporten fra FHI (Anbefaling om immunisering mot RSV_FHI): Barnevaksinasjonsprogrammet til friske spedbarn, vil tilbudet sannsynligvis gis i form av enten: • Utvidet sesongprogram (tilbud for spedbarn født f.o.m oktober t.o.m mai) • Sesongprogram med opphenting (tilbud for spedbarn født f.o.m. november t.o.m april, samt tilbud som gis i oktober til november for spedbarn født f.o.m mai t.o.m. oktober) Dette utgjør mellom 34 000 og 53 000 spedbarn per år i Norge.

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	D5290C00003 (fase IIb)	MELODY samlet (primær + sekundær kohort)	MEDLEY

11.2 Studietype og -design	Randomisert dobbeltblindet, placebokontrollert (fase IIb)	Randomisert dobbeltblindet, placebokontrollert (fase III)	Randomisert, dobbeltblindet, palivizumab-kontrollert (fase II/III)
11.3 Formål	Sikkerhet, effekt, farmakokinetikk og ADA (anti-drug antibodies) ved nirsevimab hos friske premature barn i deres første RSV-sesong.	Sikkerhet, effekt, farmakokinetikk og ADA ved nirsevimab hos friske barn i deres første RSV-sesong.	Sikkerhet og tolerabilitet ved nirsevimab hos barn med forhøyet risiko for RSV-sykdom gjennom to sesonger.
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	1453 friske barn (gestasjonsalder fra 29 uker til <35) Barn som ikke kvalifiserer for å motta palivizumab	3012 (1490 +1522) friske barn gestasjonsalder ≥ 35+0 Barn som ikke kvalifiserer for å motta palivizumab	925 spedbarn med gestasjonsalder < 35 uker med høyere risiko for alvorlig RSV-sykdom (inkluderte nesten 200 ekstremt premature spedbarn (med gestasjonsalder < 29 uker) og spedbarn med kronisk lungesykdom grunnet prematuritet, eller hemodynamisk signifikant medfødt hjertesykdom, som gikk inn i sin første RSV-sesong. Studien inkluderte også 262 barn med kronisk lungesykdom grunnet prematuritet eller hemodynamisk signifikant medfødt hjertesykdom som gikk inn i sin andre RSV-sesong)
11.5 Intervensjon (n)	2:1 randomisering Nirsevimab 50 mg: placebo	2:1 randomisering Nirsevimab (en enkeldose (hvis <5 kg, 50 mg; hvis ≥5 kg, 100 mg): placebo	2:1 randomisering Nirsevimab (en enkeldose (hvis <5 kg, 50 mg; hvis ≥5 kg, 100 mg), etterfulgt av 4

<i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>			månedlige placebodoser) eller palivizumab (5 månedlige doser 15 mg/kg)
11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Placebo	Placebo	Palivizumab
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Primært endepunkt: Forekomst av RSV bekreftet MA-LRTI (medically attended lower respiratory tract infection) gjennom 150 dager etter dosering. Sekundære endepunkter: Forekomst av RSV-LRTI sykehusinnleggelse gjennom 150 dager etter dosering Sikkerhet Farmakokinetikk ADA	Primært endepunkt: Forekomst av RSV bekreftet MA-LRTI gjennom 150 dager etter dosering. Sekundære endepunkter: Forekomst av RSV-LRTI sykehusinnleggelse gjennom 150 dager etter dosering Sikkerhet Farmakokinetikk ADA	Primært endepunkt: Sikkerhet og tolerabilitet av nirsevimab Deskriptivt for MA RSV LRTI og sykehusinnleggelser, farmakokinetikk og ADA
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	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>	150 dager for alle effektendepunkter. Serumprøver for ADA og farmakokinetikk ble samlet opp til dag 361 etter administrering av nirsevimab eller placebo	150 dager for alle effektendepunkter. Serumprøver for ADA og farmakokinetikk ble samlet opp til dag 361 etter administrering av nirsevimab eller placebo	150 dager for alle effektendepunkter. 262 barn med kronisk lungesykdom grunnet prematuritet eller hemodynamisk signifikant medfødt hjertesykdom ble fulgt opp med hensyn på sikkerhet i sin andre RSV-sesong (361 dager).
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Avsluttet studie	Avsluttet studie	Avsluttet studie
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Griffin MP, Yuan Y, Takas T, Domachowske JB, Madhi SA, Manzoni P, Simões EAF, Esser MT, Khan AA, Dubovsky F, Villafana T, DeVincenzo JP; Nirsevimab Study Group. Single-Dose Nirsevimab for Prevention of RSV in Preterm Infants. N Engl J Med. 2020 Jul 30;383(5):415-425. doi: 10.1056/NEJMoa1913556. Erratum in: N Engl J Med. 2020 Aug 13;383(7):698. doi: 10.1056/NEJMx200019. PMID: 32726528.	MELODY samlet: Arbetter D, Gopalakrishnan V, Aksyuk AA, Ahani B, Chang Y, Dagan R, Esser MT, Hammitt LL, Mankad VS, Saez-Llorens X, Shen D, Leach A, Kelly EJ, Villafana T, Wilkins D. Lower Respiratory Tract Infections Following Respiratory Syncytial Virus Monoclonal Antibody Nirsevimab Immunization Versus Placebo: Analysis From a Phase 3 Randomized Clinical Trial (MELODY). Clin Infect Dis. 2025 Oct 6;81(3):634-644. doi: 10.1093/cid/ciae596. PMID: 39656748; PMCID: PMC12497957.	Domachowske J, Madhi SA, Simões EAF, Atanasova V, Cabañas F, Furuno K, et al. Safety of Nirsevimab for RSV in Infants with Heart or Lung Disease or Prematurity. New England Journal of Medicine. 2022;386(9):892-4. Domachowske JB, Chang Y, Atanasova V, Cabañas F, Furuno K, Nguyen KA, et al. Safety of Re-dosing Nirsevimab Prior to RSV Season 2 in Children With Heart or Lung Disease. J Pediatric Infect Dis Soc. 2023;12(8):477-80.

		Primær kohort: Hammitt, L.L., et al., <i>Nirsevimab for Prevention of RSV in Healthy Late-Preterm and Term Infants</i> . N Engl J Med, 2022. 386 (9): p. 837-846.	
--	--	--	--

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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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 ☐ Knut Øymar, Jon Olav Hunderi, Håvard Skjerven, Håvard Trønnes og Per Kristian Knudsen har deltatt i advisory board med nirsevimab som tema. Hunderi, Skjerven og Trønnes har eller skal holde foredrag for Sanofi der nirsevimab er/vil bli omtalt.
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 ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
14.3 Andre relevante opplysninger?	Viser til DMPs metodevurdering og FHIs anbefaling for andre relevante opplysninger. Nirsevimab vil markedsføres i Norge fra og med 1.08. 2026.

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Forslag om vurdering eller revurdering av metoder som er prosedyrer eller organisatoriske tiltak i Nye metoder

Skjema for forslagsstiller

Fagpersoner, organisasjoner og andre kan foreslå at prosedyrer eller organisatoriske tiltak skal vurderes i en nasjonal metodevurdering.

En metodevurdering er en kunnskapsoppsummering som vanligvis vurderer klinisk effekt og sikkerhet, samt økonomiske konsekvenser. Organisatoriske, etiske og miljømessige forhold kan også inngå i vurderingen når det er relevant. For å gjennomføre en metodevurdering er det en forutsetning at det finnes dokumentasjon fra forskning. Bestillerforum for nye metoder tar stilling til om det skal gis et oppdrag om vurdering på bakgrunn av innsendte forslag.

Utfylt forslagsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no.

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no, og det er ikke anledning til å sende med vedlegg. Det er viktig at forslaget ikke inneholder helseopplysninger om enkeltpersoner. Forslaget skal heller ikke inneholde andre taushetsbelagte opplysninger som for eksempel avtalepriser.

Innhold – sjekk av opplysninger

Samtlige punkter må krysses av:

- Forslagsstiller er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet: ☒
- Forslagsstiller har ikke inkludert taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel helseopplysninger om enkeltpersoner eller avtalepriser: ☒
- Forslagsstiller har fylt ut punkt 8 nedenfor: «Interesser og eventuelle interessekonflikter»: ☒

Fyll ut dato for innsending av skjema: 25.06.2026

Mer informasjon om systemet for Nye metoder, finnes på nettsiden nyemetoder.no.

1: Kontaktopplysninger forslagsstiller	
1.1 Navn	Thomas Möller
1.2 Representasjon <i>Hvem sendes forslaget inn på vegne av?</i> <i>Oppgi arbeidssted, sykehusavdeling, organisasjon, pasientforening e.l. dersom aktuelt</i>	Leder, Norsk barnelegeforening (Fagmedisinsk forening i Den norske legeforening)
1.3 Telefonnummer	90149702
1.4 E-postadresse	leder@barnelegeforeningen.no / thomas.moller@ous-hf.no

2: Interesser og evt. interessekonflikter
<i>Beskriv forslagstillers relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som foreslås metodevurdert. Eksempler: Forslagsstiller har økonomiske interesser i saken. Forslagsstiller har eller har hatt oppdrag i forbindelse med, eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.</i>
Ingen interessekonflikter

3: Kort om metoden som foreslås	
3.1 Forslag til tittel <i>Prosedyre eller organisatorisk tiltak ved behandling av indikasjon / pasientgruppe</i>	RS-virus - immunprofylakse og vaksine til risikobarn
3.2 Hvis forslaget gjelder en ny vurdering av en metode som tidligere er vurdert i Nye metoder – fyll ut ID-nr.	Revurdering ☐ av ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
3.3 Om metoden <i>Beskriv kort hva forslaget omhandler, og om det dreier seg om å innføre en ny metode, vurdere en delvis innført metode eller vurdere en etablert metode i norsk helsetjeneste</i>	I Norge har man i over 20 år administrert et RSV-antistoff som profylakse mot alvorlige RSV infeksjoner til såkalte «risikobarn». NBF har gjennom sin spesialistgruppe innen nyfødtmedisin og andre pediatriske subspesialiteter i mange år formulert retningslinjer for indikasjon og bruk av RSV-profylakse med palivizumab (Synagis®) hos barn i risikogrupper. Refusjonen via HELFO har fulgt definisjonen i våre retningslinjer. Utviklingen av nyere langtidsvirkende antistoffpreparater har frembragt mer vitenskapelig dokumentasjon som etter fagmiljøets forståelse krever en ny revisjon av retningslinjene med en utvidelse av

	risikodefinisjonen. Den reviderte retningslinjen er gjenstand for denne søknaden.
--	---

Informasjon om PICO

PICO er et sentralt begrep i metodevurderinger, og opplysningene som innhentes her kan relateres til dette. PICO står for:

- P = pasientgruppe (populasjon)
- I = intervensjon (det aktuelle tiltaket)
- C = komparator (det man sammenligner med - typisk dagens standardbehandling)
- O = utfall / endepunkter (det man ønsker å måle)

PICO gir metodevurderingen en ramme ved å definere og avgrense hva som skal vurderes.

4: Foreslå hva som bør være hovedproblemstilling(er) for metodevurderingen, samt eventuelle underproblemstillinger, ved å angi PICO.

4.1 Pasientgruppe (P)	Premature barn født før svangerskapsuke 35 • Alle barn < 1 år og som utskrives fra sykehus < 6 måneder før sesongstart eller i RSV-sesongen • Premature barn i andre leveår med kronisk lungesykdom/BPD som har behov for oksygen i hjemmet. Barn yngre enn 2 år med hjertesykdom • Barn i første leveår med palliativ shunt, behandlingskrevende hjertesvikt, alvorlig pulmonal hypertensjon eller annen alvorlig tilstand der utsettelse av undersøkelser eller behandling av hjertesykdommen medfører risiko for barnet. • Barn i andre leveår med palliativ shunt, behandlingskrevende hjertesvikt, alvorlig pulmonal hypertensjon eller annen alvorlig tilstand der utsettelse av undersøkelser eller behandling av hjertesykdommen medfører risiko for barnet. Barn yngre enn 2 år med annen alvorlig kronisk sykdom • Barn i første leveår med langtids mekanisk ventilasjon, medfødte tilstander i luftveiene (anomalier), nevromuskulær sykdom og Downs syndrom. • Barn i første og andre leveår som er betydelig immunsupprimert i RSV-sesongen, f.eks. etter beinmargstransplantasjon eller SCID.
-----------------------	---

	Barn i andre leveår med langtids mekanisk ventilasjon, dersom betydelig tilleggsfaktor som hjerte- eller interstitiell lungesykdom med kronisk oksygenbehov.
4.2 Intervensjon (I)	Injeksjon av langtidsvirkende RSV-antistoff før sesongstart i første og eventuelt andre leveår
4.3 Sammenligning (Comparator) (C)	Ikke aktuelt
4.4 Utfallsmål (Outcome) (O)	Risiko for hospitalisering, respiratorbehandling eller død ved alvorlig RSV-infeksjon
4.5 Eventuelle kommentarer til PICO:	Viser til rapport fra FHI (lenke): Anbefaling om immunisering mot RSV for å beskytte spedbarn - FHI

5: Utfyllende informasjon om metoden	
5.1 Beskriv den foreslåtte metoden. Hva er begrunnelsen for at du/dere ønsker metoden vurdert?	Injeksjon av et antistoff-preparat mot RSV før/under RSV-sesong gjennom vinteren har vært praktisert hos spedbarn i risikogrupper i Norge og de fleste europeiske land i over 20 år. Dette har beskyttet særlig utsatte spedbarn mot alvorlige RSV-sykdomsforløp med risiko for hospitalisering, respiratorbehandling og død.
5.2 I hvilken grad er metoden i bruk i Norge og internasjonalt?	Inntil innføringen av RSV-immunisering som beskyttelse av alle spedbarn som nå gjøres i de fleste europeiske land så har denne praksisen vært vanlig i hele Europa og den vestlige verden.
5.3 Beskriv pasientgrunnlaget som forslaget omfattes av (hvilke pasienter, omfang/antall).	Etter den reviderte retningslinjen regnes det med at ca. 2000 barn per vintersesong vil falle innenfor risikodefinsjonen, mot tidligere 300-400 barn.
5.4 Vil metoden være et supplement til eksisterende metoder, eller vil eksisterende metoder kunne fases ut helt eller delvis?	Metoden vil i Norge ikke være et supplement, fordi Norge er sist ute i Europa med å innføre RSV-profylakse for alle spedbarn. Tidspunkt for denne innføringen er uviss. Hvis/når RSV-profylaksen for alle spedbarn innføres i Norge, vil behovet for særskilt beskyttelse av risikobarn reduseres, men ikke forsvinne helt. Skulle Norge (HOD) velge en vaksine-strategi hos alle gravide så vil ikke prematurt fødte barn være beskyttet, og andre barn i risikogrupper vil trenge tilleggsbeskyttelse med antistoff. Skulle Norge velge en profylaksestrategi

	med antistoff til alle barn, så vil det kun være nødvendig med antistoff i 2. leveår for noen få barn i Norge, trolig færre enn 50 barn per sesong.
5.5 Beskriv potensiell nytteverdi av å innføre metoden eller fase den ut.	Nytteverdien er grundig utredet og publisert høsten 2025 i rapporter fra FHI og DMP (se referanser)
5.6 Beskriv mulige uønskede hendelser/ bivirkninger (sikkerhet) knyttet til metoden.	Man ser relativt hyppig forekommende forbigående uspesifikke og milde systemiske symptomer etter injeksjon av antistoffpreparater slik som feber eller uvelhet/skrik.
5.7 Kan forslaget få konsekvenser for andre grupper enn aktuell pasientgruppe? F.eks. pårørende? Beskriv.	Nei
5.8 Er metoden i hovedsak innenfor spesialisthelsetjenestens finansieringsansvar? Beskriv dersom metoden har mulige konsekvenser ut over spesialisthelsetjenesten.	Utelukkende innenfor spesialisthelsetjenestens ansvar. Injeksjonen vil alltid foretas på sykehus før utskrivelse av risikobarn.
5.9 Anslå økonomiske konsekvenser av forslaget.	Utvidelse av risikodefinsjonen vil føre til en anslagsvis 7-dobling av antallet barn i risikogruppen som trolig vil kompenseres tilsvarende av en anslagsvis reduksjon i prisen for behandlingen til en 7-del (med forbehold om endelige prisavtaler). Tiltaket med RSV-immunisering er av DMP vurdert som kostnadsbesparende.
5.10 Beskriv personellmessige og organisatoriske konsekvenser av forslaget, inkludert tidsbruk og oppgavefordeling.	Minimal tidsbruk. Antistoffpreparatet vil administreres av helsepersonell under sykehusinnleggelsen av barn i risikogruppen.
5.11 Berører forslaget andre viktige forhold, som bør belyses, for eksempel etiske, juridiske eller miljø-/klimamessige konsekvenser, eller ulikhet i tilbud?	Nei
5.12 Kjenner du til om metoden er omtalt i nasjonale faglige retningslinjer eller handlingsprogrammer utarbeidet av Helsedirektoratet?	☐ Ja ☒ Nei Angi eventuelt hvilke og kommenter mulige behov for endringer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
5.13 Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)? Beskriv eventuelt stråling mht. ioniserende/ikke-ioniserende, eventuelt type strålekilde, utstyr, og stråleeksponering.	☐ Ja ☒ Nei Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

5.14 Har metoden påvirkning på strålerisiko (på pasient/personell-nivå eller på populasjonsnivå)? Beskriv påvirkning på strålerisiko	☐ Ja ☒ Nei Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
5.15 Oppgi referanser til dokumentasjon om effekt og sikkerhet (f.eks. kliniske studier, systematiske oversikter eller metodevurderinger) dersom du har kjennskap til dette. Oppgi inntil 10 sentrale referanser. Ikke send vedlegg.	1. Medicinrådet DK-Nirsevimab(Beyfortus) – RS-virus hos spedbørn. https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/n/nirsevimab-beyfortus-rs-virus-hos-spaedborn 2. Kampmann B, et al. Bivalent prefusion F vaccine in pregnancy to prevent RSV illness in infants. N Engl J Med 2023; 389: 1053-5. 3. Dieussaert I, et al. RSV prefusion F protein– based maternal vaccine — preterm birth and other outcomes. N Engl J Med 2024; 390:1009-21. 4. Wik G, et al. Unexpected death in children with severe congenital heart defects in Norway 2004–2016. Arch Dis Child 2021; 106:961-6. 5. Fernlund E, et al. Cost-effectiveness of palivizumab in infants with congenital heart disease: a Swedish perspective. J Congenit Heart Dis 2020 6. Andrea A. Beckhaus, Jose A. Castro-Rodriguez; Down Syndrome and the Risk of Severe RSV Infection: A Meta-analysis. Pediatrics September 2018; 142 (3): e20180225. 10.1542/peds.2018-0225 7. Nye Metoder (DMP-27.04.26): Klesrovimab (Enflonsia) https://www.nyemetoder.no/metoder/id2026_008/ 8. DMP- Metodevurdering av RSV-forebygging hos spedbarn (03.12.25) 9. Anbefaling om immunisering mot RSV for å beskytte spedbarn. FHI, sist oppdatert 06.03.26 https://www.fhi.no/publ/2025/anbefaling-om-immunisering-mot-rsv-for-a-beskytte-spedbarn/ 10. Forrige versjon av RSV-profylakse anbefalinger til risikobarn fra 09.06.24: https://www.helsebiblioteket.no/innhold/retningslinjer/pediatric/nyfodtmedisin-veiledende-prosedyrer-fra-norsk-barnelegeforening/4-infeksjoner/4.21-rs-virus-immunprofylakse-og-vaksine
5.16 Oppgi eventuell supplerende relevant informasjon (inntil 300 ord)	Utkastet til reviderte retningslinjer er 24.06.26 sendt inn til sekretariatet i Nye metoder og diskutert med medisinsk rådgiver Michael Vester.

	De reviderte retningslinjene er støttet og signert av Norsk barnelegeforening ved styret/leder, kvalitetsutvalet og interessegruppeledere for de berørte subspesialitetsgrupper (nyfødtmedisin, lungesykdommer, kardiologi, infeksjon/immunsykt)
--	--

Saksnummer 106-26 Oppsummering fra sekretariatet

Forslag: ID2026_028 Immunterapi til behandling ved PD-L1-positiv anaplastisk skjoldbruskkjertelkreft (ATC) ved inoperabel lokalavansert eller fjernmetastatisk sykdom

Kort om metoden fra forslaget:

- Forslagstiller er kliniker ved Oslo universitetssykehus.
- Aggressiv kreftform med kort forventet levetid.
- Forslaget sendes inn etter oppfordring av klinikkledelsen ved OUS CCC. Frem til nå er det søkt off-label tilgang for enkeltpasienter, men det er ønskelig å få behandlingsprinsippet metodevurdert for å etablere velbegrunnet og landsdekkende praksis.
- Foreligger lovende resultater fra fase II studier med spartalizumab. Utover denne studien preges litteraturen på feltet av en rekke mindre kohortstudier og kasuistikker der immunterapi ofte er gitt i kombinasjon med annen systembehandling (kjemoterapi, kinasehemmere), og i ulike faser av behandlingen (neo-adjuvant, adjuvant, palliativt).
- Da ATC er en svært sjelden kreftform med aggressivt forløp og lav overlevelse, er det svært krevende å gjennomføre større multisenterstudier, og det regnes som svært usannsynlig at de lovende resultatene fra fase II-studien med spartalizumab monoterapi vil følges opp av en fase III-studie, og påfølgende søknad fra legemiddelleverandør.
- En review/meta-analyse konkluderer med at immunterapi ved ATC er sikkert og fremviser effekt i flere studier, spesielt hos pasienter med PD-L1-uttrykk eller BRAF V600-mutasjoner.
- Det bemerkes at spartalizumab er den PD-1-hemmeren som er benyttet i studien som har sterkest evidens for effekt for monoterapi PD-1-hemmer, men da denne ikke er markedsført i Norge, og pembrolizumab har tilsvarende virkningsmekanisme og viser lovende tegn til effekt i andre studier (ofte som ledd i kombinasjonsbehandling), søkes om godkjenning av denne PD-1 hemmeren.
- Pasientene har ingen godkjente medikamentelle behandlingsprinsipper (utover dabrafenib / trametinib) ved BRAF V600-mutasjon.
- Tentativt 2-5 pasienter årlig.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Anmodningen gjelder bruk av en kjent legemiddelklasse til et bruksområde som ikke har markedsføringstillatelse (MT) i Europa/ Norge eller USA. Flere PD-(L)1-hemmere har MT i Norge, men for andre terapiområder enn det som gjelder for denne egnethetsvurderingen.
- Vurdering fra DMP:
 - o Studien av Capdevila og medforfattere har få inkluderte pasienter, hvorav 28 pasienter var PD-L1-positive. Grunnet det få antallet er det derfor usikkert om resultatene gjenspeiler eventuelle resultater i norsk klinisk praksis ved en innføring av immunterapi for denne pasientgruppen. Generelt er studiene som er utført på ATC små, ofte med 1 til 10 pasienter. De fleste studiene presenterer lengre median OS enn hva som er beskrevet i handlingsprogrammet, og kan reflektere både effekt av legemidler og pasientgrupper som ikke helt gjenspeiler pasientene i norsk klinisk praksis.
 - o DMP har gjort et forenklet litteratursøk for å få et inntrykk av dokumentasjonsomfanget for metoden (immunsjekkpunkthemmer ved aktuell indikasjon), inkludert eventuelt tidligere metodevurderinger på området:

- Det ble ikke identifisert tidligere relevante norske systematiske oversikter, metodevurderinger eller metodevarsler.
 - Det ble ikke funnet pågående eller fullførte relevante metodevurderinger internasjonalt.
 - Ingen relevante systematiske oversikter ble identifisert.
 - En relevant studie ble identifisert, som tidligere er beskrevet (Capdevila et al.).
 - Det er tillegg publisert flere rapporter av enkeltpasienter (case reports) som har mottatt immunterapi (herunder pembrolizumab, tislelizumab, nivolumab).
 - Noen mindre studier undersøker kombinasjonsbehandlinger som inkluderer immunterapi.
- Medisinsk fageksperter har anslått pasientantallet til å være mellom 2 og 5 nye pasienter årlig. Fagekspertene beskriver et stort klinisk behov for metoden, da sykdommen er aggressiv og det ikke er etablert noen systembehandling. På bakgrunn av pasientantallet antar DMP at budsjettvirkningene av immunterapi vil være beskjedne.
- Anbefaling: DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen, og vurderer at det ikke foreligger klinisk dokumentasjon som er egnet for en metodevurdering. En metodevurdering vil i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker. DMP anbefaler at videre saksgang diskuteres på Bestillerforum.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: 1 innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: 1 innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF): Ingen innspill.

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2026_028
Handelsnavn (virkestoff)	Immunterapi
Virkningsmekanisme	Antistoff som binder programmert celledød-1 (PD-1)-reseptoren og blokkerer interaksjonen med ligandene PD-L1 og PD-L2.
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder bruk av en kjent legemiddelklasse til et bruksområde som ikke har markedsføringstillatelse (MT) i Europa/ Norge eller USA. Flere PD-(L)1-hemmere har MT i Norge, men for andre terapiområder enn det som gjelder for denne egnethetsvurderingen.
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? Ja ☐ Nei ☒
Bruksområde	Immunterapi som monoterapi ved inoperabelt lokalavansert eller fjernmetastatisk anaplastisk skjoldbruskkjertelkreft med PD-L1 uttrykk.
Forventet dosering	Dosering forventes å være i henhold til relevant preparatomtale.
Forslag	Forslag om nasjonal metodevurdering
Innsendt av	Ellen Hallan Naderi, Oslo Universitetssykehus
Bakgrunn	Anaplastisk skjoldbruskkjertelkreft (ATC) er den mest aggressive formen for skjoldbruskkjertelkreft. Pasientene presenterer typisk med raskt voksende, lokalavansert sykdom i halsen, og mange har allerede fjernmetastaser ved diagnosetidspunktet. Prognosen er svært dårlig, med en median overlevelse på rundt 4 måneder og 5-årsoverlevelse under 10 % ¹. Det er begrenset dokumentasjon for effekt av systemisk tumorrettet behandling. Med unntak av pasienter med spesifikke genetiske variasjoner som kan ha nytte av tilgjengelig målrettet behandling, har man ved fjernmetastatisk ATC ingen etablert/dokumentert onkologisk behandling med effekt på OS og livskvalitet. Handlingsprogrammet beskriver en relevant studie av Capdevila og medforfattere som undersøker immunterapi monoterapi. Studien undersøkte spartalizumab (en PD-1-hemmer) hos 42 pasienter med ATC ². Denne fase I/II-studien viste resultater bedre enn hva som kan forventes i dagens kliniske praksis. Pasienter med høyere PD-L1-uttrykk hadde bedre responsrate og overlevelse sammenlignet med de som hadde lavere PD-L1-uttrykk. PD-L1 positive (n = 28) hadde en objektiv responsrate (ORR) på 29 %, mens pasienter med PD-L1 uttrykk ≥5 hadde en ORR på 35 %. 1-års progresjonsfri overlevelse (PFS) rate var på 0 % for subgruppen med PD-L1 <1 %, 20 % for de med PD-L1 mellom 1 % og 49 %, og for gruppen med PDL1-uttrykk ≥ 50 % var raten på 29 %. Totaloverlevelsen korrelerte også med PD-L1-status. Median totaloverlevelse var 1,6 måneder hos de 12 pasientene med PD-L1-uttrykk < 1 %, mens median totaloverlevelse ennå ikke var nådd hos pasienter med positivt PD-L1-uttrykk. Median behandlingstid med spartalizumab var 8 uker (range 1,7 – 113,6 uker).

¹ Medikamentell kreftbehandling ATC - Helsedirektoratet

2 PD-1 Blockade in Anaplastic Thyroid Carcinoma

	En annen studie har undersøkt pembrolizumab i kombinasjon med lenvatinib (kinasehemmer) ³ ⁴ . Studien blir beskrevet i handlingsprogrammet ⁵ , og hos fire av seks ATC-pasienter tilkom komplett respons med median progresjonsfri overlevelse 16,5 mnd.
Begrunnelse i forslag	For relevant pasientgruppe blir immunterapi ofte benyttet off-label. Ved en eventuell innføring vil det sikres lik tilgang uavhengig av behandler og behandlingssted.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Immunterapi kan være aktuell som behandling av pasientene forslaget gjelder. Medisinsk fagekspert beskriver at i dagens kliniske praksis søker behandler fagdirektør om godkjenning av pembrolizumab, noe som medfører tidsbruk på å lage søknad, samt å få den godkjent. Studien av Capdevila og medforfattere har få inkluderte pasienter, hvorav 28 pasienter var PD-L1-positive. Grunnet det få antallet er det derfor usikkert om resultatene gjenspeiler eventuelle resultater i norsk klinisk praksis ved en innføring av immunterapi for denne pasientgruppen. Generelt er studiene som er utført på ATC små, ofte med 1 til 10 pasienter. De fleste studiene presenterer lengre median OS enn hva som er beskrevet i handlingsprogrammet, og kan reflektere både effekt av legemidler og pasientgrupper som ikke helt gjenspeiler pasientene i norsk klinisk praksis. DMP har gjort et forenklet litteratursøk for å få et inntrykk av dokumentasjonsomfanget for metoden (immunsjekkpunkthemmer ved aktuell indikasjon), inkludert eventuelt tidligere metodevurderinger på området: - Det ble ikke identifisert tidligere relevante norske systematiske oversikter, metodevurderinger eller metodevarsler. - Det ble ikke funnet pågående eller fullførte relevante metodevurderinger internasjonalt. - Ingen relevante systematiske oversikter ble identifisert. - En relevant studie ble identifisert, som tidligere er beskrevet (Capdevila et al.). - Det er tillegg publisert flere rapporter av enkeltpasienter (<i>case reports</i>) som har mottatt immunterapi (herunder pembrolizumab, tislelizumab, nivolumab). - Noen mindre studier undersøker kombinasjonsbehandlinger som inkluderer immunterapi. Medisinsk fagekspert har anslått pasientantallet til å være mellom 2 og 5 nye pasienter årlig. Fagekspertene beskriver et stort klinisk behov for metoden, da sykdommen er aggressiv og det ikke er etablert noen systembehandling. På bakgrunn av pasientantallet antar DMP at budsjettvirkningene av immunterapi vil være beskjedne.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen, og vurderer at det ikke foreligger klinisk dokumentasjon som er egnet for en metodevurdering. En metodevurdering vil i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker. DMP anbefaler at videre saksgang diskuteres på Bestillerforum.

³ [Final results for lenvatinib/pembrolizumab in metastasized anaplastic and poorly differentiated thyroid carcinoma](#)

⁴ [Combination of Lenvatinib and Pembrolizumab Is an Effective Treatment Option for Anaplastic and Poorly Differentiated Thyroid Carcinoma](#)

⁵ [Medikamentell kreftbehandling - Helsedirektoratet](#)

Versjonslogg*

Dato	Hva
11.08.2026	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](https://legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.

Forslag om nasjonal metodevurdering

Viktig informasjon – se på dette først og husk å krysse av!

- Innsendte forslag til nasjonale metodevurderinger vil bli publisert i sin helhet. Har du informasjon du mener ikke kan offentliggjøres, ta kontakt med sekretariatet før innsending.
Forslagsstiller er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (kryss av): ☒
- Forslagsstiller har fylt ut punkt 18 nedenfor: «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av): ☒
- Dette skjemaet brukes for å sende inn forslag om metodevurdering på nasjonalt nivå i Nye metoder. Skjemaet gjelder ikke forslag om forskningsprosjekter. En metodevurdering er en type kunnskapsoppsummering, og for at en slik skal kunne utføres, behøves dokumentasjon eksempelvis fra gjennomførte kliniske studier. Manglende dokumentasjonsgrunnlag kan være en av årsakene til at Bestillerforum RHF ikke gir oppdrag om en metodevurdering.
- Hvis forslaget gjelder et medisinsk utstyr, er forlagsstiller kjent med dokumentet [Veiledende kriterier for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder](#) (link) (kryss av): ☐

Opplysninger om forlagsstiller

Navn/kontaktperson	Elin Hallan Naderi
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Oslo Universitetssykehus
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	elinad@ous-hf.no
Dato for innsending av forslag	05.05.26

Opplysninger om metoden som foreslås

1. Forslagstillers tittel på forslaget:*

*Denne kan endres under den videre behandlingen i systemet for Nye metoder:

Pembrolizumab ved inoperabelt lokalavansert eller fjernmetastatisk anaplastisk skjoldbruskkjertelkreft med PD-L1 uttrykk.

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Pembrolizumab ved inoperabel lokalavansert eller fjernmetastatisk anaplastisk skjoldbruskkjertelkreft (ATC) med detekterbart PD-L1-uttrykk.

3. Gi en kort begrunnelse for hvorfor det er viktig at metodevurderingen som foreslås bør gjennomføres:

ATC er en svært aggressiv kreftform med kort forventet levetid uten etablert tilbud om systemisk tumorrettet behandling med veldokumentert effekt på overlevelse eller livskvalitet med unntak av BRAF-/MEK-inhibisjon ved BRAF V600-mutert sykdom. Grunnet sykdommens naturlig aggressive forløp, haster det å komme i gang med behandling etter diagnose. Off-label søknad om pembrolizumab på enkeltpasientnivå har erfaringsmessig ofte blitt godkjent ved PD-L1-positiv sykdom, men medfører risiko for rask progresjon og mulig prognosetap mens man avventer beslutning og innebærer også risiko for ulik tilgang til behandlingen på tvers av helseforetak. Det foreligger lovende resultater fra fase II-studie med spartalizumab. Utover denne studien preges litteraturen på feltet av en rekke mindre kohortstudier og kasuistikker der immunteapi ofte er gitt i kombinasjon med annen systembehandling (kjemoterapi, kinasehemmere), og i ulike faser av behandlingen (neo-adjuvant, adjuvant, palliativt). Disse er sammenfattet og evaluert i vedlagt systematisk review/meta-analyse som konkluderer med at immunterapi ved ATC er sikkert og fremviser effekt i flere studier, spesielt hos pasienter med PD-L1-uttrykk eller BRAF V600-mutasjoner. Da ATC er en svært sjelden kreftform med aggressivt forløp og lav overlevelse, er det svært krevende å gjennomføre større multisenterstudier, og det regnes som svært usannsynlig at de lovende resultatene fra fase II-studien med spartalizumab monoterapi vil følges opp av en fase III-studie, og påfølgende søknad fra legemiddelleverandør. Av den grunn vurderes det hensiktsmessig av meg som fagansvarlig for onkologisk behandling av skjoldbruskkertelkreft ved OUS å søke om vurdering i Nye metoder med håp om godkjennelse i Beslutningsforum som sikrer rask og forutsigbar tilgang til behandlingen. Det bemerkes at spartalizumab er den PD-1-hemmeren som er benyttet i studien som har sterkest evidens for effekt for monoterapi PD-1-hemmer, men da denne ikke er markedsført i Norge, og pembrolizumab har tilsvarende virkningsmekanisme og viser lovende tegn til effekt i andre studier (ofte som ledd i kombinasjonsbehandling), søkes om godkjennelse av denne PD-1 hemmeren.

4. Foreslå hva som bør være hovedproblemstilling(er) for metodevurderingen, samt eventuelle underproblemstillinger. For deg som er kjent med «PICO (Patient, Intervention, Comparator, Outcome) -begrepet», inkluder gjerne tentativt forslag til PICO.*

Pasientpopulasjon: Sparsom evidens for medikamenteffekt (fase II-studie og mindre pasientserier) men grunnet lav insidens og svært aggressiv sykdom med kort forventet levetid er det lite sannsynlig at man vil få vesentlig bedre eller flere. Pasientene har ingen godkjente medikamentelle behandlingsprinsipper (utover dabrafenib/trametinib ved BRAF V600-mutasjon)

Intervensjon: Pembrolizumab er valgt til tross for at spartalizumab er medikamentet som er benyttet i den største studien jeg refererer til da spartalizumab ikke er tilgjengelig i Norge og pembrolizumab viser tegn til effekt i mindre studier. Må vurdere cost-benefit opp mot komparator.

Komparator: Best supportive care med kort forventet levetid (få måneder)

Utfall: Progresjonsfri overlevelse og livskvalitet

*PICO er et verktøy for å formulere presise problemstillinger i metodevurderingsarbeid. PICO er en forkortelse for Population/Problem – Intervention – Comparison – Outcome. PICO brukes til å presisere hvilken populasjon/problem som skal studeres, hvilke(t) tiltak (metode/behandling) som skal vurderes, hvilket tiltak det er naturlig å sammenligne med, og hvilke utfall/endepunkter det er relevant å måle/vurdere. PICO er viktig for planlegging og gjennomføring av en metodevurdering.

5. Kort beskrivelse av dagens tilbud (Hvilken metode brukes nå? Status for metoden (gir kurativ behandling, forlenget levetid etc.) Vil metoden som foreslås vurdert erstatte eller komme i tillegg til dagens tilbud?)

Ingen etablert eller forhåndsgodkjent behandling som har vist meningsfull forlengelse av overlevelse eller livskvalitet. Dagens tilbud vil således være «Best supportive care»

6. Forslaget gjelder:	Ja	Nei
En metode som er aktuell for spesialisthelsetjenesten	☒	☐
En ny og innovativ metode	☐	☒
Et nytt bruksområde, eller en ny indikasjon for en etablert metode	☒	☐
En sammenligning mellom flere metoder	☐	☒
Er metoden tatt i bruk?	☐	☐
Hvis ja – metode er tatt i bruk i klinisk praksis	☒	☐
Hvis ja – metode er tatt i bruk innen forskning/utprøving	☒	☐
Revurdering/utfasing av en metode som er tatt i bruk i klinisk praksis	☐	☒

Eventuelle kommentarer til bruken av metoden:

Per i dag søkes tilsvarende behandling tilbudt off-label på enkeltpasientnivå. Veletablert behandling i andre diagnoser der bivirkningsbildet er godt kjent og håndterbart

7. Hva omfatter metoden som foreslås (flere kryss mulig)?

Legemiddel ☒

Medisinsk utstyr som er CE-merket* ☐

*Angi klassifisering og bruksområde:

Medisinsk utstyr som ikke er CE-merket ☐

Prosedyre ☐

Screening ☐

Høyspesialiserte tjenester/nasjonale tilbud ☐

Organisatorisk oppsett av helsetjenesten ☐

Annet (beskriv) ☐

8. Finansieringsansvar Ja Nei

Har spesialisthelsetjenesten et finansieringsansvar for metoden i dag? ☒ ☐

Vil spesialisthelsetjenesten kunne få finansieringsansvar for metoden? ☐ ☐

Eventuelle kommentarer:

Finansieres av spesialisthelsetjenesten i dag når behandling innvilges per pasient etter off-label-søknad

9. Er metoden omtalt i nasjonale faglige retningslinjer eller handlingsprogrammer utarbeidet av Helsedirektoratet? Ja Nei

☒ ☐

Angi eventuelt hvilke og kommenter eventuelt behov for endringer:

Ja, i Nasjonale retningslinjer for skjoldbruskkjertelkreft, omtales studieresultater ved ATC med PD-1-hemmere: pembrolizumab i kombinasjon med lenvatinib eller dabrafenib/trametinib, og spartalizumab som monoterapi

10. Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)? Ja Nei

☐ ☒

Angi eventuelt type strålekilde, utstyr og stråleeksponering:

11. Hvilke fagområde(r) gjelder metoden, og hvilke pasienter berøres? (Får metoden evt. også konsekvenser for andre grupper (som personell, pårørende?))

Fagområde: onkologi. Pasienter: anaplastisk skjoldbruskkjertelkreft. Konsekvenser for andre grupper i forbindelse med tilberedning (apotek), administrering (sykepleiere), og oppfølging av pasienten utenfor helsetjenesten (pårørende) vil ikke skille seg fra det som allerede er vel etablert for bruk av immunterapi ved andre diagnosegrupper.

12. Hvilke aspekter er relevante for metodevurderingen? (flere kryss mulig)

Klinisk effekt	☒
Sikkerhet/bivirkninger	☒
Kostnader/ressursbruk	☒
Kostnadseffektivitet	☒
Organisatoriske konsekvenser	☐
Etiske	☐
Juridiske	☐

13. Kommenter metoden som forslås vurdert mht. følgende punkter:

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

Anaplastisk skjoldbruskkjertelkreft er en svært aggressiv kreftsykdom. Med unntak av pasienter med BRAF V600-mutasjon, som kan ha nytte av BRAF-/MEK-hemmerbehandling, har man ved fjernmetastatisk ATC ingen etablert/dokumentert onkologisk behandling med effekt på OS eller QoL, og median OS er 3-4 mnd.

Forventet effekt

Den største studien med PD-1-hemmer monoterapi ved ATC har vist responsrater per RECIST på 29% og 35 % når pasienter stratifiseres i henhold til PD-L1-uttrykk på hhv ≥ 1 % og > 50 %. 12-måned OS var 52 % og 12-måned PFS var 20 % og 29 % ved PD-L1-uttrykk på hhv ≥ 1 % og > 50 %. I forhold til historiske kontroller medfører dette en betydelig bedring av forventet PFS og OS for denne pasientgruppen. Progresjon av sykdommen medfører også typisk betydelig symptomtrykk for pasientene slik at responsrater på rundt 30 % også oppfattes meningsfulle med sannsynlig effekt på livskvalitet, men dette er ikke undersøkt direkte.

Sikkerhet og bivirkninger

PD-1-hemmere er veletablerte medikamenter i bruk ved en rekke indikasjoner med kjent og håndterbar bivirkningsprofil.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Tentativt 2-5 pasienter årlig

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Kostnader for legemiddel, tilberedning, administrering og oppfølging antas helt sammenliknbart med andre tumorgrupper der PD-1-hemmere er godkjent behandling

14. Oppgi referanser til dokumentasjon om metodens effekt og sikkerhet (eks. tidligere metodevurderinger). (Inntil 10 sentrale referanser oppgis. Ikke send vedlegg nå.)

1. [PD-1 Blockade in Anaplastic Thyroid Carcinoma - PubMed](#)
2. [Efficacy and safety of immunotherapy in anaplastic thyroid carcinoma: a systematic review and meta-analysis - PubMed](#)
3. [Thyroideakreft \(skjoldbruskkjertelkreft\) – handlingsprogram - Helsedirektoratet](#)
4. [Thyroid cancer: ESMO Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up† - Annals of Oncology](#)

15. Oppgi navn på produsenter/leverandører vedrørende metoden (dersom aktuelt/tilgjengelig):

MSD

16. Status for markedsføringstillatelse (MT) eller CE-merking: Når forventes MT- eller CE-merking? Eventuelt opplysning om planlagt tidspunkt for markedsføring.

Preparatet har markedsføringstillatelse i Norge med godkjent indikasjon for en rekke kreftsykdommer

17. Fritekstrubrikk (Supplerende relevant informasjon, inntil 300 ord.)

Søknaden sendes etter oppfordring av klinikkledelsen ved OUS CCC. Frem til nå er det søkt off-label tilgang for enkeltpasienter, men det er ønskelig å få behandlingsprinsippet metodevurdert for å etablere velbegrunnet og landsdekkende praksis.

18. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv forslagstillers relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som foreslås metodevurdert. (Eksempler: Forslagsstiller har økonomiske interesser i saken. Forslagsstiller har eller har hatt oppdrag i forbindelse med, eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.)

Ingen

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_028 Immunterapi til behandling ved PD-L1-positiv anaplastisk skjoldbruskkjertelkreft ved inoperabel lokalavansert eller fjernmetastatisk sykdom

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Ingen etablert behandling annet enn «best supportive care», dvs palliativ symptomlindrende behandling. Komparator: «Best supportive care»
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Ja, stort klinisk behov da sykdommen er aggressiv og det ikke finnes andre medikamentelle behandlinger. Det vil ikke bli brukt i stedet for annen behandling da det ikke finnes annen behandling Det foreslåtte metoden (Pembrolizumab) er svært sentral da den har vist seg å gi meningsfull effekt hos pasienter med svært kort forventet levetid.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Anaplastisk thyreoideacancer er en svært sjelden kreftsykdom med forekomst 0,4 pr 100000. Av disse er ca 50% PD-L1 positive og som er kandidater for den aktuelle metoden

4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Pr.nå søker vi til fagdirektør om godkjenning av bruk av Pembrolizumab. Våre søknader har hittill ikke blitt avslått. Det tar tid, både og lage søknaden samt å få den godkjent. Pasienter med en slik kreftsykdom har et aggressivt sykdomsforløp og hvor det er viktig å komme raskt i gang med behandling og der tiden det tar for å lage/godkjenne søknaden er lite meningsfull når den uansett blir godkjent.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	<i>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</i>

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Ingen interessekonflikter for metoden det gis innspill på

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	St.Olavs Hospital
Avdeling	Kreftklinikken
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Sunil Xavier Raj, Seksjonsoverlege, Kreftklinikken, St. Olavs Hospital
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2025_028

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Det er ingen etablert systembehandling. Lokal strålebehandling brukes gjerne i et forsøk på å oppnå lokal kontroll. Ved påvist BRAF mutasjon brukes BRAF-/MEK -hemmere Komparator bør være best supportive care
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Ja, det er et svært stort behov for metoden. Meget aggressiv sykdom med bare uker/ mnd forventet levetid uten behandling.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	2-5 pasienter/ år

4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).
Ingen

7. Avsender av faglig innspill	
Sykehus	Haukeland Universitetssjukehus
Avdeling	Kreftklinikken
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Anne Turid Bjørnevik, overlege
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Saksnummer 107-26 Oppsummering fra sekretariatet

Forslag om revurdering: ID2022_103 Selperkatinib (Retsevmo) til førstelinjebehandling av voksne og ungdom fra 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft.

Kort om metoden fra forslaget:

- Forslagsstiller er fagperson ved Oslo Universitetssykehus.
- Forslaget gjelder selperkatinib som førstelinjebehandling av voksne og barn over 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft. Selperkatinib er i dag innført som andrelinjebehandling etter vandetanib for ovenstående pasientgruppe.
- Forslagsstiller opplyser å ha vært i kontakt med leverandør (Eli Lilly Norge) for å høre om det forelå nye studiedata som skulle tilsi at medikamentet ikke burde vurderes i førstelinje, men dette synes ikke å være tilfelle. Leverandør har ikke anmodet om en ny vurdering.
- Dagens behandling: Per i dag brukes vandetanib i førstelinje. Selperkatinib er i dag tilgjengelig i andre eller senere linjer etter multikinasehemmer(e), og kun for voksne pasienter.
- Aktuell komparator: Selperkatinib foreslås primært vurdert opp mot vandetanib.
- Forslagsstiller begrunner forslaget med at metoden anses å representere et bedre tilbud for pasientene enn dagens behandling. Fase III-studien, som sammenliknet selperkatinib mot vandetanib eller kabozantinib i førstelinje ved RET-mutert MTC, viste fordelaktige data for selperkatinib for alle parametre.
- Metoden anslås å være aktuell for 5-10 pasienter årlig.
- Metoden vil ikke erstatte eller komme i tillegg til dagens tilbud, men innebærer å endre rekkefølge av tilgjengelige behandlinger.

Informasjon fra sekretariatet

- Sekretariatet har sendt henvendelse til leverandør (Eli Lilly) i mai 2026 og bedt om tilbakemelding på om de vil anmode om vurdering og om de planlegger å levere dokumentasjon til et eventuelt oppdrag.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Vurdering fra DMP:
 - o Aktuell indikasjon: monoterapi til behandling av voksne og ungdom fra 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbrusk-kjertelkreft (MTC). Indikasjonen har markedsføringstillatelse (MT) i Norge/Europa (02.09.2022).
 - o Det ble 29.08.2022 bestilt en forenklet metodevurdering av den aktuelle indikasjonen som ble avbestilt 28.04.2025 pga. manglende innsendt dokumentasjon fra firma. Forslaget gjelder en revurdering av denne.
 - o Det foreligger en åpen, randomisert fase III-studie i aktuell pasientpopulasjon, som sammenlikner behandling med selperkatinib med kabozantinib og/eller vandetanib (LIBRETTO-531). Begge komparatorerne i denne studien (kabozantinib, vandetanib) vurderes som aktuelle i norsk klinisk praksis.
 - o Legemidlet er markedsført i Norge og besluttet innført til følgende bruksområder:
 - Som monoterapi til behandling av voksne og ungdom over 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft (MTC) som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med kabozantinib og/eller vandetanib (ID2020_099).
 - Som monoterapi til behandling av voksne med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med sorafenib og/eller lenvatinib (ID2020_077).
 - Som monoterapi til behandling av voksne med avansert RET-fusjonspositiv ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) som ikke tidligere er behandlet med en RET-hemmer (ID2020_076/ID2022_118).

Anbefaling fra DMP:

- DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse). Imidlertid vurderer DMP at en metodevurdering uten helseøkonomisk analyse kan være hensiktsmessig i denne saken.

Elin Hallan Naderi

Forslag om nasjonal metodevurdering

Viktig informasjon – se på dette først og husk å krysse av!

- Innsendte forslag til nasjonale metodevurderinger vil bli publisert i sin helhet. Har du informasjon du mener ikke kan offentliggjøres, ta kontakt med sekretariatet [før innsending](#). **Forslagsstiller er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (kryss av):** ☒
- Forslagsstiller har fylt ut punkt 18 nedenfor: «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av): ☒
- Dette skjemaet brukes for å sende inn forslag om metodevurdering på nasjonalt nivå i Nye metoder. Skjemaet gjelder ikke forslag om forskningsprosjekter. En metodevurdering er en type kunnskapsoppsummering, og for at en slik skal kunne utføres, behøves dokumentasjon eksempelvis fra gjennomførte kliniske studier. Manglende dokumentasjonsgrunnlag kan være en av årsakene til at Bestillerforum RHF ikke gir oppdrag om en metodevurdering.
- Hvis forslaget gjelder et medisinsk utstyr, er forlagsstiller kjent med dokumentet [Veiledende kriterier for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder](#) (link) (kryss av): ☐

Opplysninger om forlagsstiller

Navn/kontaktperson	Elin Hallan Naderi
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Oslo Universitetssykehus CCC
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	elinad@ous-hf.no
Dato for innsending av forslag	08.05.26

Opplysninger om metoden som foreslås

1. Forslagstillers tittel på forslaget:*

*Denne kan endres under den videre behandlingen i systemet for Nye metoder:

Selperkatinib som førstelinjebehandling av voksne og barn over 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Selperkatinib er per i dag godkjent som andrelinje behandling etter vandetanib for ovenstående pasientgruppe, men ønskes vurdert godkjent i førstelinje.

3. Gi en kort begrunnelse for hvorfor det er viktig at metodevurderingen som foreslås bør gjennomføres:

Da selperkatinib ble godkjent som «Monoterapi til behandling av voksne og ungdom over 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft (MTC) som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med kabozantinib og/eller vandetanib» 21.10.24 (indikasjon III - ID2020_099), lå det parallelt inne et forslag om at medikamentet skulle vurderes godkjent som førstelinjebehandling for samme pasientgruppe (indikasjon IV, ID2022_103, sendt inn 16.06.2022). Vurdering/beslutning rundt dette forslaget var avventet, da overlegne fase I/II-data på respons og bivirkningsprofil sammenliknet med etablert førstelinjebehandling (multikinasehemmerne vandetanib eller kabozantinib) forelå (1,2,3), og det etter hvert også tilkom en positiv fase III-studie (4), samt svært gode langtidsoppfølgingsdata fra fase I/II-studie (5) som alt i alt tilsa at selperkatinib ville være et bedre tilbud for pasientene i førstelinje. Derimot ble det ved interregionalt fagdirektørmøte 28.04.2025 informert om at metoden var avbestilt av Bestillerforum, begrunnet med at leverandør ikke hadde levert dokumentasjon i henhold til forslaget.

Jeg har siden vært i kontakt med Eli Lilly Norge for å høre om det forelå nye studiedata som skulle tilsa at medikamentet ikke burde vurderes i førstelinje, men dette synes ikke å være tilfelle.

Da legemiddelfirmaet ikke har tatt initiativ til å reaktivere forslaget om godkjenning av selperkatinib i førstelinje for denne pasientgruppen, velger jeg som fagansvarlig for onkologisk behandling av skjoldbruskkjertelkreft ved Oslo Universitetssykehus å sende inn forslag om at metoden likevel tas opp til ny vurdering.

4. Foreslå hva som bør være hovedproblemstilling(er) for metodevurderingen, samt eventuelle underproblemstillinger. For deg som er kjent med «PICO (Patient, Intervention, Comparator, Outcome) -begrepet», inkluder gjerne tentativt forslag til PICO.*

Patient: Voksne og barn > 12 år ønskes vurdert for metoden

Intervention: Selperkatinib som førstelinje systemisk tumorrettet behandling

Comparator: Selperkatinib bes primært vurdert opp mot vandetanib. Litteratur og godkjenning i andrelinje nevner også kabozantinib, men kabozantinib i formuleringen Cometriq® (medikamentet som er godkjent for MTC) har siden blitt fjernet fra det norske markedet av leverandør, slik jeg har forstått det av rene markedshensyn (lave salgstall) og er således ikke lenger en relevant komparator.

Outcome: Responsrate, responsvarighet, progresjonsfri overlevelse, bivirkningsprofil, PRO-data, og tendenser i OS-data.

*PICO er et verktøy for å formulere presise problemstillinger i metodevurderingsarbeid. PICO er en forkortelse for Population/Problem – Intervention – Comparison – Outcome. PICO brukes til å presisere hvilken populasjon/problem som skal studeres, hvilke(t) tiltak (metode/behandling) som skal vurderes, hvilket tiltak det er naturlig å sammenligne med, og hvilke utfall/endepunkter det er relevant å måle/vurdere. PICO er viktig for planlegging og gjennomføring av en metodevurdering.

5. Kort beskrivelse av dagens tilbud (Hvilken metode brukes nå? Status for metoden (gir kurativ behandling, forlenget levetid etc.) Vil metoden som foreslås vurdert erstatte eller komme i tillegg til dagens tilbud?)

Per i dag er vandetanib godkjent som «Behandling av aggressiv og symptomatisk RET-mutert medullær tyreoidakreft (MTC) hos pasienter med inoperabel, lokalavansert eller metastatisk sykdom». Behandlingslinje er ikke spesifisert, men dette er i praksis førstelinjepreparatet da selperkatinib er godkjent i andre eller senere linje for tilsvarende indikasjon.

Metoden som foreslås ansees ikke å være ledd i et kurativt behandlingstilbud, selv om det er sett tilfeller av langvarig komplett remisjon ved bruk av selperkatinib. Oppfølgingstiden vurderes for kort til å konkludere med varig remisjon og opprettholdt remisjon etter seponering av behandlingen. Metoden vurderes således inntil videre å være ledd i et palliativt/livsforlengende behandlingstilbud.

Hovedbegrunnelsen for at metoden ønskes vurdert, er at den anses å representere et bedre tilbud for pasientene enn gjeldende metode. Fase III-studie som sammenliknet selperkatinib mot vandetanib eller kabozantinib i førstelinje ved RET-mutert MTC (4) viste fordelaktige data for selperkatinib for alle parametre: ORR 69,4% mot 38,8%, median PFS ikke nådd mot 16,8 mnd, PFS ved 12 mnd 86,8% mot 65,7%, dosereduksjon grunnet bivirkninger 38,9% mot 77,3%, behandlingsavbrudd 4,7% mot 26,8%. Til tross for overkrysningsdesign var det klar tendens mot bedret OS i gruppen som fikk selperkatinib i førstelinje, tydende på at rekkefølgen av medikamentene ikke er likegyldig for levetidsprognose. Data etter langtidsoppfølging av pasienter inkludert i fase I/II-studien LIBRETTO-001 (5) bekrefter opprettholdt, langvarig respons uten tegn til akkumulert toksisitet: 3-års PFS på 87,3% for pasienter som fikk selperkatinib i førstelinje. PRO- og QoL-data fra LIBRETTO-001-studien (6,7) viser videre at pasienter har bedret eller stabil livskvalitet og symptombyrde under pågående selperkatinib-behandling.

Metoden vil ikke erstatte eller komme i tillegg til dagens tilbud, det er her snakk om å endre rekkefølge av tilgjengelige behandlinger.

6. Forslaget gjelder:	Ja	Nei
En metode som er aktuell for spesialisthelsetjenesten	☒	☐
En ny og innovativ metode	☐	☒
Et nytt bruksområde, eller en ny indikasjon for en etablert metode	☒	☐
En sammenligning mellom flere metoder	☒	☐
Er metoden tatt i bruk?	☒	☐
Hvis ja – metode er tatt i bruk i klinisk praksis	☒	☐
Hvis ja – metode er tatt i bruk innen forskning/utprøving	☐	☐
Revurdering/utfasing av en metode som er tatt i bruk i klinisk praksis	☐	☐

Eventuelle kommentarer til bruken av metoden:

Selperkatinib er i dag tilgjengelig for aktuell indikasjon, men først i andre eller senere linjer etter multikinasehemmer.

7. Hva omfatter metoden som foreslås (flere kryss mulig)?

Legemiddel ☒

Medisinsk utstyr som er CE-merket* ☐

*Angi klassifisering og bruksområde:

Medisinsk utstyr som ikke er CE-merket ☐

Prosedyre ☐

Screening ☐

Høyspesialiserte tjenester/nasjonale tilbud ☐

Organisatorisk oppsett av helsetjenesten ☐

Annet (beskriv) ☐

8. Finansieringsansvar Ja Nei

Har spesialisthelsetjenesten et finansieringsansvar for metoden i dag? ☒ ☐

Vil spesialisthelsetjenesten kunne få finansieringsansvar for metoden? ☒ ☐

Eventuelle kommentarer:

9. Er metoden omtalt i nasjonale faglige retningslinjer eller handlingsprogrammer utarbeidet av Helsedirektoratet? Ja Nei

☒ ☐

Angi eventuelt hvilke og kommenter eventuelt behov for endringer:

Ja, metoden er omtalt i gjeldende retningslinjer (8) som godkjent i andrelinje. Det står samtidig opplyst om at metoden er til vurdering i førstelinje, da dette var gjeldende da de aktuelle retningslinjene ble forfattet (under pågående revisjon), men denne metodevurderingen er altså siden trukket tilbake.

10. Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)? Ja Nei

☐ ☒

Angi eventuelt type strålekilde, utstyr og stråleeksponering:

11. Hvilke fagområde(r) gjelder metoden, og hvilke pasienter berøres? (Får metoden evt. også konsekvenser for andre grupper (som personell, pårørende?))

Metoden gjelder onkologi og vil berøre pasienter med RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft med inoperabel lokalavansert eller fjernmetastatisk sykdom som ikke er tilgjengelig for lokale tumorrettede tiltak og vurderes å være i behov av systembehandling. Metoden vurderes ikke å få vesentlige konsekvenser for andre grupper, da alternativet for denne pasientgruppen per i dag også er medikamentell kreftbehandling med nokså tilsvarende oppfølgingsbehov og metoden allerede er godkjent i andrelinje.

12. Hvilke aspekter er relevante for metodevurderingen? (flere kryss mulig)

- | | |
|------------------------------|-------------------------------------|
| Klinisk effekt | ☒ |
| Sikkerhet/bivirkninger | ☒ |
| Kostnader/ressursbruk | ☒ |
| Kostnadseffektivitet | ☒ |
| Organisatoriske konsekvenser | ☐ |
| Etiske | ☐ |
| Juridiske | ☐ |

13. Kommenter metoden som forslås vurdert mht. følgende punkter:

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

Avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft er en inkurabel sykdom med betydelig morbiditet knyttet til progresjon lokoregionalt på hals eller av fjernmetastaser og har dødelig utfall. Progresjonshastighet og levetidsprognose vil kunne variere betydelig med mellom pasienter, og tidspunkt for innsetting av systemisk tumorrettet behandling vil derfor vurderes individuelt utfra sykdomsbyrde, symptombyrde og progresjonstakt.

Forventet effekt

Gitt høy responsrate og lang progresjonsfri overlevelse forventes behandlingen å kunne redusere morbiditet knyttet til tumorvolum og forsinke ny morbiditet knyttet til videre progresjon. PRO-data viser i tillegg at en stor andel av pasientene opplever langvarig bedret eller stabil livskvalitet, funksjonsskår, samt redusert symptombyrde etter oppstart av selperkatinib. Fase III-studien som sammenlikner førstelinje selperkatinib mot multikinasehemmere viser tross overkrysningsdesign også tendens til økt totaloverlevelse.

Sikkerhet og bivirkninger

Bivirkningsprofilen til selperkatinib er etter hvert veldokumentert gjennom studier. Sammenliknende tall fra fase II og fase III-studier tyder på at bivirkningsbelastningen ved selperkatinib er mindre enn for vandetanib, og at dette resulterer i mindre hyppig behov for dosereduksjoner og behandlingsavbrudd. Vi har allerede klinisk erfaring med bruk av selperkatinib i andrelinje og oppfatter bivirkningsprofilen å være svært håndterbar innen vanlig klinisk praksis.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Noe vanskelig å estimere, men kanskje 5-10 årlig

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

På bakgrunn av prisinformasjon i Felleskatalogen (jeg har ikke oversikt over eventuelle prisavtaler utover dette), vil medikamentkostnadene være relativt sammenliknbare, men noe høyere ved oppstart av selperkatinib 160 mg x 2 sammenliknet med vandetanib 300 mg x 1. Bedre toleranse og responsvarighet, mer gunstig bivirkningsprofil og bedret livskvalitet på selperkatinib sammenliknet med vandetanib vil kunne redusere behov for oppfølgingstimer, støttebehandling og billediagnostikk, og dette vil kunne virke gunstig på ressursbruk. Ved eventuelt senere bytte fra første- til andrelinjebehandling vil dette bli det snus, så totalt forventes ikke ressursbruken å ville påvirkes vesentlig.

14. Oppgi referanser til dokumentasjon om metodens effekt og sikkerhet (eks. tidligere metodevurderinger). (Inntil 10 sentrale referanser oppgis. Ikke send vedlegg nå.)

1. [Efficacy of Selpercatinib in RET-Altered Thyroid Cancers - PubMed](#)
2. [Vandetanib in patients with locally advanced or metastatic medullary thyroid cancer: a randomized, double-blind phase III trial - PubMed](#)
3. [Overall survival analysis of EXAM, a phase III trial of cabozantinib in patients with radiographically progressive medullary thyroid carcinoma - PubMed](#)
4. [Phase 3 Trial of Selpercatinib in Advanced RET-Mutant Medullary Thyroid Cancer - PubMed](#)
5. [Durability of Response With Selpercatinib in Patients With RET-Activated Thyroid Cancer: Long-Term Safety and Efficacy From LIBRETTO-001 - PubMed](#)
6. [Patient-Reported Outcomes with Selpercatinib Treatment Among Patients with RET-Mutant Medullary Thyroid Cancer in the Phase I/II LIBRETTO-001 Trial - PubMed](#)
7. [Patient-reported outcomes with selpercatinib treatment in patients with RET-driven cancers in the phase I/II LIBRETTO-001 trial - PubMed](#)
8. [Thyroideakreft \(skjoldbruskkjertelkreft\) – handlingsprogram - Helsedirektoratet](#)

15. Oppgi navn på produsenter/leverandører vedrørende metoden (dersom aktuelt/tilgjengelig):

Eli Lilly Norge AS

16. Status for markedsføringstillatelse (MT) eller CE-merking: Når forventes MT- eller CE-merking?
Eventuelt opplysning om planlagt tidspunkt for markedsføring.

Medikamentet har markedsføringstillatelse

17. Fritekstrubrikk (Supplerende relevant informasjon, inntil 300 ord.)

18. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv forslagstillers relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som foreslås metodevurdert. (Eksempler: Forslagsstiller har økonomiske interesser i saken. Forslagsstiller har eller har hatt oppdrag i forbindelse med, eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.)

Ingen

MEgnethetsvurdering

ID-nummer	ID2022_103
Handelsnavn (virkestoff)	Retsevmo (selperkatinib)
Virkningsmekanisme	Selperkatinib er en hemmer av RET («REarranged during Transfection») reseptortyrosinkinase. RET-proteinet bidrar under normale omstendigheter til cellevekst, celledeling og differensiering. Unormal RET-aktivering forekommer gjennom mutasjoner og fusjoner i RET-genet. Visse punktmutasjoner i RET kan virke som onkogene drivere ved å fremme celleproliferasjon av tumorcellelinjer. Selperkatinib utøver antitumor aktivitet gjennom hemming av villtype RET og multiple muterte RET-isoformer, i tillegg til vaskulær endotelial vekstfaktor reseptor (VEGFR1 og VEGFR3).
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder revurdering av en indikasjonsutvidelse for et kjent virkestoff. Indikasjonen har markedsføringstillatelse (MT) i Norge/Europa. Legemiddelet er markedsført i Norge og er besluttet innført (21.10.2024) av Beslutningsforum for nye metoder til følgende bruksområder: - Som monoterapi til behandling av voksne og ungdom over 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft (MTC) som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med kabozantinib og/eller vandetanib (ID2020_099). - Som monoterapi til behandling av voksne med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med sorafenib og/eller lenvatinib (ID2020_077). - Som monoterapi til behandling av voksne med avansert RET-fusjonspositiv ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) som ikke tidligere er behandlet med en RET-hemmer (ID2020_076/ID2022_118).
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? Ja ☐ Nei ☒
Aktuell indikasjon	Retsevmo som monoterapi er indisert til behandling av voksne og ungdom fra 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbrusk-kjertelkreft (MTC).
Dosering	Administreres peroralt (tabletter). Den anbefalte dosen av Retsevmo basert på kroppsvekt er: - Mindre enn 50 kg: 120 mg to ganger daglig - 50 kg eller mer: 160 mg to ganger daglig Behandling skal fortsettes inntil sykdomsprogresjon eller uakseptabel toksisitet.
Forslag	Forslag om nasjonal metodevurdering (revurdering)
Innsendt av	Elin Hallan Naderi, Oslo Universitetssykehus

Bakgrunn	En forenklet metodevurdering, med en vurdering av effekt og sikkerhet for selperkatinib (Retsevmo) som monoterapi til førstelinjebehandling av pasienter fra 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft, ble opprinnelig bestilt av Bestillerforum for nye metoder (29.08.2022). Denne ble senere avbestilt (28.04.2025), ettersom leverandør ikke leverte dokumentasjon i henhold til oppdraget. Det foreligger en beslutning om at metoden ikke skal benyttes til den aktuelle indikasjonen. Det har nå kommet et forslag om revurdering av metoden fra det kliniske fagmiljøet. Det foreligger et nasjonalt handlingsprogram for thyroideakreft (skjoldbruskkjertelkreft)¹. Dagens behandling av avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft (MTC) i førstelinje er enten vandetanib eller kabozantinib (kun voksne²). For å starte behandling skal det foreligge progresjon av sykdommen og med symptomgivende eller truende metastaser. Det er ikke etablert hvorvidt vandetanib eller kabozantinib bør velges i førstelinje. I andrelinje benyttes det alternativet som ikke ble brukt i førstelinje. Også selperkatinib er innført som andrelinjebehandling etter tidligere behandling med kabozantinib og/eller vandetanib (ID2020_099). Tradisjonell cellegiftbehandling er ikke effektiv ved MTC. Vandetanib og kabozantinib var tidligere finansiert via blåreseptordningen, men siden mai 2017 har de regionale helseforetakene overtatt finansieringsansvaret. Legemidlene har derfor ikke tidligere blitt metodevurdert til den aktuelle indikasjonen, og kostnadseffektiviteten er dermed ikke etablert. Selperkatinib fikk betinget markedsføringstillatelse (MT) i Norge/EU 11.02.2021 som monoterapi til behandling av voksne og ungdom over 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft (MTC) som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med kabozantinib og/eller vandetanib^{3 4}. Denne indikasjonen ligger til grunn ved den tidligere metodevurderingen av selperkatinib (ID2020_099). Selperkatinib fikk senere (02.09.2022) MT for indikasjonsutvidelsen som gjelder førstelinjebehandling, og som omhandles i denne egnethetsvurderingen (dvs. til behandling av pasienter fra 12 år og eldre med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft [MTC])^{5 6}.
-----------------	---

¹ Nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av pasienter med thyroideakreft. Oslo: Helsedirektoratet (siste faglige endring 26.09.2025). Tilgjengelig fra: <https://www.helsedirektoratet.no/retningslinjer/thyroideakreft-skjoldbruskkjertelkreft-handlingsprogram>

² Cometriq (kabozantinib) er indisert til behandling av voksne pasienter med progressiv inoperabel lokalavansert eller metastatisk medullær thyroideakarsinom.

³ Summary of opinion (initial authorisation): https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-retsevmo_en.pdf

⁴ Assessment report - Retsevmo (selperkatinib) (10.12.2020): https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/retsevmo-epar-public-assessment-report_en.pdf

⁵ Summary of opinion (post authorisation): https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop/chmp-post-authorisation-summary-positive-opinion-retsevmo-ii-0014-g_en.pdf

⁶ Assessment report - Retsevmo (selperkatinib) (21.07.2022): https://www.ema.europa.eu/en/documents/variation-report/retsevmo-h-c-005375-ii-0014-g-epar-assessment-report-variation_en.pdf

	Studiene som i all hovedsak ligger til grunn for MT er LIBRETTO-001⁷ og LIBRETTO-531⁸. LIBRETTO-001 er en åpen, énarmet, multikohort, fase I/II-studie. Fase I var doseeskalerende, mens fase II innrullerte pasienter over 12 år med bl.a. avansert RET-mutert MTC (5 ulike kohorter). Det primære effektendepunktet er objektiv responsrate (ORR), og sekundære effektendepunkt inkluderer varighet av respons (DOR), progresjonsfri overlevelse (PFS) og totaloverlevelse (OS). Studien pågår fortsatt, men er lukket for videre inklusjon, og er estimert avsluttet i februar 2027. Effekten av selperkatinib ved RET-mutert MTC ble bekreftet i LIBRETTO-531-studien⁹, en åpen, randomisert, aktiv kontrollert, fase III-studie som sammenlikner selperkatinib med legens valg av kabozantinib eller vandetanib hos pasienter med progressiv, avansert kinasehemmernaiv RET-mutert MTC (n=291). Det primære effektendepunktet er PFS, og sekundære effektendepunkt inkluderer behandlingssviktfri overlevelse (TFFS), ORR, DOR og OS. Studien pågår fortsatt, men er lukket for videre inklusjon, og er estimert avsluttet i november 2027. Det foreligger tilgjengelige (publiserte) interimdata fra denne studien (datakutt 22.05.2023). Studien møtte det primære effektendepunktet med bedring av PFS i ITT-populasjonen, der median PFS ikke var nådd i selperkatinib-armen, mens den var 16,8 måneder i komparatorarmen (kabozantinib eller vandetanib) (HR: 0,280; 95 % KI: 0,165 - 0,475; p <0,0001). PFS-rate ved 30 måneder var 76,4 % i selperkatinib-armen og 24,8 % i komparatorarmen. ORR var 69,4 % i selperkatinib-armen (komplett respons 11,9 %), mens den var 38,8 % (komplett respons 4,1 %) i komparatorarmen. Det er få pasienter aktuelle for behandling med selperkatinib ved aktuell indikasjon, og forslagstiller anslår dette til om lag 5-10 pasienter årlig. Metoden anses ikke kurativ, men vil være et ledd i et palliativt/livsforlengende behandlingstilbud.
Preliminær PICO¹⁰	P: I tråd med godkjent indikasjon (hele populasjonen). I: Selperkatinib brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtalen. C: Dagens standardbehandling, i henhold til nasjonalt handlingsprogram for thyroideakreft (skjoldbruskkjertelkreft), dvs. kabozantinib eller vandetanib. O: Overlevelse (PFS, OS), helserelatert livskvalitet, ressursbruk.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Det har tidligere (29.08.2022) blitt bestilt en forenklet metodevurdering, med en vurdering av effekt og sikkerhet for selperkatinib (Retsevmo) som monoterapi til førstelinjebehandling av pasienter fra 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft. Denne ble senere (28.04.2025) avbestilt pga. manglende innsendt dokumentasjon fra firma. Forslaget gjelder en revurdering av denne.

⁷ LIBRETTO-001: [NCT02157128](#)

⁸ LIBRETTO-531: [NCT04211337](#)

⁹ LIBRETTO-531: [NCT04211337](#)

¹⁰ Pasientpopulasjon, intervensjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering

	Det foreligger en åpen, randomisert fase III-studie i aktuell pasientpopulasjon, som sammenlikner behandling med selperkatinib med kabozantinib og/eller vandetanib (LIBRETTO-531). Begge komparatorene i denne studien (kabozantinib, vandetanib) vurderes som aktuelle i norsk klinisk praksis per i dag. I henhold til innspill fra forslagsstiller bør selperkatinib primært vurderes opp mot vandetanib. Dette begrunnes med at kabozantinib (Cometriq), som er preparatet som har godkjent indikasjon til behandling av MTC, ikke lenger er markedsført i Norge (har status som midlertidig utgått) og er dermed ikke lenger en relevant komparator. Det finnes imidlertid en annen formulering av kabozantinib (tabletter) som markedsføres i Norge under handelsnavnet Cabometyx. Dette preparatet har riktignok ikke godkjent indikasjon til behandling av MTC. Kabozantinib (Cometriq) er kun indisert til bruk hos voksne pasienter, til forskjell fra vandetanib (Caprelsa) som er indisert til bruk hos voksne, ungdom og barn fra 5 år og oppover.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse). Imidlertid vurderer DMP at en metodevurdering uten helseøkonomisk analyse kan være hensiktsmessig i denne saken.

Versjonslogg*

Dato	Hva
11.08.2026	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](https://legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.

Saksnummer 108-26 Oppsummering fra sekretariatet

Forslag om revurdering: ID2023_041 Selperkatinib (Retsevmo) til førstelinjebehandling av voksne og ungdom fra 12 år med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft

Kort om metoden fra forslaget:

- Forslagsstiller er fagperson ved Oslo Universitetssykehus.
- Forslaget gjelder selperkatinib som førstelinjebehandling av avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft. Selperkatinib er innført som andrelinjebehandling etter sorafenib og/eller lenvatinib.
- Forslagsstiller har vært i kontakt med leverandør (Eli Lilly Norge) for å høre om det forelå nye studiedata som skulle tilsa at medikamentet ikke burde vurderes i førstelinje, men dette synes ikke å være tilfelle. Leverandør har ikke anmodet om en ny vurdering.
- Forslagsstiller viser til publiserte oppfølgingsdata fra fase I/II-studien LIBRETTO- 001 som viser vedvarende høy tumorrespons over tid og stabil bivirkningsprofil, samt at det er internasjonal konsensus om at selperkatinib er det foretrukne medikamentet å kunne tilby i førstelinje fremfor multikinasehemmerne lenvatinib eller sorafenib.
- Bivirkningsbelastningen ved selperkatinib antas å være mindre enn for aktuelle multikinasehemmere.
- Metoden anses ikke kurativ, men å være ledd i et palliativt/livsforlengende behandlingstilbud.
- Aktuell komparator: Selperkatinib bes primært vurdert opp mot lenvatinib, eventuelt også sorafenib, men sistnevnte har ifølge forslagsstiller en mindre plass i behandlingen av TC.
- Metoden anslås å være aktuell for 5-10 pasienter årlig.
- Metoden vil ikke erstatte eller komme i tillegg til dagens tilbud, men innebærer å endre rekkefølge av tilgjengelige behandlinger.

Informasjon fra sekretariatet

- Sekretariatet har sendt henvendelse til leverandør (Eli Lilly) i mai 2026 og bedt om tilbakemelding på om de vil anmode om vurdering og om de planlegger å levere dokumentasjon til et eventuelt oppdrag.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Vurdering fra DMP:
 - o Aktuell indikasjon: Monoterapi til behandling av voksne og ungdom fra 12 år med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft som er radioaktivt jod-refraktær (dersom radioaktivt jod er aktuelt). Indikasjonen har markedsføringstillatelse (MT) i Norge/Europa (29.02.2024).
 - o Det ble 24.04.2023 bestilt en forenklet metodevurdering for selperkatinib (Retsevmo) til førstelinjebehandling av pasienter fra 12 år med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft. Denne ble 28.04.2025 avbestilt pga. manglende innsendt dokumentasjon fra firma. Forslaget gjelder en revurdering av denne.
 - o Det foreligger begrensede studiedata for selperkatinib og det er mangel på kliniske data som kan brukes til å etablere en relevant kontrollarm. DMP vurderer derfor at det vil være utfordrende å kvantifisere relativ effekt og å estimere kostnadseffektiviteten av selperkatinib sammenliknet med dagens behandling for aktuell pasientpopulasjon. En metodevurdering vil derfor måtte basere seg på preliminaire effekt- og sikkerhetsdata fra de to kliniske studiene som danner dokumentasjonsgrunnlaget for markedsføringstillatelsen til den aktuelle indikasjonsutvidelsen (LIBRETTO-001 og LIBRETTO-121). Begge disse studiene er énarmede fase I/II-studier med få pasienter.
 - o Legemidlet er markedsført i Norge og besluttet innført til følgende bruksområder:

- Som monoterapi til behandling av voksne med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med sorafenib og/eller lenvatinib (ID2020_077).
 - Som monoterapi til behandling av voksne og ungdom over 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft (MTC) som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med kabozantinib og/eller vandetanib (ID2020_099).
 - Som monoterapi til behandling av voksne med avansert RET-fusjonspositiv ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) som ikke tidligere er behandlet med en RET-hemmer (ID2020_076/ID2022_118).
- Anbefaling fra DMP:
- DMP mener det er nødvendig å belyse prioriteringskriteriene ved anmodet bruk. Det foreligger (preliminære) data som kan være egnet for en metodevurdering uten en helseøkonomisk analyse.

Forslag om nasjonal metodevurdering

Viktig informasjon – se på dette først og husk å krysse av!

- Innsendte forslag til nasjonale metodevurderinger vil bli publisert i sin helhet. Har du informasjon du mener ikke kan offentliggjøres, ta kontakt med sekretariatet før innsending.
Forslagsstiller er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (kryss av): ☒
- Forslagsstiller har fylt ut punkt 18 nedenfor: «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av): ☒
- Dette skjemaet brukes for å sende inn forslag om metodevurdering på nasjonalt nivå i Nye metoder. Skjemaet gjelder ikke forslag om forskningsprosjekter. En metodevurdering er en type kunnskapsoppsummering, og for at en slik skal kunne utføres, behøves dokumentasjon eksempelvis fra gjennomførte kliniske studier. Manglende dokumentasjonsgrunnlag kan være en av årsakene til at Bestillerforum RHF ikke gir oppdrag om en metodevurdering.
- Hvis forslaget gjelder et medisinsk utstyr, er forlagsstiller kjent med dokumentet [Veiledende kriterier for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder](#) (link) (kryss av): ☐

Opplysninger om forlagsstiller

Navn/kontaktperson	Elin Hallan Naderi
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Oslo Universitetssykehus CCC
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	elinad@ous-hf.no
Dato for innsending av forslag	08.05.26

Opplysninger om metoden som foreslås

1. Forslagstillers tittel på forslaget:*

*Denne kan endres under den videre behandlingen i systemet for Nye metoder:

Selperkatinib som førstelinjebehandling av voksne med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft.

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Selperkatinib er per i dag godkjent som andrelinje behandling etter sorafenib og/eller lenvatinib for ovenstående pasientgruppe, men ønskes vurdert godkjent i førstelinje.

3. Gi en kort begrunnelse for hvorfor det er viktig at metodevurderingen som foreslås bør gjennomføres:

Da selperkatinib ble godkjent som behandling av voksne med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med sorafenib og/eller lenvatinib 21.10.24 (indikasjon II - ID2020_077), lå det parallelt inne et forslag om at medikamentet skulle vurderes godkjent som førstelinjebehandling av pasienter fra 12 år med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft (indikasjon VI, ID2023_041, sendt inn 16.03.23). Vurdering/beslutning rundt dette forslaget var avventet, da overlegne responsdata og bedre bivirkningsprofil sammenliknet med etablert førstelinjebehandling (multikinasehemmerne lenvatinib eller sorafenib) tilsa at dette kunne være et bedre tilbud for pasientene i førstelinje. Derimot ble det ved interregionalt fagdirektørmøte 28.04.25 informert om at metoden var avbestilt av Bestillerforum, begrunnet med at leverandør ikke hadde levert dokumentasjon i henhold til forslaget.

Jeg har siden vært i kontakt med Eli Lilly Norge for å høre om det forelå nye studiedata som skulle tilsi at medikamentet ikke burde vurderes i førstelinje, men dette synes ikke å være tilfelle. Snarere har oppfølgingsdata fra den relativt omfattende fase I/II-studien LIBRETTO-001 (1) blitt publisert som viser vedvarende høy tumorrespons over tid og stabil bivirkningsprofil. Det er klar internasjonal konsensus om at selperkatinib er det foretrukne medikamentet å kunne tilby i førstelinje fremfor multikinasehemmerne lenvatinib eller sorafenib, og de mest oppdaterte internasjonale retningslinjene (2025 American Thyroid Association Management Guidelines for Adult Patients with Differentiated Thyroid Cancer (2)) er klare i sin anbefaling om tidlig genetisk testing av tumor for å kunne tilby selperkatinib i førstelinje til pasienter med RET-fusjonert differensiert TC. Videre at den mer gunstige bivirkningsprofilen gjør at indikasjonsstillingen for medikamentet kan vurderes å være noe mindre streng enn for multikinasehemmerne (aktuelt å vurdere behandlingsoppstart litt tidligere i forløpet).

Da legemiddelfirmaet ikke har tatt initiativ til å reaktivere forslaget om godkjenning av selperkatinib i førstelinje, velger jeg som fagansvarlig for onkologisk behandling av skjoldbruskkjertelkreft ved Oslo Universitetssykehus å sende inn forslag om at metoden likevel tas opp til ny vurdering.

4. Foreslå hva som bør være hovedproblemstilling(er) for metodevurderingen, samt eventuelle underproblemstillinger. For deg som er kjent med «PICO (Patient, Intervention, Comparator, Outcome) -begrepet», inkluder gjerne tentativt forslag til PICO.*

Patient: Det ønskes vurdert om både voksne og barn > 12 år skal inkluderes i indikasjonen. I fase II-studien (LIBRETTO-001) som ligger til grunn, var det tillatt med inklusjon ned til 12 år. Barn ble derimot kun rekruttert i kohorten med RET-mutert medullært thyroideakarsinom (MTC) og godkjenningen i 2. linje for denne diagnosegruppen omfatter ungdom over 12 år (ID2020_099). I kohorten for RET-fusjonspositiv TC, var yngste inkluderte pasient 20 år. Avansert TC forekommer hos barn, og disse har høyere forekomst av RET-fusjoner (ca 50 % rapportert ved pediatrik lungemetastatisk papillært thyroideakarsinom), men alt i alt er det sjeldent vi må igangsette systemisk tumorrettet behandling hos pasienter < 18 år.

Intervention: Selperkatinib som førstelinje systemisk tumorrettet behandling

Comparator: Selperkatinib bes primært vurdert opp mot lenvatinib, eventuelt også sorafenib, men sistnevnte har nå en mindre plass i behandlingen av TC.

Outcome: Responstrate, responsvarighet, progresjonsfri overlevelse, bivirkningsprofil og PRO-data. Vi har ikke gode sammenliknbare data på totaloverlevelse (OS).

*PICO er et verktøy for å formulere presise problemstillinger i metodevurderingsarbeid. PICO er en forkortelse for Population/Problem – Intervention – Comparison – Outcome. PICO brukes til å presisere hvilken populasjon/problem som skal studeres, hvilke(t) tiltak (metode/behandling) som skal vurderes, hvilket tiltak det er naturlig å sammenligne med, og hvilke utfall/endepunkter det er relevant å måle/vurdere. PICO er viktig for planlegging og gjennomføring av en metodevurdering.

5. Kort beskrivelse av dagens tilbud (Hvilken metode brukes nå? Status for metoden (gir kurativ behandling, forlenget levetid etc.) Vil metoden som foreslås vurdert erstatte eller komme i tillegg til dagens tilbud?)

Per i dag er sorafenib og lenvatinib godkjent som monoterapi til behandling av voksne med progressiv, lokalt avansert eller metastaserende, differensiert TC som er refraktær overfor radioaktivt jod. I retningslinjer legges gjerne til at sykdommen bør være symptomgivende, eller truende og ikke tilgjengelig for lokale behandlingstiltak. Dette for å understreke at medikamentene ofte gir betydelige bivirkninger med effekt på livskvalitet og man skal derfor unngå å sette inn behandling på et for tidlig stadium av metastatisk sykdom. I praksis er det lenvatinib som anbefales/velges i førstelinje da responsdata fra fase III-studier sammenliknet med placebo er overlegne sammenliknet med sorafenib. Sorafenib brukes derfor i praksis kun som alternativ dersom lenvatinib tolereres svært dårlig. Fase III-studie med lenvatinib mot placebo har vist (3): ORR 64,8 % vs 1,5 %, median PFS 18,3 mnd vs 3,6 mnd. Oppfølgende overlevelsesanalyse har vist OS-fordel med lenvatinib mot placebo for de eldre pasientene (<65 år), men ikke signifikant forskjell for de yngre. Sorafenib har i fase III-studie mot placebo vist (4): ORR 12,2% mot 0,5%, median PFS 10,8 mnd vs 5,8 mnd, og median duration of treatment 10,6 mnd vs 6,5 mnd. For selperkatinib har vi kun langtids oppfølgingsdata fra fase I/II studien LIBRETTO-001 (1). Her er det inkludert totalt 66 pasienter med RET-fusjonspositiv follikkelcellederivert skjoldbruskkjertelkreft av ulike histologiske undergrupper. Av disse fikk 24 pasienter behandlingen som førstelinje kinasehemmer («treatment naive»=TN), mens 41 pasienter fikk behandlingen etter tidligere behandling med multikinasehemmer («previously treated»=PT). Langtidsoppfølgingen viser svært gode data på respons og toleranse: ORR 95,8% (TN) og 85,4% (PT), median PFS ikke nådd (44,2 mnd – NE) (TN) og 27,4 mnd (PT), 3-års PFS på 87,3 % (TN) og 49,5 % (PT), andel OS ved 4 års oppfølging 94,4% (TN) og 65,5% (PT). I tillegg viser studien stabile tall for toksisitet/toleranse uten tegn til kumulativ toksisitet/senbivirkninger for pasienter som behandles gjennom flere år. PRO-data som er publisert (5) viser at en stor andel av pasientene opplever vedvarende bedret eller stabil livskvalitet, funksjonsskår, samt redusert symptombyrde under pågående selperkatinib-behandling.

Metoden anses ikke kurativ, men å være ledd i et palliativt/livsforlengende behandlingstilbud. Man har ikke, og kommer høyst sannsynlig ikke til å få sammenliknende fase III-data mellom selperkatinib og lenvatinib i førstelinje, men basert på det som nå finnes av langtidsoppfølging av fase II-data, vurderes det høyst sannsynlig at selperkatinib er et bedre behandlingstilbud enn lenvatinib, med overlegne responsdata, både hva gjelder andel pasienter som får respons og varighet av respons. I tillegg foreligger bedre data hva gjelder toksisitet/bivirkninger, livskvalitet og funksjonsskår. Dataene peker også klart i retning av at det er en fordel for pasientene å begynne med selperkatinib i førstelinje, da TN har bedre resultater enn PT for alle oppgitte parametre. I den grad fase III-data fra RET-mutert medullært TC (selperkatinib mot vandetanib/kabozantinib i førstelinje med overkrysningsmulighet), kan overføres til denne pasientpopulasjonen, peker denne også i samme retning: det går bedre med pasientene som får selperkatinib i førstelinje enn de som krysser over til selperkatinib etter progresjon på multikinasehemmer (6).

Jeg er således av den oppfatning at selperkatinib bør tilbys disse pasientene i førstelinje og at man ikke skal behøve å vente på behandlingssvikt av det mindre effektive og mer toksiske medikamentet lenvatinib før tilgang. Dette er også i tråd med de nyeste retningslinjene fra American Thyroid Association (2), og ventes å tas opp i revisjon av ESMO-retningslinjer. EMA-godkjenningen av medikamentet spesifiserer ikke behandlingslinje.

Metoden som foreslås vil hverken erstatte eller komme i tillegg til dagens behandling, men endre rekkefølge på dagens behandlingstilbud.

6. Forslaget gjelder:	Ja	Nei
En metode som er aktuell for spesialisthelsetjenesten	☒	☐
En ny og innovativ metode	☐	☒
Et nytt bruksområde, eller en ny indikasjon for en etablert metode	☒	☐
En sammenligning mellom flere metoder	☒	☐
Er metoden tatt i bruk?	☒	☐
Hvis ja – metode er tatt i bruk i klinisk praksis	☒	☐
Hvis ja – metode er tatt i bruk innen forskning/utprøving	☐	☐
Revurdering/utfasing av en metode som er tatt i bruk i klinisk praksis	☐	☐

Eventuelle kommentarer til bruken av metoden:

Selperkatinib er i dag tilgjengelig for aktuelle indikasjon, men først i andre eller senere linjer etter multikinasehemmer(e), og kun for voksne pasienter.

7. Hva omfatter metoden som foreslås (flere kryss mulig)?

Legemiddel ☒

Medisinsk utstyr som er CE-merket* ☐

*Angi klassifisering og bruksområde:

Medisinsk utstyr som ikke er CE-merket ☐

Prosedyre ☐

Screening ☐

Høyspesialiserte tjenester/nasjonale tilbud ☐

Organisatorisk oppsett av helsetjenesten ☐

Annet (beskriv) ☐

8. Finansieringsansvar	Ja	Nei
Har spesialisthelsetjenesten et finansieringsansvar for metoden i dag?	☒	☐
Vil spesialisthelsetjenesten kunne få finansieringsansvar for metoden?	☒	☐

Eventuelle kommentarer:

9. Er metoden omtalt i nasjonale faglige retningslinjer eller handlingsprogrammer utarbeidet av Helsedirektoratet?

Ja Nei
☒ ☐

Angi eventuelt hvilke og kommenter eventuelt behov for endringer:

Ovenstående dokumentasjon er omtalt i gjeldende retningslinjer (7), videre at medikamentet er godkjent i andrelinje, men det står også at det er til pågående vurdering i førstelinje da disse retningslinjene ble skrevet før man ble klar over at denne vurderingen ble trukket grunnet manglende innsendt dokumentasjon. Publiserte retningslinjer er under pågående revisjon.

10. Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)?

Ja Nei
☐ ☒

Angi eventuelt type strålekilde, utstyr og stråleeksponering:

11. Hvilke fagområde(r) gjelder metoden, og hvilke pasienter berøres? (Får metoden evt. også konsekvenser for andre grupper (som personell, pårørende?))

Metoden gjelder onkologi og vil berøre pasienter med radiojodrefraktær follikkelcellederivert, RET-fusjonert skjoldbruskkjertelkreft med inoperabel lokalavansert eller fjernmetastatisk sykdom som ikke er tilgjengelig for lokale tumorrettede tiltak og vurderes å være i behov av systemisk onkologisk behandling. Metoden vurderes ikke å få vesentlige konsekvenser for andre grupper, da alternativet for denne pasientgruppen per i dag også er medikamentell kreftbehandling med nokså tilsvarende oppfølgingsbehov og metoden allerede er godkjent i andrelinje.

12. Hvilke aspekter er relevante for metodevurderingen? (flere kryss mulig)

Klinisk effekt	☒
Sikkerhet/bivirkninger	☒
Kostnader/ressursbruk	☒
Kostnadseffektivitet	☒
Organisatoriske konsekvenser	☐
Etiske	☐
Juridiske	☐

13. Kommenter metoden som forslås vurdert mht. følgende punkter:

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

Avansert RET-fusjonert skjoldbruskkjertelkreft er en inkurabel sykdom med betydelig morbiditet knyttet til progresjon lokoregionalt på hals eller av fjernmetastaser og har dødelig utfall. Progresjonshastighet og levetidsprognose vil kunne variere betydelig med histologisk undergruppe (tidvis indolent ved differensiert skjoldbruskkjertelkreft, mer aggressiv ved lite differensiert TC og svært aggressiv ved anaplastisk TC), og tidspunkt for innsetting av systemisk tumorrettet behandling vil derfor vurderes individuelt.

Forventet effekt

Gitt høy responsrate og lang progresjonsfri overlevelse forventes behandlingen å kunne redusere morbiditet knyttet til tumorvolum og forsinke ny morbiditet knyttet til videre progresjon. PRO-data viser i tillegg at en stor andel av pasientene opplever langvarig bedret eller stabil livskvalitet, funksjonsskår, samt redusert symptombyrde under pågående behandling med selperkatinib.

Sikkerhet og bivirkninger

Bivirkningsprofilen til selperkatinib er etter hvert veldokumentert gjennom studier. Sammenliknende tall mellom fase II og fase III-studier for differensiert skjoldbruskkjertelkreft og direkte sammenlikning mellom selperkatinib og vandetanib/kabozantinib (som likner lenvatinib og sorafenib i bivirkningsprofil) for medullært TC, tyder på at bivirkningsbelastningen ved selperkatinib er mindre enn for aktuelle multikinasehemmere, og at dette resulterer mindre hyppig behov for dosereduksjoner og behandlingsavbrudd. Vi har allerede klinisk erfaring med bruk av selperkatinib i andrelinje og oppfatter bivirkningsprofilen å være svært håndterbar innen vanlig klinisk praksis.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Noe vanskelig å estimere, men kanskje 5-10 årlig

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

På bakgrunn av prisinformasjon i Felleskatalogen (jeg har ikke oversikt over eventuelle prisavtaler utover dette), vil medikamentkostnadene være relativt sammenliknbare ved oppstart av selperkatinib 160 mg x 2 og lenvatinib 24 mg x 1. Gitt bedre toleranse og responsvarighet, mer gunstig bivirkningsprofil og bedret livskvalitet vil behov for oppfølgingstimer, støttebehandling og billeddiagnostikk kunne reduseres, og dette vil kunne virke gunstig på ressursbruk.

14. Oppgi referanser til dokumentasjon om metodens effekt og sikkerhet (eks. tidligere metodevurderinger). (Inntil 10 sentrale referanser oppgis. Ikke send vedlegg nå.)

1. [Durability of Response With Selpercatinib in Patients With RET-Activated Thyroid Cancer: Long-Term Safety and Efficacy From LIBRETTO-001 - PubMed](#)
2. [2025 American Thyroid Association Management Guidelines for Adult Patients with Differentiated Thyroid Cancer - PubMed](#)
3. [Lenvatinib versus placebo in radioiodine-refractory thyroid cancer - PubMed](#)
4. [Sorafenib in radioactive iodine-refractory, locally advanced or metastatic differentiated thyroid cancer: a randomised, double-blind, phase 3 trial - PubMed](#)
5. [Patient-reported outcomes with selpercatinib treatment in patients with RET-driven cancers in the phase I/II LIBRETTO-001 trial - PubMed](#)
6. [Phase 3 Trial of Selpercatinib in Advanced RET-Mutant Medullary Thyroid Cancer - PubMed](#)
7. [Thyroideakreft \(skjoldbruskjertelkreft\) – handlingsprogram - Helsedirektoratet](#)

15. Oppgi navn på produsenter/leverandører vedrørende metoden (dersom aktuelt/tilgjengelig):

Eli Lilly Norge AS

16. Status for markedsføringstillatelse (MT) eller CE-merking: Når forventes MT- eller CE-merking? Eventuelt opplysning om planlagt tidspunkt for markedsføring.

Medikamentet har markedsføringstillatelse

17. Fritekstrubrikk (Supplerende relevant informasjon, inntil 300 ord.)

18. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv forslagstillers relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som foreslås metodevurdert. (Eksempler: Forslagsstiller har økonomiske interesser i saken. Forslagsstiller har eller har hatt oppdrag i forbindelse med, eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.)

Ingen

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2023_041
Handelsnavn (virkestoff)	Retsevmo (selperkatinib)
Virkningsmekanisme	Selperkatinib er en hemmer av RET («REarranged during Transfection») reseptortyrosinkinase. RET-proteinet bidrar under normale omstendigheter til cellevekst, celledeling og differensiering. Unormal RET-aktivering forekommer gjennom mutasjoner og fusjoner i RET-genet. RET-fusjonsproteiner kan virke som onkogene drivere ved å fremme celleproliferasjon av tumorcellelinjer. Selperkatinib utøver antitumor aktivitet gjennom hemming av villtype RET og multiple muterte RET-isoformer, i tillegg til vaskulær endotelial vekstfaktor reseptor (VEGFR1 og VEGFR3).
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder revurdering av en indikasjonsutvidelse for et kjent virkestoff. Indikasjonen har markedsføringstillatelse (MT) i Norge/Europa. Legemiddelet er markedsført i Norge og er besluttet innført (21.10.2024) av Beslutningsforum for nye metoder til følgende bruksområder: - Som monoterapi til behandling av <u>voksne</u> med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med sorafenib og/eller lenvatinib (<u>ID2020_077</u>). - Som monoterapi til behandling av <u>voksne og ungdom over 12 år</u> med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft (MTC) som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med kabozantinib og/eller vandetanib (<u>ID2020_099</u>). - Som monoterapi til behandling av <u>voksne</u> med avansert RET-fusjonspositiv ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) som ikke tidligere er behandlet med en RET-hemmer (<u>ID2020_076/ID2022_118</u>).
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? Ja ☐ Nei ☒
Aktuell indikasjon	Retsevmo som monoterapi er indisert til behandling av voksne og ungdom fra 12 år med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft som er radioaktivt jod-refraktær (dersom radioaktivt jod er aktuelt).
Dosering	Administreres peroralt (tabletter). Den anbefalte dosen av Retsevmo basert på kroppsvekt er: - Mindre enn 50 kg: 120 mg to ganger daglig - 50 kg eller mer: 160 mg to ganger daglig Behandling skal fortsettes inntil sykdomsprogresjon eller uakseptabel toksisitet.
Forslag	Forslag om nasjonal metodevurdering (revurdering)
Innsendt av	Elin Hallan Naderi, Oslo Universitetssykehus

Bakgrunn	En forenklet metodevurdering for selperkatinib (Retsevmo), til førstelinjebehandling av pasienter fra 12 år med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft, ble opprinnelig bestilt av Bestillerforum for nye metoder (24.04.2023). Denne ble senere avbestilt (28.04.2025), ettersom leverandør ikke leverte dokumentasjon i henhold til oppdraget. Det foreligger en beslutning om at metoden ikke skal benyttes til den aktuelle indikasjonen. Det har nå kommet et forslag om revurdering av metoden fra det kliniske fagmiljøet. RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft (thyroideakreft; TC) behandles i dag i henhold til nasjonale faglige retningslinjer for differensiert thyroideakarsinom (DTC)¹. Pasienter med progressiv lokalavansert/metastaserende, radiojodresistent DTC mottar fortrinnsvis lenvatinib i førstelinje og sorafenib i andrelinje (alternativt lenvatinib dersom denne ikke er brukt i førstelinje). Også selperkatinib er innført som andrelinjebehandling etter tidligere behandling med sorafenib og/eller lenvatinib (ID2020_077). Behandlingen gis kontinuerlig inntil progresjon eller uakseptabel toksisitet. Tradisjonell cellegiftbehandling har liten effekt ved DTC, og anbefales ikke rutinemessig. Forslagsstiller opplyser i innsendt forslag til metodevurdering, at det nå er internasjonal konsensus om at selperkatinib er det foretrukne legemiddelet å kunne tilby i førstelinje framfor multikinasehemmerne lenvatinib eller sorafenib. Metoden anses ikke kurativ, men vil være et ledd i et palliativt/livsforlengende behandlingstilbud. Selperkatinib fikk betinget markedsføringstillatelse (MT) i Norge/EU 11.02.2021 som monoterapi til behandling av voksne med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med sorafenib og/eller lenvatinib². Denne indikasjonen ligger til grunn ved den tidligere metodevurderingen av selperkatinib (ID2020_077). Selperkatinib fikk senere (29.02.2024) MT for indikasjonsutvidelsen som gjelder førstelinjebehandling, og som omhandles i denne egnethetsvurderingen (dvs. til behandling av pasienter fra 12 år og eldre med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft som er radioaktivt jod-refraktær [dersom radioaktivt jod er aktuelt])^{4 5}.
-----------------	--

¹ Nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av pasienter med thyroideakreft. Oslo: Helsedirektoratet (siste faglige endring 26.09.2025). Tilgjengelig fra: <https://www.helsedirektoratet.no/retningslinjer/thyroideakreft-skjoldbruskkjertelkreft-handlingsprogram>

² Summary of opinion (initial authorisation): https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-retsevmo_en.pdf

³ Assessment report - Retsevmo (selperkatinib) (10.12.2020): https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/retsevmo-epar-public-assessment-report_en.pdf

⁴ Summary of opinion (post authorisation): https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop/chmp-post-authorisation-summary-positive-opinion-retsevmo-ii-21_en.pdf

⁵ Assessment report - Retsevmo (selperkatinib) (25.01.2024): https://www.ema.europa.eu/en/documents/variation-report/retsevmo-h-c-005375-ii-0021-epar-assessment-report-extension_en.pdf

	Studien som i all hovedsak ligger til grunn for MT er LIBRETTO-001⁶; en åpen, énnarmet, multikohort, fase I/II-studie. Fase I var dose-eskalerende, mens fase II innrullerte pasienter over 12 år med bl.a. avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft (5 ulike kohorter). Det primære effektendepunktet er objektiv responsrate (ORR), og sekundære effektendepunkt inkluderer varighet av respons (DOR), progresjonsfri overlevelse (PFS) og totaloverlevelse (OS). Kohorten fra LIBRETTO-001-studien som er relevant for denne egnethetsvurderingen, består av 24 pasienter som er naive til annen systemisk behandling enn radioaktivt jod. Til tross for at det i studien var tillatt med inklusjon ned til 12 års alder, var yngste inkluderte pasient 20 år i denne aktuelle kohorten. Det foreligger tilgjengelige (publiserte) interimdata fra denne studien/kohorten (datakutt januar 2023). Studien pågår fortsatt, men er lukket for videre inklusjon, og er estimert avsluttet i februar 2027. I tillegg danner studien LIBRETTO-121⁷ grunnlag for indikasjon-utvidelsen som omhandler ungdom ≥12 år. Studien er en pågående fase I/II-studie hos pediatriske pasienter (alder ≥6 måneder til <21 år) med en avansert solid tumor eller primær CNS-tumor med en aktiverende RET-endering (n=36). Det foreligger svært begrensede tilgjengelige interimdata fra denne studien (n=10) (datakutt januar 2023). Studien pågår fortsatt, men er lukket for videre inklusjon, og er estimert avsluttet i mai 2029. Det er få pasienter aktuelle for behandling med selperkatiniib ved aktuell indikasjon, og forslagstiller anslår dette til om lag 5-10 pasienter årlig.
Preliminær PICO⁸	P: I tråd med godkjent indikasjon (hele populasjonen). I: Selperkatiniib brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtalen. C: Dagens standardbehandling, i henhold til nasjonalt handlingsprogram for thyroideakreft (skjoldbruskkjertelkreft), dvs. lenvatinib eller sorafenib. I henhold til medisinsk fagekspert/forslagstiller har sorafenib nå en mindre plass i behandlingen av skjoldbruskkjertelkreft, slik at komparator fortrinnsvis bør være lenvatinib. O: Objektiv responsrate (ORR), overlevelse (PFS, OS), ressursbruk.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Det har tidligere (24.04.2023) blitt bestilt en forenklet metodevurdering for selperkatiniib (Retsevmo), til førstelinjebehandling av pasienter fra 12 år med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft. Denne ble senere (28.04.2025) avbestilt pga. manglende innsendt dokumentasjon fra firma. Forslaget gjelder en revurdering av denne.

⁶ LIBRETTO-001: [NCT02157128](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02157128)

⁷ LIBRETTO-121: [NCT03899792](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03899792)

⁸ Pasientpopulasjon, interve

	Det foreligger begrensede studiedata for selperkatinib og det er mangel på kliniske data som kan brukes til å etablere en relevant kontrollarm. DMP vurderer derfor at det vil være utfordrende å kvantifisere relativ effekt og å estimere kostnadseffektiviteten av selperkatinib sammenliknet med dagens behandling for aktuell pasientpopulasjon. En metodevurdering vil derfor måtte basere seg på preliminære effekt- og sikkerhetsdata fra de to kliniske studiene som danner dokumentasjonsgrunnlaget for markedsføringstillatelsen til den aktuelle indikasjonsutvidelsen (LIBRETTO-001 og LIBRETTO-121). Begge disse studiene er énarmede fase I/II-studier med få pasienter.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP mener det er nødvendig å belyse prioriteringskriteriene ved anmodet bruk. Det foreligger (preliminære) data som kan være egnet for en metodevurdering uten en helseøkonomisk analyse.

Versjonslogg*	
Dato	Hva
11.08.2026	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.	

Saksnummer 109-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning om revurdering: ID2022_044 Upadacitinib (Rinvoq) til behandling av voksne med moderat til alvorlig aktiv ulcerøs kolitt (UC) som har hatt utilstrekkelig respons, mistet respons eller er intolerante mot enten konvensjonell behandling eller et biologisk legemiddel.

Historikk:

- Tidligere vurdert i Nye metoder og besluttet ikke innført av Beslutningsforum (12.12.2022) med bakgrunn i at det er ikke dokumenterte fordeler med Rinvoq som kan tilsa at behandlingen kan ha en høyere pris enn lignende innførte behandlingsalternativer.
- Leverandør har anmodet om revurdering tidligere, og om at upadacitinib ble sammenlignet med vedolizumab. Nye metoder vurderte at det var lite sannsynlig at en revurdering vil endre eksisterende beslutning, og Bestillerforum for nye metoder ga ikke oppdrag om revurdering (28.08.2023).

Kort om metoden fra anmodningen:

- Leverandør visert til at det nå foreligger mer erfaring og data om bruk av JAK-hemmere innen IBD enn ved første anmodning. Pasienter som ikke kommer i mål med de to innførte JAK-ene, illustrerer et klinisk behov for JAK nummer tre. NPR-data bekrefter dette ettersom Rinvoq benyttes til behandling av pasienter med UC til tross for to andre JAK-hemmere tilgjengelig.
- Siden sist foreligger det nye RWE-data som viser god effekt av Rinvoq hos UC-pasienter tidligere behandlet med andre JAK-hemmere. Dette indikerer et behov for Rinvoq hos pasienter som ikke når behandlingsmålet med tofacitinib eller filgotinib. Da nye data viser at man fint kan sekvensere JAK-hemmere til nytte for pasient betyr dette at innføring av Rinvoq heller vil fortrenge de dyreste legemidlene i TNF BIO anbudet. Imidlertid er det i denne sammenheng de allerede innførte JAK-hemmerne som utgjør det relevante sammenligningsgrunnlaget for inkludering i anbudet, og DMP har kommunisert at en kost-nytte-analyse (CUA) mot disse er nødvendig.
- Det er nylig publisert flere nettverk-meta-analyser som sammenligner effekt og sikkerhet av Rinvoq med andre JAK-hemmere. Leverandør mener disse gir grunnlag for en kost-nytte-analyse og et nytt datagrunnlag som understøtter en revurdering av legemidlet.
- Forrige evaluering inkluderte ikke data som ser på sekvensering av JAK-hemmere og belyste dermed ikke nytten for en tredje JAK. Nye data som nå er inkludert viser god effekt av Rinvoq etter eksponering av øvrige JAK-hemmere, samt NMAer som illustrerer mereffekten sammenlignet med allerede innførte JAK
- For pasienter som ikke når behandlingsmål ved de øvrige JAK-hemmerne vil Rinvoq være et relevant alternativ. Det er ikke mål om å fortrenge de allerede innførte JAK-hemmerne, men heller de dyreste behandlingene i eksisterende anbud.

Egnetthetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Aktuell indikasjon fikk MT 22.07.2022.
- Depottabletter som tas oralt én gang daglig.
- Upadacitinib er en JAK-hemmer. JAK-hemmerne filgotinib (Jyseleca) og tofacitinib (Xeljanz) er innført til behandling av ulcerøs kolitt. Disse inngår i TNFBIO anbudene.

- Fagmiljøet og Mage-tarmforbundet (pasientforening) har gitt innspill som beskriver et medisinsk behov for flere behandlingsalternativer ved ulcerøs kolitt. Representanter for spesialistgruppen for TNF BIO i Sykehusinnkjøp HF skriver at det særlig hos pasienter med akutt alvorlig ulcerøs kolitt (ASUC) er behov for flere legemidler med raskt innsettende effekt.
- Ifølge anmodningen vil AbbVie levere en kostnad-nytte-analyse av upadacitinib sammenlignet med de innførte JAK-hemmerne (filgotinib og tofacitinib), basert på nettverksmetaanalyser (NMA) som sammenligner effekt og sikkerhet av upadacitinib med andre JAK-hemmere.
- Vurdering fra DMP:
 - DMP vurderer at de innførte JAK-hemmerne (filgotinib og tofacitinib) er relevante komparatorer i en metodevurdering av upadacitinib til behandling av ulcerøs kolitt.
 - TLV i Sverige og Medicinrådet i Danmark har vurdert upadacitinib til ulcerøs kolitt. Nettverksmetaanalyser der upadacitinib er sammenlignet med blant annet tofacitinib og filgotinib er vurdert av både TLV og Medicinrådet. Resultatene viser statistisk signifikant forskjell til fordel for upadacitinib på noen effektmål. Verken TLV eller Medicinrådet har imidlertid konkludert med at upadacitinib har en mereffekt sammenlignet med tofacitinib eller filgotinib. Det er flere faktorer som bidrar til usikkerhet i de indirekte sammenligningene. Dette er forskjeller mellom studiene som inngår i sammenligningen når det gjelder studiepopulasjoner, definisjon av utfallsmål, doseringsstrategi (særlig induksjonsdose) og studiedesign. Se hva TLV og Medicinrådet skriver i egnethetsvurdering.
 - Det er lite trolig at DMP vil komme til en annen konklusjon om relativ effekt og sikkerhet av upadacitinib ved ulcerøs kolitt på gruppenivå.
 - Upadacitinib er innført i både Sverige og Danmark. I Sverige har TLV utført en kostnadsminimeringsanalyse av upadacitinib sammenlignet med filgotinib og tofacitinib. I Danmark er upadacitinib rangert sist i Medicinrådets lægemiddelrekommandation, både for BMSL-naive og BMSL-erfarne. Upadacitinib og andre JAK-hemmere er innplassert som "anvend ikke rutinemæssigt" (BMSL-naive) og "overvej" (BMSL-erfarne) på grunn av økt risiko for alvorlige bivirkninger.
- Anbefaling:
 - DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen, og mener at det ikke er vesentlig endret grunnlag for å belyse nytten av upadacitinib på gruppenivå sammenlignet med dagens behandlingsalternativer.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagperson: 1 innspill.

Innspill fra fagmiljø (Spesialistgruppen i gastroenterologi): 1 innspill (sendt inn i forslagsskjema).

Innspill fra pasientorganisasjon (Mage og tarmforbundet): 1 innspill.

Anmodning om revurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker en revurdering av en legemiddelindikasjon som tidligere er metodevurdert og har en beslutning i Nye metoder, skal anmode om revurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfylt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

En anmodning om revurdering skal gjelde samme indikasjon som den opprinnelige metodevurderingen. Hvis anmodningen gjelder en annen indikasjon, eller en undergruppe, så skal «Anmodningsskjema for vurdering av legemiddel» benyttes.

Dersom det ikke foreligger nye kliniske data, kun ny pris eller forslag om en alternativ prisavtale, er det ikke nødvendig å anmode om revurdering. Ta da direkte kontakt med Sykehusinnkjøp¹.

Nye metoder vurderer på bakgrunn av anmodningen om det er grunnlag for å gi et oppdrag om en ny metodevurdering. Anmodningen må begrunnes.

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): ☒

Dato for innsending av skjema: 08.05.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	AbbVie
1.2 Navn kontaktperson	Emma Haabeth
1.3 Stilling kontaktperson	Regional Access Manager
1.4 Telefon	40644966
1.5 E-post	emma.haabeth@abbvie.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.

¹ E-post til Sykehusinnkjøp HF: nyelegemidler@sykehusinnkjop.no

2 Informasjon om metoden	
2.1 ID-nummer i Nye metoder	ID2022_044
2.2 Virkestoff	Upadacitinib
2.3 Handelsnavn	Rinvoq
2.4 Indikasjon <i>En anmodning om revurdering skal gjelde samme indikasjon som den opprinnelige metodevurderingen. Hvis anmodningen gjelder en annen populasjon eller en undergruppe, så skal «Anmodningsskjema for vurdering av legemiddel» benyttes (se nyemetoder.no).</i>	Behandling av voksne pasienter med moderat til alvorlig aktiv ulcerøs kolitt (UC) som har hatt utilstrekkelig respons, mistet respons eller er intolerante mot enten konvensjonell behandling eller et biologisk legemiddel.
2.5 Gjeldende beslutning fra Beslutningsforum for nye metoder <i>Oppgi dato for beslutning</i>	Beslutning i Beslutningsforum for nye metoder (12.12.22): - Upadacitinib (Rinvoq) innføres ikke til behandling av voksne pasienter med moderat til alvorlig aktiv ulcerøs kolitt som har hatt utilstrekkelig respons, mistet respons eller er intolerante mot enten konvensjonell behandling eller et biologisk legemiddel. - Det er ikke dokumenterte fordeler med Rinvoq som kan tilsa at behandlingen kan ha en høyere pris enn lignende innførte behandlingsalternativer. - Sykehusinnkjøp bes gjenoppta forhandlingene med leverandør.

3 Informasjon om eksisterende metodevurdering og grunnleggende forutsetninger for revurdering	
3.1 Klinisk praksis <i>Er beskrivelsen av norsk klinisk praksis i den opprinnelige metodevurderingen fortsatt gjeldende, herunder komparator, forutgående behandling osv.?</i> <i>Kommenter kort.</i>	Per nå foreligger det mer erfaring og data om bruk av, og forskjeller mellom, JAK-hemmere innen IBD enn ved første anmodning. I tillegg ser man pasienter som ikke kommer i mål med de to JAK-ene som allerede er innført i dagens anbud, som illustrerer et klinisk behov for JAK nummer tre. Data fra Norsk Pasientregister (NPR) bekrefter dette ettersom Rinvoq benyttes til behandling av pasienter med UC til tross for to andre JAK-hemmere tilgjengelig. Antall UC-pasienter på JAK-hemmere 2024 (NPR data): filgotinib 156 pasienter, tofacitinib 17 pasienter og Rinvoq 59 pasienter. Data tyder på at det er et medisinsk behov for Rinvoq og at JAK-hemmerne ikke er direkte sammenlignbare.
3.2 Nye data for bruken av legemiddelet til aktuell indikasjon <i>Beskriv kort hvorfor det er grunnlag for en ny metodevurdering av</i>	AbbVie har tidligere levert dokumentasjon på klinisk effekt og sikkerhet av Rinvoq ved ulcerøs kolitt. Siden sist foreligger det nye real-world evidence (RWE) data som viser god effekt av Rinvoq hos UC-pasienter som tidligere har vært eksponert for andre JAK-hemmere. Dette indikerer et behov for Rinvoq

<i>legemiddelet. Beskriv tilgjengelige nye data for legemiddelet.</i>	hos pasienter som ikke når behandlingsmålet med tofacitinib eller filgotinib. Da nye data viser at man fint kan sekvensere JAK-hemmere til nytte for pasient betyr dette at innføring av Rinvoq heller vil fortrenge de dyreste legemidlene i TNF BIO anbudet. Imidlertid er det i denne sammenheng de allerede innførte JAK-hemmerne som utgjør det relevante sammenligningsgrunnlaget for inkludering i anbudet, og DMP har kommunisert at en kost-nytte-analyse (CUA) mot disse er nødvendig. Videre har det nylig blitt publisert flere nettverk-meta-analyser (NMA) som sammenligner effekt og sikkerhet av Rinvoq med andre JAK-hemmere. Vi mener det er nyttig med en CUA basert på disse analysene for å belyse kostnadseffektivitet inn i anbud. Totalt utgjør dette et nytt datagrunnlag som understøtter en revurdering av legemidlet.
3.3 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren? <i>Type metodevurdering</i> <i>Begrunn kort</i>	Etter dialog med DMP er det behov for å bestille og legge fram en CUA med relevant komparator, herunder JAK-hemmere, som grunnlag for beslutning.
3.4 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter <i>Tidspunkt må oppgis</i>	November 2026
3.5 Nye data for komparator <i>Beskriv eventuelle nye data for komparator</i>	Data fra NMA og RWE som beskrevet ovenfor.
3.6 Øvrige forhold <i>Beskriv eventuelle andre forhold som er endret siden forrige metodevurdering</i>	Innspill fra klinikere og pasientorganisasjoner indikerer et tydelig ønske om å gjøre Rinvoq tilgjengelig som en tredje JAK-hemmer for pasienter med UC. Det vises til et reelt medisinsk behov og et ønske om likebehandling for IBD-pasienter, og ellers på tvers av indikasjonene i TNF BIO-anbudet. Andre indikasjoner i dette anbudet, som blant annet revmatoid artritt, har fire JAK-hemmere tilgjengelig, noe som understreker relevansen av flere behandlingsmuligheter og JAK-hemmere også for UC-pasienter. Etter nyere dialog med Sykehusinnkjøp og DMP er

	det kommunisert at dokumentasjon på kostnadseffektiviteten av Rinvoq, versus andre JAK-hemmere, er nødvendig for å kunne vurdere Rinvoq for UC-pasienter.
--	---

4 Relevansen av nye data

4.1 Beskriv hvordan de nye dataene kan bidra til at prioriteringskriteriene kan bli oppfylt.

Redegjør for de nye dataene sammenlignet med de opprinnelige resultatene som lå til grunn for gjeldende beslutning i Beslutningsforum.

Den forrige evalueringen inkluderte ikke data som ser på sekvensering av JAK-hemmere og belyste dermed ikke nytten for en tredje JAK. Nye data som nå er inkludert viser god effekt av Rinvoq etter eksponering av øvrige JAK-hemmere, samt NMAer som illustrerer mereffekten sammenlignet med allerede innførte JAK. Inkludering av Rinvoq i anbudsrankeringen gir muligheten til et nytt behandlingsalternativ for pasienter med ulcerøs kolitt i Norge. For pasienter som ikke når behandlingsmål ved de øvrige JAK-hemmerne vil Rinvoq være et relevant alternativ. Det er ikke mål om å fortrenge de allerede innførte JAK-hemmerne, men heller de dyreste behandlingene i eksisterende anbud.

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2022_044
Handelsnavn (virkestoff)	Rinvoq (upadacitinib)
Virkningsmekanisme	Selektiv, reversibel JAK-hemmer.
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder revurdering av et kjent virkestoff. Legemidlet fikk markedsføringstillatelse (MT) i Europa første gang 16.12.2019, og aktuell indikasjon fikk MT 22.07.2022.
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? Ja ☐ Nei ☒
Aktuell indikasjon	Behandling av voksne pasienter med moderat til alvorlig aktiv ulcerøs kolitt som har hatt utilstrekkelig respons, mistet respons eller var intolerante overfor enten konvensjonell behandling eller et biologisk legemiddel.
Dosering	Depottabletter som tas oralt én gang daglig. Induksjon: 45 mg daglig i 8 uker. For pasienter som ikke oppnår tilstrekkelig terapeutisk nytte innen uke 8, kan induksjonsdosen fortsettes i ytterligere 8 uker. Upadacitinib bør seponeres hos pasienter som ikke viser tegn på terapeutisk nytte innen uke 16. Vedlikehold: 15 mg eller 30 mg daglig, basert på den enkelte pasientens tilstand.
Forslag	Anmodning om revurdering
Innsendt av	AbbVie (leverandør)
Bakgrunn	Upadacitinib har MT for flere indikasjoner, og alle indikasjonene har vært vurdert i Nye metoder. Upadacitinib er besluttet innført ved følgende bruksområder: – Revmatoid artritt ID2019_098 – Psoriasisartritt ID2020_080 – Atopisk dermatitt ID2021_085 – Crohns sykdom ID2022_136 Upadacitinib er besluttet ikke innført ved følgende bruksområder: – Ankyloserende spondylitt ID2020_081, ID2022_134 – Ulcerøs kolitt ID2022_044 – Kjempecellearteritt ID2025_003 AbbVie ber nå om en revurdering av upadacitinib ved ulcerøs kolitt. Upadacitinib ble besluttet ikke innført til behandling av ulcerøs kolitt av Beslutningsforum for nye metoder 12.12.2022, med følgende begrunnelse: <i>Det er ikke dokumenterte fordeler med Rinvoq som kan tilsa at behandlingen kan ha en høyere pris enn lignende innførte behandlingsoalternativer.</i> Et notat fra DMP (tidligere Legemiddelverket) og prisnotat fra Sykehusinnkjøp ble utarbeidet til saken. AbbVie har anmodet om revurdering tidligere, og om at upadacitinib ble sammenlignet med vedolizumab. Nye metoder vurderte at det var lite sannsynlig at en revurdering vil endre eksisterende beslutning, og Bestillerforum for nye metoder ga ikke oppdrag om revurdering (28.08.2023).

	Upadacitinib er en JAK-hemmer. JAK-hemmerne filgotinib (Jyseleca) og tofacitinib (Xeljanz) er innført til behandling av ulcerøs kolitt. Disse inngår i TNFBIO anbudene. Fagmiljøet og Mage-tarmforbundet (pasientforening) har gitt innspill som beskriver et medisinsk behov for flere behandlingsalternativer ved ulcerøs kolitt. Representanter for spesialistgruppen for TNF BIO i Sykehusinnkjøp HF skriver at det særlig hos pasienter med akutt alvorlig ulcerøs kolitt (ASUC) er behov for flere legemidler med raskt innsettende effekt.
Begrunnelse i forslag	Ifølge anmodningen vil AbbVie levere en kostnad-nytte-analyse av upadacitinib sammenlignet med de innførte JAK-hemmerne (filgotinib og tofacitinib), basert på nettverksmetaanalyser (NMA) som sammenligner effekt og sikkerhet av upadacitinib med andre JAK-hemmere. Samtidig skriver AbbVie at <i>«det er ikke mål om å fortrenge de allerede innførte JAK-hemmerne, men heller de dyreste behandlingene i eksisterende anbud»</i>. AbbVie skriver at ny real-world evidence (RWE) viser at upadacitinib har effekt hos pasienter som tidligere har fått andre JAK-hemmere mot ulcerøs kolitt.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	DMP vurderer at de innførte JAK-hemmerne (filgotinib og tofacitinib) er relevante komparatorer i en metodevurdering av upadacitinib til behandling av ulcerøs kolitt. Både TLV i Sverige (1) og Medicinrådet i Danmark (2023) har vurdert upadacitinib til ulcerøs kolitt. Nettverksmetaanalyser der upadacitinib er sammenlignet med blant annet tofacitinib og filgotinib er vurdert av både TLV og Medicinrådet. Resultatene viser statistisk signifikant forskjell til fordel for upadacitinib på noen effektmål. Verken TLV eller Medicinrådet har imidlertid konkludert med at upadacitinib har en mereffekt sammenlignet med tofacitinib eller filgotinib. Det er flere faktorer som bidrar til usikkerhet i de indirekte sammenligningene. Dette er forskjeller mellom studiene som inngår i sammenligningen når det gjelder studiepopulasjoner, definisjon av utfallsmål, doseringsstrategi (særlig induksjonsdose) og studiedesign. TLV skriver: <i>TLV bedömer därför baserat på den befintliga analysen att behandlingseffekten är jämförbar mellan upadacitinib och filgotinib, samt mellan upadacitinib och tofacitinib.</i> Medicinrådets anbefaling: • <i>Medicinrådet vurderer, at upadacitinib skal indplaceres under 'Anvend ikke rutinemæssigt' for patienter med moderat til svær colitis ulcerosa, som ikke tidligere har modtaget behandling med biologiske eller målrettede syntetiske lægemidler (BMSL). Medicinrådet har ikke taget stilling til, om lægemidlerne i kategorien 'Anvend ikke rutinemæssigt' (upadacitinib, filgotinib, ozanimod og tofacitinib) kan ligestilles.</i> • <i>Medicinrådet vurderer, at upadacitinib skal indplaceres under 'Overvej' for patienter med moderat til svær colitis ulcerosa, som tidligere har modtaget behandling med biologiske eller målrettede syntetiske lægemidler (BMSL). Medicinrådet har ikke taget stilling til, om lægemidlerne i kategorien 'Overvej' (upadacitinib, filgotinib, ozanimod og tofacitinib) kan ligestilles.</i>

	Det er lite trolig at DMP vil komme til en annen konklusjon om relativ effekt og sikkerhet av upadacitinib ved ulcerøs kolitt på gruppenivå. Upadacitinib er innført i både Sverige og Danmark. I Sverige har TLV utført en kostnadsminimeringsanalyse av upadacitinib sammenlignet med filgotinib og tofacitinib. I Danmark er upadacitinib rangert sist i Medicinrådets lægemiddelrekommendation, både for BMSL-naive og BMSL-erfarne. Upadacitinib og andre JAK-hemmere er innplassert som "anvend ikke rutinemæssigt" (BMSL-naive) og "overvej" (BMSL-erfarne) på grunn av økt risiko for alvorlige bivirkninger.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen, og mener at det ikke er vesentlig endret grunnlag for å belyse nytten av upadacitinib på gruppenivå sammenlignet med dagens behandlingsalternativer.

Kilder:

1. Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV): Underlag för beslut om subvention, Rinvoq (upadacitinib), 2022. [Underlag för beslut om subvention för Rinvoq](#)
2. Medicinrådet: Tillæg til Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende biologiske og syntetiske lægemidler til colitis ulcerosa. Direkte indplacering af upadacitinib til patienter med moderat til svær colitis ulcerosa, 2023. [Tillæg til Medicinrådets beh.vejl. vedr. lægemidler til colitis ulcerosa - Direkte indplacering af upadacitinib-vers. 1.0](#)

Versjonslogg*

Dato	Hva
11.08.2026	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.	

Forslag om vurdering eller revurdering av legemidler i Nye metoder

Fagpersoner, organisasjoner og andre kan foreslå at legemidler skal vurderes i en nasjonal metodevurdering.

Det er viktig å merke seg at det er leverandørens ansvar å anmode om vurdering av nye legemidler og nye indikasjoner, samt å levere nødvendig dokumentasjon til Nye metoder. Leverandører finner mer informasjon og eget skjema for anmodning på [nettsidene for leverandører](#).

For legemiddelbruk der det er lite sannsynlig at leverandør vil søke om markedsføringstillatelse (og derfor heller ikke anmode om en vurdering), kan [fagpersoner](#) og andre sende inn et forslag om metodevurdering. Det kan også være aktuelt med forslag hvis fagpersoner ser behov for å få vurdert et nytt legemiddel som har fått markedsføringstillatelse uten at leverandøren har anmodet.

Utfylt forslagsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no, og det er ikke anledning til å sende med vedlegg. Det er viktig at forslaget ikke inneholder helseopplysninger om enkeltpersoner. Forslaget skal heller ikke inneholde andre taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser.

Innhold – sjekk av opplysninger

Samtlige punkter må krysses av:

- Forslagsstiller er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet: ☒
- Forslagsstiller har ikke inkludert taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel helseopplysninger om enkeltpersoner eller avtalepriser: ☒
- Forslagsstiller har fylt ut punkt 9 nedenfor: «Interesser og eventuelle interessekonflikter»: ☒

Fyll ut dato for innsending av skjema: 05.06.2026

1. Kontaktopplysninger forslagsstiller	
1.1 Navn	Hilde Løland von Volkmann, Haukeland Universitetssjuehus representerer legegruppen i spesialistgruppen
1.2 Representasjon <i>Hvem sendes forslaget inn på vegne av?</i> <i>Oppgi sykehusavdeling/ arbeidssted, organisasjon eller pasientforening etc. dersom aktuelt</i>	Spesialistgruppen i gastroenterologi , representanter fra Helse Nord, Helse Midt, Helse Vest og Helse Sør-Øst Legemiddelinnkjøp i sykehus
1.3 Telefon	55975659
1.4 E-post	hlol@helse-bergen.no

2. Begrunnelse, dokumentasjon og referanser	
2.1 Hva gjelder forslaget?	a) Et nytt virkestoff ☐

<i>Kryss av for hva forslaget gjelder.</i> <i>Hvis Revurdering – fyll ut ID- nummer.</i> <i>Hvis Annet – spesifiser kort.</i>	b) En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon ☒ c) En ny styrke eller formulering ☐ d) Off label-bruk ☐ e) Revurdering ☒ av ID-nummer: 2022_044 f) Annet ☐ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
2.2 Gi en begrunnelse for forslaget. <i>Skriv kort</i>	Anmodning av innføring av Rinvoq(Upadacitinib) i behandlingen av alvorlig Ulcerøs kolitt (ASUC). Vurdering av hurtig virkende JAK hemmer i behandling som tarmreddende behandling alvorlig ulcerøs kolitt
2.3 Hvilken type dokumentasjon bør legges til grunn for vurderingen av legemiddelet i forslaget? <i>Foreligger det for eksempel resultater fra kliniske studier som kan legges til grunn?</i> <i>Skriv kort og oppgi inntil 10 sentrale referanser.</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Informasjon: Om PICO PICO er et sentralt begrep i metodevurderinger, og opplysningene som innhentes her kan relateres til dette. PICO står for: • P = pasientgruppe (populasjon) • I = intervensjon (den nye behandlingen) • C = komparator (det man sammenligner med - typisk dagens standardbehandling) • O = utfall / endepunkter (det man ønsker å måle) PICO gir metodevurderingen en ramme ved å definere og avgrense hva som skal vurderes. I noen av de etterfølgende spørsmålene i forslagsskjema viser vi til bokstavene.
--

3. Legemiddelinformasjon	
3.1 Handelsnavn/ legemiddelets navn <i>Gjelder "I" i PICO</i>	Rinvoq
3.2 Generisk navn/virkestoff <i>Gjelder "I" i PICO.</i>	Upadacitinib
3.3 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi forventet dosering og behandlingsslengde dersom det er relevant for forslaget.</i>	Tabletter, 45 mg, 30 mg, 15 mg

4. Indikasjon / bruksområde og diagnostikk

4.1 Hvilken indikasjon/bruksområde gjelder forslaget?

Skriv så nøye som mulig hvilke pasienter samt hvilken sykdom eller tilstand som forslaget gjelder.

Eksempel: Behandling av voksne pasienter med synstap på grunn av væskeansamling i gule flekken (makulaødem) forårsaket av en venepropp i netthinnen.

Gjelder "P" i PICO.

Merk: Forslagstiller skal fortrinnsvis omtale hele den godkjente indikasjonen når en slik foreligger. Dersom forslaget er avgrenset til en undergruppe, bør dette begrunnes.

Til Beslutningsforum, nye metoder
Som representanter for spesialistgruppen for TNF BIO, representert av Helseforetakene Helse Sør-Øst, Helse Midt, Helse Nord og Helse Vest ønsker vi å supplere Beslutningsforum med nyere opplysninger som vi finner svært viktige. Det gjelder medikamentell behandling av ulcerøs kolitt (UC).

Vi er klinikere som behandler syke pasienter med ulcerøs kolitt, en inflammasjonstilstand som svinger gjennom livet, affiserer alle aldersgrupper, men diagnostiseres som oftest i ung alder. Sykdommen kan medføre stor sykdomsbyrde med hyppige og blodige avføringer, smerter i mage og generelt i kroppen, avføringsuhell, blodtap, betydelig tretthet og kan resultere i langvarig eller varig arbeidsuførhet. Hos noen kan denne sykdommen være så alvorlig at tykktarmen må fjernes, elektivt eller akutt, med de implikasjoner dette får for pasientene. Dersom en betennelsestilstand i tarmen først starter, er det svært viktig å komme raskt i posisjon for å hindre at sykdommen blusser så kraftig opp at vi ikke får kontroll på den medikamentelt. Målet med den medikamentelle behandlingen vi gir er at den skal virke fort og effektivt for å forhindre operasjon og stor sykdomsbyrde. Det foreligger ikke mange medikamenter som dekker dette behovet. Standard behandling ved alvorlig UC - Acute severe ulcerative colitis (ASUC)- er steroider intravenøst, infliksimab intravenøst, og ved manglende respons, JAK-hemmer.

I Europa er det tre JAK-hemmere som er godkjent for behandling av UC; Xeljanz® (tofacitinib), Jyseleca® (filgotinib) og Rinvoq® (upadacitinib). Sistnevnte kan ikke brukes i Norge etter avslag i Beslutningsforum i 2022, med begrunnelse i at det foreligger to andre JAK-hemmere med nesten samme virkningsmekanisme, og som er mer prisgunstige sammenliknet med Rinvoq®. Prof. Emeritus Jørgen Jahnsen anmodet i 2023 om revurdering av beslutningen da han, med rette, påpekte ulikheter i medikamentenes effekt, dosejustering og tolerabilitet. Han fikk avslag mtp revurdering.

	Ved ASUC er det kun upadacitinib og tofacitinib som har dokumentert effekt. Det foreligger ikke direkte sammenliknbare studier på disse medikamentene ved UC, men det er kommet nye studier og oversiktsartikler fra velrenommerte europeiske forskere som favoriserer upadacitinib pga klinisk rask effekt sammenliknet med de to andre godkjente JAK hemmere, upadacitinib vs tofacitinib og upadacitinib vs filgotinib (Ref 1,2, 3). Det foreligger også antydning om at det å skifte mellom JAK-hemmere kan være gunstig dersom den ene ikke har hatt tilstrekkelig effekt. Dette gjelder spesielt mellom tofacitinib og upadacitinib i akutte tilfeller (4). Når det gjelder å forhindre at pasientene må få fjernet sin tarm viser studier at både upadacitinib og tofacitinib kan forhindre dette ved ASUC i opptil 80 % av tilfellene (ref 5). Imidlertid viser studiene at upadacitinib virker signifikant raskest sammenliknet med tofacitinib (ref 6). I denne retrospektive studien med propensity score-analyse oppnådde 87% av pasientene på upadacitinib respons innen 7 dager, mot 54%, mens tallene for klinisk remisjon ved dag 7 var 45% versus 17% - et resultat som er statistisk signifikant, og klinisk svært signifikant. Det finnes lite dokumentasjon på bruk av den tredje JAK-hemmeren ,filgotinib, i en akutt situasjon. Det er ikke sett signifikante ulikheter i bivirkningsprofil, men teoretisk er tofacitinib en non-selektiv JAK-hemmer som hemmer immunforsvaret bredere enn de andre to. Klinikere er derfor betenkt med å starte bred immundempning når det finnes en selektiv, «mildere» variant som til og med virker raskere. På grunn av avslag i beslutningsforum for bruk av upadacitinib ved UC, kan vi i Norge kun tilby upadacitinib til pasienter med Crohns sykdom. Fagmiljøene har derfor etterhvert tilegnet seg god erfaring med bruken av medikamentet. Imidlertid foreligger det i Norge ulik håndtering av hvordan behandle de alvorlig syke UC pasientene. Noen sykehus gir ikke aksept for klinikerne å bruke upadacitinib, mens i andre sykehus har man innsett at medikamentet er så virkningsfullt at man likevel velger å gi
--	--

	pasienten dette i en akutt setting for å forhindre en total kolektomi. I de nyeste amerikanske guidelines fra juni 2025 for tarmreddende tiltak ved akutt ulcerøs kolitt, er tofacitinib og upadacitinib tatt med som to viktige medikamenter som kan brukes, men hvilket av de to som er best er det for små data tilstede for å slå fast. (Ref 7). I de nyeste britiske guidelines fra 2025 er upadacitinib det medikamentet som er foretrukket ved å oppnå remisjon og vedlikehold av betennelsen, men at ved ASUC er bevisene sammenliknet med tofacitinib foreløpig for små til å anbefale den ene foran den andre (Ref 8). Når man som kliniker står ovenfor en svært syk pasient, så er det viktigste å gi pasienten de medikamentene som virker fort og som har en akseptabel bivirkningsprofil. Slik håndteringen er blitt i Norge etter avslaget i beslutningsforum for bruk av upadacitinib ved UC, foreligger det urettferdig behandlingsstrategier av våre sykeste kolittpasienter. Flere oppdaterte fagmiljøer foretrekker upadacitinib ved akutt fare for kolektomi hos ASUC fordi det synes å være det beste alternativet etter steroider og infliksimab. Derfor anmoder vi i spesialistgruppen gastro at man vurderer på ny dokumentasjonen som foreligger mtp effekter av upadacitinib. Det er viktig å presisere at å beregne kostnaden for samfunnet ved at man forhindrer fjerning av tarm og unngår anleggelse av stomi, kan være krevende. Vi tillater oss å bemerke at å få utlagt tarm betyr ekstrakostnader til for eksempel intensivopphold, reoperasjoner, tilbakelegging, utstyr til stomi og opplæring, sykemelding og endring av livssituasjon som kan føre til uføretrygd. De reelle behandlingskostnader for de alternativene som foreligger er nok i praksis høyere enn det man la til grunn i 2023. Vi anmoder om en vurdering for bruk av upadacitinib hos en subgruppe av pasienter med alvorlig UC der det er behov for å ha flere medikamenter å tilby som har rask innsettende effekt. Ingen av de undertegnende spesialistene har relasjoner med firmaet Abbvie som produserer Rinvoq®.
--	--

	17.07.26 Med vennlig hilsen For spesialistgruppen for TNF BIO, gastroenterologi, Sykehusinnkjøp Silje Thorsvik, PhD, overlege, St Olavs hospital Øystein Kittel Moe, overlege, Universitetssykehuset i Nord-Norge Rune Isene, seksjonsoverlege, Lovisenberg diakonale sykehus,Oslo Hilde Løland von Volkmann, PhD, overlege Haukeland universitetssjukehus Referanser 1. Comparative Efficacy and Safety of Upadacitinib vs. Vedolizumab, Ustekinumab, and Tofacitinib After Induction and Maintenance for Ulcerative Colitis: Three Matching-Adjusted Indirect Comparisons, Reinisch et al, Adv.Therapy 2024 2. Comparative Effectiveness of Upadacitinib and Tofacitinib in Ulcerative Colitis: A US Propensity-Matched Cohort Study, Kochhar et al The American Journal of Gastroenterology 2024 3. Real-World Comparative Effectiveness and Safety of Filgotinib and Upadacitinib for Ulcerative Colitis: A Multicentre Cohort Study, Nogami et al, United European Gastroenterol, 2024 4. Sequencing JAK-inhibitors in ulcerative colitis: effectiveness and safety of switching within treatment class; Innocenti et al, JCC,feb 2026 5. Janus kinase inhibitors in the management of acute severe ulcerative colitis: a comprehensive review Javier Gisbert et al, Journal of Crohns and ulcerative Colitis,2025 6. Comparative Effectiveness of Tofacitinib vs Upadacitinib for the Treatment of Acute Severe Ulcerative Colitis,Honap et al, Clinica Gastroenterology and Hepatology, 2026
--	---

	7. ACG Clinical Guideline Update: Ulcerative Colitis in Adults. Rubin et al The American Journal of Gastroenterology 1, 2025. 8. British Guidelines, GUT 2025
4.2 Diagnostikk: Vil bruken av legemiddelet til den foreslåtte indikasjonen kreve en ny type, eller mer omfattende, testing av pasientene enn det som har vært praksis tidligere? <i>Hvis ja, kommenter kort.</i> <i>For eksempel: Er det behov for å analysere en biomarkør eller ta ytterligere prøver for å selektere hvilke pasienter som er aktuelle for behandling i tråd med indikasjonen?</i>	Ja ☐ Nei ☒ Vet ikke ☐ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

5. Historikk for vurdering	
5.1 Andre legemidler: Er du kjent med om Nye metoder har vurdert andre legemidler/virkestoff til samme indikasjon? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i> <i>Gjelder "C" i PICO.</i>	Ja ☒ Nei ☐ ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
5.2 Nordiske land: Er det gjennomført en metodevurdering i et annet nordisk land som du mener er relevant i norsk sammenheng? <i>Hvis ja, oppgi gjerne referanse.</i>	Ja ☐ Nei ☐ Vet ikke ☒ Referanse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
5.3 Europeisk samarbeid: Er, eller vil det, bli gjennomført en metodevurdering av det foreslåtte legemiddelet i det europeiske HTAR - samarbeidet?	Ja ☐ Nei ☐ Vet ikke ☒

6. Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring	
6.1 Har legemiddelet MT i Norge for én eller flere indikasjoner?	Ja ☒ Nei ☐ Vet ikke ☐
6.2 Har legemiddelet markedsføringstillatelse (MT) i Norge for indikasjonen i forslaget?	Ja ☒ Nei ☐ Vet ikke ☐
6.3 Er legemiddelet i bruk i Norge i dag til foreslått indikasjon/bruksområde?	Ja ☒ Nei ☐ Vet ikke ☐ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<i>Hvis ja, kommenter kort</i>	
6.4 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og / eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?	Ja ☐ Nei ☒ Vet ikke ☐ Se utfyllende brev
<i>Kommenter kort</i>	

7. Sykdommen og behandlingen	
7.1 Fagområde <i>Angi det fagområde som best beskriver metoden i forslaget.</i>	Velg fagområde fra menyen: Mage- og tarmsykdommer
7.2 Hvor mange pasienter dreier det seg om? <i>Antall pasienter i Norge per år som er aktuelle for behandling med legemiddelet til den aktuelle indikasjonen (ref. punkt 4.1).</i> <i>Insidens og prevalens.</i>	Ca 26 000 UC pasienter i Norge, derav anslås 15-25 % å risikere å få ASUC iløpet av livet, derav vil nok mange respondere på den konvensjonelle behandlingen (steroider og infliksimab, samt noen vil gå rett til kolektomi uten medisinsk forbehandling). Det er 10-15 % risiko for akutt kolektomi, og 1 % mortalitet. Antall som trenger Rinvoq i akuttbehandlingen er ikke fastlagt.
7.3 Hvilken behandling får pasientene i dag? <i>Hvilken behandling får pasientene som omfattes av indikasjonen/bruksområdet (ref. punkt 4.1) i dag?</i> <i>Hva er dagens standardbehandling?</i> <i>Angi gjerne en referanse til for eksempel en nasjonal faglig retningslinje.</i> <i>Gjelder «C» i PICO.</i>	Se utfyllende brev over, pkt 4
7.4. Kommenter kort hvilken plass legemiddelet i forslaget kan få eller har. Kommer det i tillegg til, eller erstatter det en annen behandling? <i>Beskriv det foreslåtte legemiddelets (mulige) plassering i behandlingsalgoritmen.</i>	Se brev, pkt 4

7.5 Hva er de viktigste utfallsmålene / endepunktene? <i>List gjerne opp i punktform.</i> <i>For eksempel: økt levetid, økt helserelatert livskvalitet, redusert kvalme, konsekvenser for behov for helsepersonell eller redusert antall sykehusbesøk.</i> <i>Gjelder «O» i PICO.</i>	Målet ved ASUC er å unngå akutt kolektomi ved god medikamentell behandling, men også å få pasienter i vedvarende remisjon deretter. Se utfyllende brev, pkt 4 .
---	--

8. Andre relevante opplysninger

Den medikamentelle behandlingen for pasienter med UC, fortrinnsvis ASUC er vanskelig å forutsi responsen av da vi aldri kan vite hvem som responder og hvem som ikke gjør det. Derfor er det viktig å ha ulike medikamenter til rådighet som har vist effekt. Det at man kan skifte mellom ulike medikamenter og oppnå effekt selv om virkningsmekanisme teoretisk er de samme, er av stor betydning. Dette gjelder både ved en moderat alvorlig inflammasjonsgard, og ikke minst ved ASUC. Innen behandlingen av Inflammatorisk tarmsykdom har vi begrensede medikamenter å tilby (sammenliknet med for eksempel innen revmatologien), slik at det er særst viktig at det er mulig å få godkjent å bruke medikamenter som er veldokumentert og som viser god effekten og lite bivirkninger.

9. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv forslagstillers relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av legemiddelet som foreslås metodevurdert. Eksempler: Forslagsstiller har økonomiske interesser i saken. Forslagsstiller har eller har hatt oppdrag i forbindelse med, eller har andre bindinger knyttet til legemiddelet eller aktører som har interesser i legemiddelet.

Ingen av de undertegnende spesialistene har relasjoner med firmaet Abbvie som produserer Rinvoq®.

Mer informasjon om Nye metoder, finnes på nettsiden nyemetoder.no.

Nye metoder: Innspill til metoder, oppdrag og beslutninger

Bruk dette skjemaet for å gi innspill til metoder i Nye metoder uansett hvor de befinner seg i prosessen. Skjemaet skal for eksempel brukes hvis du har innspill til en metode i en anmodning eller et forslag som skal behandles i Bestillerforum for nye metoder. Det skal også brukes for innspill til oppdrag som er gitt av Bestillerforum, og for innspill til beslutninger som er tatt.

Det er generelt ønskelig at innspill kommer inn så tidlig som mulig i prosessen, gjerne før metoden behandles i Bestillerforum.

Utfylt skjema sendes til Sekretariatet for Nye metoder; nyemetoder@helse-sorost.no. Merk e-posten med "innspill" og ID-nummer.

Merk: Punkt 1-3 og 11 skal fylles ut av alle. Øvrige punkter fylles ut avhengig av hva innspillet gjelder.

Jeg er klar over at skjemaet kan bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av): ☒
Har du informasjon du mener ikke kan offentliggjøres, ta kontakt med sekretariatet før innsending.

Jeg har fylt ut punkt 11 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av): ☒

1.Hvilken metode gjelder innspillet?	
ID-nummer*:	ID2022_044
Metodens navn:	Upadacitinib (Rinvog)

*ID-nummer finner du på metodesiden på nyemetoder.no og har formen ID2024_XXX.

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Arne Carlsen
Eventuell organisasjonstilhørighet/arbeidsplass/firma	Stavanger Universitetssykehus, Helse Stavanger
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	caraar@ihelse.net, 51518000

3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) <i>Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.</i>
Fra klinikers ståsted ved et universitetssykehus med høyt volum av IBD-pasienter, og her spesielt relevant pasienter med ulcerøs kolitt, er det svært ønskelig at upadacitinib godkjennes av «Nye metoder» på indikasjonen ulcerøs kolitt. Av de medikamentene vi har godkjent for UC er synes effekten hurtigst innsettende (PMID: 36864986) og medikamentet er blant de mest effektive på markedet (PMID: 36864986). Den lille erfaringen vi har innen behandling av ulcerøs kolitt med upadacitinib tilsier at medikamentet er svært effektivt, også ved alvorlig ulcerøs kolitt, og et medikament man kan oppnå effekt av ved behandlingssvikt også på andre medikamenter innenfor JAK-inhibitorne.

Mer detaljert informasjon og innspill til PICO*

*PICO er et verktøy for å formulere presise problemstillinger i metodevurderingsarbeid. PICO er en forkortelse for Population/Problem – Intervention – Comparison – Outcome. PICO brukes til å presisere hvilken populasjon/problem som skal studeres, hvilke(t) tiltak (metode/behandling) som skal vurderes, hvilket tiltak-det er naturlig å sammenligne med, og hvilke utfall/endepunkter det å er relevant å måle/vurdere. PICO er viktig for planlegging og gjennomføring av en metodevurdering.

4. Kjenner du til om metoden er i bruk i Norge i dag?

Er metoden i bruk utenom kliniske studier i dag (kryss av hvis ja): ☒

Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk: Siden godkjenning av medikamentet for IBD

Hvor er eventuelt metoden i bruk: Off-label behandling for ulcerøs kolitt (kliniker-initiert)

5. Hvilken pasientgruppe i den norske spesialisthelsetjenesten er metoden aktuell for? (PICO)

Beskriv kortfattet: Ulcerøs kolitt (IBD)

6. Er du kjent med behandlingsalternativer til denne metoden og hvordan disse fungerer for pasientgruppen i dag? (PICO)

Beskriv kortfattet: Ja, det er en lang liste med medikamenter som er godkjent for bruk, og har blitt tatt inn i LIS-anbudet

7. Har du innspill til hva som vil være viktig for pasienter som er aktuelle for behandling med metoden? (PICO)

Hva kan oppfattes som en fordel for pasienter og brukere med denne metoden sammenlignet med aktuelle alternativer? Hvilke endepunkter/resultater av behandlingen er det aktuelt å måle? Beskriv kortfattet: Hurtig innsettende effekt, peroral administrasjon. Vanlige behandlingsmål for medikamentell behandling av IBD.

8. Spesielt for medisinsk utstyr (besvares av leverandør): CE-merking

Foreligger det CE-merking for bruksområdet som beskrives i metoden? I så fall angi type og tidspunkt: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

9. Spesielt for legemidler (besvares av leverandør): Markedsføringstillatelse (MT)

Har legemiddelet MT for indikasjonen som omfattes av metoden? Angi i så fall tidspunkt eller ventet tidspunkt for MT: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

10. Andre kommentarer

Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv dine relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Beskriv kortfattet: Overlege i gastroenterologi med daglig pasientkontakt med IBD-pasienter. Medlem i NGFs IBD-gruppe. Mottatt forelesningshonorar eller deltatt i AD-board el. lignende for Tillots Pharma, Takeda, Lilly, J&J og Abbvie

Nye metoder: Innspill til metoder, oppdrag og beslutninger

Bruk dette skjemaet for å gi innspill til metoder i Nye metoder uansett hvor de befinner seg i prosessen. Skjemaet skal for eksempel brukes hvis du har innspill til en metode i en anmodning eller et forslag som skal behandles i Bestillerforum for nye metoder. Det skal også brukes for innspill til oppdrag som er gitt av Bestillerforum, og for innspill til beslutninger som er tatt.

Det er generelt ønskelig at innspill kommer inn så tidlig som mulig i prosessen, gjerne før metoden behandles i Bestillerforum.

Utfylt skjema sendes til Sekretariatet for Nye metoder; nyemetoder@helse-sorost.no. Merk e-posten med "innspill" og ID-nummer.

Merk: Punkt 1-3 og 11 skal fylles ut av alle. Øvrige punkter fylles ut avhengig av hva innspillet gjelder.

Jeg er klar over at skjemaet kan bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av): ☒
Har du informasjon du mener ikke kan offentliggjøres, ta kontakt med sekretariatet før innsending.

Jeg har fylt ut punkt 11 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av): ☒

1.Hvilken metode gjelder innspillet?	
ID-nummer*:	ID2022_044
Metodens navn:	Upadacitinib (Rinvoq)

*ID-nummer finner du på metodesiden på nyemetoder.no og har formen ID2024_XXX.

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Mads Johansson
Eventuell organisasjonstilhørighet/arbeidsplass/firma	Mage-tarmforbundet
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	Mads.johansson@magetarm.no / 97956116

3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle) <i>Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.</i>
Innspill fra Mage-tarmforbundet vedrørende revurdering av upadacitinib (Rinvoq) ved ulcerøs kolitt (ID2022_044) Mage-tarmforbundet representerer mennesker som lever med inflammatoriske tarmsykdommer over hele landet. Vi ønsker med dette å bidra med et pasientperspektiv i forbindelse med den innsendte anmodningen om revurdering av upadacitinib (Rinvoq) til behandling av moderat til alvorlig ulcerøs kolitt. Vi kommenterer ikke prisnivå eller kommersielle forhold, men ønsker å belyse hvilke konsekvenser begrenset tilgang til behandlingsalternativer har for pasienter som lever med en

alvorlig og ofte livsbegrensende sykdom.

Pasienter med ulcerøs kolitt trenger flere behandlingsalternativer

Ulcerøs kolitt er en kronisk sykdom som kan gi betydelige plager i form av hyppige og akutte toalettbesøk, blødninger, smerter, fatigue, søvnforstyrrelser og redusert deltakelse i arbeidsliv, utdanning og sosialt liv.

Selv om det finnes flere tilgjengelige behandlinger for ulcerøs kolitt, er det en betydelig gruppe pasienter som over tid opplever at behandlinger mister effekt, eller som aldri oppnår tilfredsstillende sykdomskontroll.

For disse pasientene kan tilgang til et nytt behandlingsalternativ være avgjørende. Når flere tidligere behandlinger har sviktet, kan ett ytterligere alternativ utgjøre forskjellen mellom sykdomskontroll og fortsatt betydelig sykdomsbyrde, gjentatte sykehusinnleggelser eller kirurgi.

Pasienter responderer forskjellig på behandling

Erfaringene fra personer som lever med ulcerøs kolitt viser at respons på behandling varierer betydelig fra pasient til pasient.

Det finnes ingen garanti for at en pasient som ikke oppnår effekt av én behandling vil ha tilsvarende nytte av en annen, selv innen samme behandlingsgruppe. På samme måte ser vi at enkelte pasienter oppnår god og varig sykdomskontroll med behandlinger som ikke har fungert for andre.

Fra et pasientperspektiv er det derfor viktig at behandlende lege har tilgang til flere behandlingsalternativer når etablerte behandlinger ikke gir ønsket effekt.

Opplevelsen av ulik tilgang mellom Crohns sykdom og ulcerøs kolitt

Upadacitinib er tilgjengelig for Crohns sykdom, men ikke for ulcerøs kolitt. Fra et pasientperspektiv er det vanskelig å forstå.

Vi har forståelse for at metodevurderinger gjennomføres separat for ulike indikasjoner. Samtidig oppleves det urimelig for mange pasienter at to nært beslektede sykdommer med betydelig overlappende sykdomsbelastning og behandlingsbehov får ulik tilgang til samme legemiddel.

Dette skaper en opplevelse av forskjellsbehandling som det er vanskelig for pasientene å forstå.

Lav prioritet er bedre enn ingen tilgang

Mage-tarmforbundet mener det er viktig å skille mellom et legemiddel som er lavt prioritert og et legemiddel som ikke er tilgjengelig i det hele tatt.

For pasienter som har god effekt av førstelinje- eller høyt rangerte behandlinger, vil dette ha liten betydning. For pasienter som har vært gjennom mange behandlingsalternativer uten tilfredsstillende effekt, er forskjellen derimot svært stor.

Når et legemiddel ikke innføres, mister disse pasientene et mulig behandlingsalternativ helt, uavhengig av medisinske forhold.

Ulik praksis mellom sykdomsområder

Vi vil også peke på at det i enkelte andre indikasjoner, blant annet revmatoid artritt, er etablert praksis for å rangere flere behandlingsalternativer innen samme legemiddelklasse.

Dette innebærer at pasienter og behandlere har tilgang til flere alternativer, selv om disse ikke er likt prioritert.

Fra et pasientperspektiv er det vanskelig å forstå hvorfor et slikt prinsipp kan anvendes på ett sykdomsområde, mens pasienter med ulcerøs kolitt ikke gis tilgang til et tilsvarende behandlingsalternativ i det hele tatt.

Vi mener dette er et relevant perspektiv når behovet for likebehandling og tilgang til individuelle behandlingsvalg vurderes.

Systemutforming bør ikke hindre tilgang til relevante behandlingsalternativer

Mage-tarmforbundet har fått opplyst at dagens system i utgangspunktet bygger på samme rabatt på tvers av indikasjoner. Dette kan innebære at en pris som gjør et legemiddel aktuelt for ulcerøs kolitt, samtidig får konsekvenser for andre indikasjoner der legemidlet allerede er innført.

Fra et pasientperspektiv er det uheldig dersom slike systemmessige forhold bidrar til at pasienter med ulcerøs kolitt mister tilgang til et behandlingsalternativ som ellers kunne vært aktuelt.

Vi registrerer samtidig at det finnes mekanismer, herunder prisvolumavtaler, som kan bidra til mer målrettede løsninger mellom ulike indikasjoner. Vi mener det er viktig at slike muligheter vurderes når de kan bidra til å gi pasienter med alvorlig sykdom tilgang til flere behandlingsalternativer.

Pasientperspektivet bør tillegges vekt i revurderingen

Mage-tarmforbundet mener at personer med moderat til alvorlig ulcerøs kolitt bør ha tilgang til et bredest mulig spekter av dokumenterte behandlingsalternativer.

For pasienter som står igjen med få eller ingen effektive alternativer, kan tilgang til ytterligere behandlinger ha stor betydning for helse, livskvalitet, arbeidsevne og muligheten til å leve et normalt liv.

Vi ber derfor om at pasientenes behov for flere behandlingsalternativer, individuell variasjon i behandlingsrespons og hensynet til likebehandling tillegges vekt ved vurderingen av om upadacitinib bør revurderes for denne pasientgruppen.

Mer detaljert informasjon og innspill til PICO*

*PICO er et verktøy for å formulere presise problemstillinger i metodevurderingsarbeid. PICO er en forkortelse for Population/Problem – Intervention – Comparison – Outcome. PICO brukes til å presisere hvilken populasjon/problem som skal studeres, hvilke(t) tiltak (metode/behandling) som skal vurderes, hvilket tiltak-det er naturlig å sammenligne med, og hvilke utfall/endepunkter det å er relevant å måle/vurdere. PICO er viktig for planlegging og gjennomføring av en metodevurdering.

4. Kjenner du til om metoden er i bruk i Norge i dag?

Er metoden i bruk utenom kliniske studier i dag (kryss av hvis ja): ☐

Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Hvor er eventuelt metoden i bruk: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

5. Hvilken pasientgruppe i den norske spesialisthelsetjenesten er metoden aktuell for? (PICO)

Beskriv kortfattet:

Voksne pasienter med moderat til alvorlig aktiv ulcerøs kolitt som har hatt utilstrekkelig respons, mistet respons eller er intolerante mot konvensjonell behandling eller biologiske legemidler.

6. Er du kjent med behandlingsalternativer til denne metoden og hvordan disse fungerer for pasientgruppen i dag? (PICO)

Beskriv kortfattet:

Det finnes flere behandlingsalternativer, herunder biologiske legemidler og JAK-hemmere. Likevel opplever en del pasienter behandlingssvikt eller tap av effekt over tid, og har behov for flere tilgjengelige alternativer.

7. Har du innspill til hva som vil være viktig for pasienter som er aktuelle for behandling med metoden? (PICQ)

Hva kan oppfattes som en fordel for pasienter og brukere med denne metoden sammenlignet med aktuelle alternativer? Hvilke endepunkter/resultater av behandlingen er det aktuelt å måle? Beskriv kortfattet:

Se utfyllende beskrivelse i punkt 3. For pasienter med ulcerøs kolitt er tilgang til flere behandlingsalternativer, mulighet for individuell tilpasning av behandling og redusert risiko for behandlingssvikt særlig viktige forhold.

8. Spesielt for medisinsk utstyr (besvares av leverandør): CE-merking

Foreligger det CE-merking for bruksområdet som beskrives i metoden? I så fall angi type og tidspunkt: [Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.](#)

9. Spesielt for legemidler (besvares av leverandør): Markedsføringstillatelse (MT)

Har legemiddelet MT for indikasjonen som omfattes av metoden? Angi i så fall tidspunkt eller ventet tidspunkt for MT: [Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.](#)

10. Andre kommentarer

[Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.](#)

11. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv dine relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Beskriv kortfattet:

Mage-tarmforbundet mottar begrenset støtte fra flere legemiddelselskaper, blant annet gjennom annonser i medlemsbladet og støtte til arrangementer. Støtten er ikke knyttet til denne saken og innspillet er utarbeidet av Mage-tarmforbundet på selvstendig grunnlag.

9Saksnummer 110-26 Oppsummering fra sekretariatet

Metodevarsel: ID2026_023 Magnetisk resonans (MR)-veiledet stråleterapi (MRgRT) til behandling av kreft

Kort om metoden fra metodevarslet

- Metoden omhandler bruk av MR for å veilede stråleterapi for kreft i sanntid, slik at behandler kan «se» svulsten og tilpasse strålingen mens pasienten behandles.
- MRgRT kan brukes ved flere ulike typer kreft, inkludert prostatakreft, lungekreft og pankreaskreft.
- Identifisert tre ulike MRgRT-systemer som er CE-merket.
- Dokumentasjonsgrunnlag:
 - o Identifisert fire metodevurderinger om omhandler MRgRT ved ulike typer kreft, fra Canada (2019), Sverige (2020), Singapore (2022) og Irland (2025).
 - o identifisert flere systematiske oversikter som omhandler MRgRT ved ulike typer kreft: Prostatakreft: 4 SR, pankreaskreft: 2 SR, lungekreft: 1 SR, og hjernekreft: 1 SR
 - o De fleste studiene som disse metodevurderingene og systematiske oversiktene er basert på, er ikke-randomiserte kontrollerte studier.
 - o Identifisert flere pågående RCT-studier som omhandler MRgRT ved ulike typer kreft, estimert ferdigstilt 2026-2034.
- Helseøkonomi:
 - o Tilgjengelig informasjon tilsier at investeringskostnadene er høye og omfatter kostnader knyttet til innkjøp/leie av MR linac, installasjon, ombygging av fasiliteter, service- og driftsavtaler, samt opplæring av personell.
 - o Den svenske metodevurderingen anslo investeringskostnaden for en MR-Linac til rundt 50 millioner SEK, mot 25 millioner SEK for en standard linac (ekskl. bygningsendringer). MRgRT krever også ekstra bemanning og lengre behandlingstid, noe som øker kostnadene og reduserer kapasiteten.
- Bestillingsanbefaling:
 - o Ideelt sett virker metoden å egne seg for fullstendig metodevurdering, ettersom: 1) metoden virker å være ny, og ikke innført i Norge, 2) metoden er ikke tidligere vurdert i Nye metoder-systemet, 3) metoden kan bidra til bedret behandling, men virker å være mer ressurskrevende, både med tanke på personell, tid og kostnader, enn standard behandling, og 4) det finnes flere produsenter av MRgRT som har CE-merking.
 - o Det virker imidlertid mer hensiktsmessig å gjøre en kartleggingsoversikt (tilsvarende som i oppdrag ID2022_076 om Fotontellende CT), da MRgRT kan benyttes ved en rekke ulike krefttyper. Ved å kartlegge dokumentasjonen ved ulike typer kreft, kan det gis et bredere oversiktsbilde av metoden.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: 1 innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.

- Helse Vest RHF: 1 innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening (FMF): Ingen innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet:

Division spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Flere handlingsprogram kan bli påvirket
- for eksempel prostatakraft, lungekreft og pankreaskraft.

Metodevarsel

1. Status og oppsummering

Magnetisk resonans (MR)-veiledet stråleterapi (MRgRT) til behandling av kreft

1.1 Oppsummering

Metoden omhandler bruk av MR for å veilede stråleterapi for kreft i sanntid, slik at behandler kan «se» svulsten og tilpasse strålingen mens pasienten behandles. MRgRT kan brukes ved flere ulike typer kreft, inkludert prostatakreft, lungekreft og pankreaskreft. Metoden skal gi mer nøyaktig strålefelt og bedre treffsikkerhet for strålebehandlingen. Vi har identifisert fire metodevurderinger, hvorav én publisert i 2025 (Irland) og flere systematiske oversikter, men alle virker hovedsakelig å være baserte på ikke-randomiserte kontrollerte studier.

Populasjon: Personer med kreft, som har behov for stråleterapi

Komparator: standard behandling, f.eks. CT-veiledet stråleterapi (CTgRT)

Intervensjon: MR-veiledet stråleterapi (MRgRT)

Utfall: tumorstørrelse, overlevelse, progresjonsfri overlevelse, toksisitet, uønskede hendelser, behandlingstid, respons, remisjon, tilbakefall, antall strålebehandlinger

Forslag til fagekspert: onkologer, radiografer, medisinske fysikere,

1.2 Metodetype

Medisinsk utstyr, diagnostikk og tester

1.3 Fagområde

Kreftsykdommer

F.eks., prostata, lunge, lever, pankreas, bryst, lymfeknuter, og rektum.

1.4 Tagger/søkeord

- | | |
|---|--|
| ☐ Tilhørende diagnostikk | ☒ Medisinsk stråling |
| ☐ Genterapi | ☐ Vaksine |
| | ☐ Kunstig intelligens |

1.5 Status for godkjenning

- ☐ Markedsføringstillatelse
☒ FDA godkjenning
☒ CE-merking

Kommentar:

CE-merket klasse IIb

1.6 Finansieringsansvar

- ☒ Spesialisthelsetjenesten
☐ Folketrygd
☐ Kommune
☐ Annet

1.7 Status for bruk

- | | |
|---|---|
| ☒ Under utvikling | ☐ Brukes i Norge |
| ☐ Under innføring | ☒ Brukes i EU/EØS |
| ☐ Revurdering | ☐ Ny/endret indikasjon |
| Kommentar: | ☐ Ny/endret metode |

1.8 Bestillingsanbefaling

- 1:** ☐ Fullstendig metodevurdering
☐ Effekt ☐ Helseøkonomi ☐ Etikk
☐ Sikkerhet ☐ Organisasjon ☐ Jus

- 2:** ☐ Metodevurdering basert på innsendt dokumentasjon fra produsent/leverandør

- 3:** ☐ Metodevurdering uten innsendt dokumentasjon, med forenklet metodisk tilnærming
 A: ☐ Effekt, sikkerhet og helseøkonomi
 B: ☐ Effekt og sikkerhet
 C: ☐ Helseøkonomi
 D: ☒ Kartleggingsoversikt

Kommentar: Det virker mest hensiktsmessig å gjøre en kartleggingsoversikt (tilsvarende som i oppdrag ID2022_076 om Fotontellende CT), der dokumentasjonsgrunnlaget for MRgRT kartlegges for ulike typer kreft. I kartleggingen bør det også inngå en enklere helseøkonomisk vurdering av metoden (f.eks. budsjettkonsekvensanalyse), samt egne kapitler om organisatoriske aspekter og strålevern.

2. Punktoppsummering

Magnetisk resonans (MR)-veiledet stråleterapi (MRgRT) til behandling av kreft

2.1 Om metoden

- Metoden MR-veiledet stråleterapi (MRgRT) går ut på at å bruke MR for å veilede stråleterapi for kreft i sanntid, slik at behandler kan «se» svulsten og tilpasse strålingen mens pasienten behandles.
- Vi har identifisert tre ulike MRgRT-systemer som er CE-merket, hvorav Elektra Unity (Elektra AB, Sverige) og MRIdian A3i (Viewray Systems Inc., USA) virker å være i mest utstrakt bruk.
- MRgRT kan brukes ved flere ulike krefttyper, inkludert prostatakreft, lungekreft og pankreaskreft.
- Nytte: metoden skal gi bedre visualisering i bløtvev og bedre avgrensning av tumor, som igjen skal gi mer nøyaktig strålefelt og bedre treffsikkerhet.
- Risiko: metoden kan ha utfordringer med artefakter og bildeforvrengning, og ha redusert mulighet for rotasjonsbehandling, og bruker lengre tid enn nåværende behandling.
- Dagens strålebehandling benytter CT.
- Ca. halvparten av alle kreftpasienter mottar stråleterapi som en del av sin kreftbehandling.

2.2 Om dokumentasjonsgrunnlaget

- Metodevurderinger: vi har identifisert fire metodevurderinger om omhandler MRgRT ved ulike typer kreft, fra Canada (2019), Sverige (2020), Singapore (2022) og Irland (2025).
- Systematiske oversikter (SR): vi har identifisert flere systematiske oversikter som omhandler MRgRT ved ulike typer kreft:
 - Prostatkreft: 4 SR, pankreaskreft: 2 SR, lungekreft: 1 SR, og hjernekreft: 1 SR
- De fleste studiene som disse metodevurderingene og systematiske oversiktene er basert på, er ikke-randomiserte kontrollerte studier.
- Vi har identifisert flere pågående RCT-studier som omhandler MRgRT ved ulike typer kreft, estimert ferdigstilt 2026-2034

2.3 Om helseøkonomi

- Vi fant ikke offentlig tilgjengelige priser for MR-veilede stråleterapisystemer (MRgRT).
- Tilgjengelig informasjon tilsier at investeringskostnadene er høye og omfatter kostnader knyttet til innkjøp/leie av MR-linac, installasjon, ombygging av fasiliteter, service- og driftsavtaler, samt opplæring av personell.
- Den svenske metodevurderingen anslo investeringskostnaden for en MR-Linac til ca. 50 millioner SEK, sammenlignet med 25 millioner SEK for dagens standard linac (ekskl. bygningsendringer). Ifølge analysen, krever MRgRT ekstra bemanning: én onkolog, én fysiker og én spesialsykepleier i tillegg til eksisterende personale. Behandlingsøktene er lengre enn med dagens teknikk, noe som påvirker kapasitet og kostnad per pasient.

2.4 Om bestillingsanbefaling

- Ideelt sett virker metoden å egne seg for fullstendig metodevurdering, ettersom: 1) metoden virker å være ny, og ikke innført i Norge, 2) metoden er ikke tidligere vurdert i Nye metoder-systemet, 3) metoden kan bidra til bedret behandling, men virker å være mer ressurskrevende, både med tanke på personell, tid og kostnader, enn standard behandling, og 4) det finnes flere produsenter av MRgRT som har CE-merking.
- Det virker imidlertid mer hensiktsmessig å gjøre en kartleggingsoversikt (tilsvarende som i oppdrag ID2022_076 om Fotontellende CT), da MRgRT kan benyttes ved en rekke ulike krefttyper. Ved å kartlegge dokumentasjonen ved ulike typer kreft, kan det gis et bredere oversiktsbilde av metoden.

3. Beskrivelse av metoden	
Magnetisk resonans (MR)-veiledet stråleterapi (MRgRT) til behandling av kreft	
Generisk navn	Stråleterapi med magnetisk resonansveiledning
Produktnavn	Elektra Unity MR-linac, MagnetTx Aurora-RT, MRIdian A3i
Produsenter	Elektra AB (Sverige), MagnetTx Oncology Solutions (Canada), ViewRay Systems (USA)
3.1 Beskrivelse av metoden	
Status og prinsipp for metode	Metoden omhandler bruk av magnetisk resonans (MR) som veiledning til stråleterapi for behandling av kreft (MR-guided radiotherapy; MRgRT). Metodeprinsippet går ut på at MR brukes for å veilede stråleterapien i sanntid, slik at behandler kan «se» svulsten og tilpasse strålingen mens pasienten behandles. Vi har identifisert tre ulike MRgRT-systemer: Elektra Unity MR-linac (Elektra AB, Sverige) [1], MagnetTx Aurora-RT (MagnetTx Oncology Solutions, Canada) [2], og MRIdian A3i (ViewRay Systems, USA) [3], som alle er CE-merket klasse IIb. Alle systemene inkorporerer en lineær akselerator (linac) strålekilde, men ser ut til å variere noe med hensyn på bl.a. magnetfeltstyrke, bildekvalitet, og behandlingstid. De tre systemene er forsøkt oppsummert og sammenliknet ved hjelp av ChatGPT i Tabell 1. Både Aurora-RT og MRIdian A3i er begge indisert for «behandling av lesjoner, tumorer og tilstander overalt i kroppen hvor stråleterapi er indisert» [4, 5]. ViewRay Systems oppgir imidlertid på sine nettsider at MRIdian A3i har vært brukt/brukes til behandling av prostatakreft, pankreaskreft, lungekreft, leverkreft, brystkreft og oligometastatisk kreft (dvs. kreft som har metastasert til ≤5 steder) [6]. Med hensyn på Elektra Unity, oppgir produsent på sine nettsider at systemet brukes til å behandle over 40 ulike indikasjoner, inkludert kreft i prostata, lever, pankreas, rektum og lymfeknuter, samt metastaser [7]. Av de tre oppgitte systemene, virker det som om Elektra Unity og MRIdian A3i er i mest utstrakt bruk. I 2023 gikk Viewray Inc. konkurs, og all bruk av kjøpt utstyr ble stanset [8]. Ifølge ChatGPT ble et nytt firma: Viewray Systems Inc. dannet i 2024, og tok over alle eiendeler fra det gamle Viewray-firmaet. Ifølge Sykehusinnkjøp er ikke metoden etablert i Norge, og det finnes ikke avtaler eller kommende anskaffelser på dette utstyret per i dag.
Potensiell nytte	Det er oppgitt å være flere fordeler med MRgRT-behandling fremfor stråleterapi med annen form for bildeveiledning [9]: 1) Bedre visualisering i bløtvev uten kontrastmiddel [9]. 2) Bedre avgrensning av tumor (målvolum), som gir mer nøyaktig strålefelt og bedre treffsikkerhet. Mer presis stråling gjør at man kan gi en høyere stråledose, som potensielt kan gi bedre tumorkontroll uten å gi tilsvarende økning i bivirkninger [7, 9]. 3) Bedre håndtering av bevegelse i kroppen under behandling (f.eks. pusting, tarmbevegelse, osv), hvilket gir mindre marginer rundt tumor som kan bety mer presis behandling i dynamiske organer [9]. 4) Responsstyrt behandling, som kan tilpasses både underveis og over tid, bl.a. gjennom påvisning av volumendringer og signalendringer i vev [9]. 5) Pga. sanntidsmonitorering behøves det ikke røntgentette implantater («fiducial») for å markere og gjøre tumoren mer synlig [9].

	6) Begrenset tilleggsstråling ettersom MR ikke benytter ioniserende stråling [9]. Dette vil a) være gunstig for bl.a. barn og yngre pasienter, og b) gi mulighet for hyppigere og kontinuerlig avbildning, både før og under strålebehandling [9].
Sikkerhetsaspekter og risikoforhold	Som ved annen stråleterapi kan det oppstå strålerelaterte bivirkninger og uønskede hendelser under og etter behandling. Det virker likevel ikke som om MR-delen av metoden utgjør en større sikkerhetsrisiko. På grunn av det sterke magnetfeltet er det likevel ikke alle som kan benytte MR, f.eks. personer med pacemakere. Noen vil også kunne oppleve klaustrofobi og ubehag under MRgRT. I tillegg kan det være utfordringer/problemer med artefakter og bildeforvrengning, som kan påvirke nøyaktigheten av tumoravgrensning og presisjon av stråledose [10]. Det er også beskrevet begrensninger med hensyn på behandlingsplanlegging, inkludert redusert mulighet for rotasjonsbehandling (<i>arc therapy</i>), mindre fleksibilitet i stråleforming (kollimering) og færre tilgjengelige strålevinkler, noe som kan påvirke optimalisering av dosefordeling [10]. MRgRT tar også lengre tid enn stråleterapi med annen form for bildeveiledning, hvilket kan føre til økt ventetid og større press på ressursene.
Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag	Kreft er en samlebetegnelse på sykdommer med ukontrollerbar celledeling, og kan oppstå i alle kroppens celler og organer [11]. Det finnes flere risikofaktorer for kreftutvikling, inkludert høy alder, livsstil (som f.eks. røyking), og genetikk [11]. Behandling kan inkludere kirurgi, cellegift, immunterapi og/eller strålebehandling, og tilpasses for hver pasient og krefttype [12]. Som tidligere nevnt er MRgRT indisert for flere ulike typer tilstander der stråleterapi er indisert, inkludert ulike typer kreft, og dette kan potensielt utgjøre en veldig stor populasjon. Per 31.desember 2024 var det totalt 347 867 personer som levde med kreft i Norge [13]. Med hensyn på de spesifikke krefttypene som er behandlet med MRgRT, var prevalensen i Norge ved utgangen av 2024 som følger: 1) leverkreft: 946, 2) pankreaskreft: 1 872, 3) lungekreft: 12 118, 4) rektum: 14 930, 5) brystkreft: 61 204, og 6) prostatakreft: 65 858 [13]. Ifølge Kreftforeningen vil ca. halvparten av alle kreftpasienter motta stråleterapi som en del av sin kreftbehandling [14].
Dagens behandling	Det virker som om dagens strålebehandling i stor grad gjennomføres med computertomografi (CT), der røntgenstråler brukes for å utvikle en individuelt tilpasset behandlingsplan i forkant av stråleterapien [15-17].
Helseøkonomi	Vi har ikke funnet offentlig tilegnelige priser for noen av MRgRT-systemer, men forventer at eventuell innføring er forbundet med betydelige investeringskostnader omfattende innkjøp/leie av MR-veiledede linac-systemer, installasjonskostnader, eventuelle ombygningskostnader, service- og driftsavtaler samt opplæringskostnader. En evaluering av kostnader forbundet med MRgRT var utført som del av den svenske metodevurderingen [18]. Investeringskostnaden for en lineær akselerator med integrert MR (MR-Linac) ble anslått til 50 millioner SEK, sammenlignet med 25 millioner SEK for den nåværende akseleratoren for strålebehandling (eksklusive potensielle kostnader knyttet til endringer i fasiliteter). Videre krever MRgRT ekstra personale (i tillegg til nåværende personale, én onkolog, én fysiker og én spesialsykepleier) og 3–4 ganger lengre behandlingstider sammenlignet med dagens teknikk. Kostnaden per behandling avhenger av antall pasienter som behandles per år. Forutsatt MRgRT-behandling av 40 pasienter årlig, er den ekstra kostnaden per behandlingstid med MR-Linac omtrent 7000 SEK, og omtrent 95 000 SEK per pasient, som er omtrent 2–2,5 ganger høyere enn med den nåværende Linac-en.

Tabell 1: Sammenlikning av tre MRgRT-systemer, laget ved hjelp av ChatGPT

Egenskap	Elekta Unity	MRIdian (A3i)	Aurora-RT
Produsent	Elekta	ViewRay Systems	MagnetTx Oncology Systems
CE-merking	Ja	Ja	Ja (produsentoppgitt)
Magnetfeltstyrke	1,5 Tesla (høyfelt)	0,35 Tesla (lavfelt)	~0,5–1,0 Tesla (rapportert)
MR-bildekvalitet	Nær diagnostisk kvalitet, høy signal-til-støy	Lavere signal-til-støy, men egnet for sporing	Utformet for balansert avbildning og behandlingsgeometri
Linak-type	Konvensjonell linak integrert med MR	Linak integrert med MR	Linak integrert med roterende MR
Sanntidsavbildning under behandling	Ja	Ja	Ja
Bevegelseshåndtering	Avansert (sporing og adaptiv tilpasning)	Sterk sanntids gating og sporing	Oppgitt sanntidssporing (begrenset publisert dokumentasjon)
Adaptiv stråleterapi	Full online adaptiv (ATP/ATS)	Online adaptiv (veletablert)	Adaptive løsninger (tidlig fase)
Arbeidsflyt / behandlingsprinsipp	Bildebasert presisjon, adaptiv behandling per fraksjon	Sporings- og gatingbasert tilnærming	Designet for kontinuerlig avbildning og enklere geometri
Behandlingstid (typisk)	~20–45 min	Ofte ~30–60 min i praksis	Ikke godt dokumentert
Geometri / design	Lukket MR-bore	Lukket MR-bore	Åpen / roterende magnetdesign
Klinisk modenhet	Høy (bred innføring i Europa)	Moderat (etablert, men mindre utbredt)	Tidlig fase
Installert base	Flere titalls systemer globalt	Flere titalls systemer	Svært begrenset
Kunstig intelligens	Ja; Moden bruk til auto-segmentering, planlegging og workflow-støtte (særlig i adaptiv RT)	Ja; Begrenset/moderat KI-bruk; mer fokus på MR-sporing og sanntids gating enn AI-basert planlegging	Ja; Tidligfase; KI lite dokumentert og primært utviklings-/potensialfokus
Oppsummert			
Hovedstyrke	Svært god bildekvalitet og forskningsgrunnlag	Effektiv sanntidssporing og gating	Innovativt design (potensielle fordeler)
Hovedbegrensning	Kompleks arbeidsflyt, kostnad	Lavere MR-bildekvalitet enn Unity	Begrenset klinisk dokumentasjon

ATP: Adapt to Position, **ATS:** Adapt to Shape, **linak:** lineær akselerator, **MR:** magnetisk resonans

4. Dokumentasjonsgrunnlag

Magnetisk resonans (MR)-veiledet stråleterapi (MRgRT) til behandling av kreft

4.1 Relevante og sentrale kliniske studier

På nettsidene til Elektra Unity, er det henvist til et større antall publikasjoner som omhandler MRgRT, inndelt etter følgende tema:

- Workflow and usability bibliography [19]
- Overview and technical publications bibliography [20]
- Biology-guided radiation therapy [21]
- Clinical indications bibliography [22]

Vi har ikke funnet tilsvarende oversikt over kliniske studier og publikasjoner på nettsidene til hverken MRIdian A3i eller Aurora-RT.

4.2 Pågående kliniske studier

Populasjon (n=antall deltakere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfallsmål	Studienummer, studietype	Tidsperspektiv resultater
Strupekreft, ≥18 år, n=105	Arm 1: MRgSABR Arm 2: transoral CO ₂ -laser mikrokirurgi Arm 3: standard stråleterapi		Andel uten lokalt tumorresidiv	NCT07391345 RCT	Estimert slutt: 2034 Status: <i>recruiting</i> Litauen
Kreft i thorax* (nær hjertet), >18 år, n=60	MRg adaptiv-RT	Linak-stråleterapi	Endring i LVEF	NCT07132918 RCT	Estimert slutt: 2029 Status: <i>recruiting</i> USA
Oligometastatisk kreft kolorektalt, gastrointestinalt, bryst, lunge (NSCLC), nyre, eller gynekologisk†, ≥18 år, n=30	MRgSABR (linak)	Standard SABR	Lokal responsrate	NCT06604533 RCT	Estimert slutt: 2030 Status: <i>recruiting</i> Australia
Lungekreft (NSCLC) med metastaser til hjernen, 18-75 år, n=168	MRgSRT	Standard SRT	Insidensrate for strålingsrelatert hjernenekrose	NCT06582940 RCT	Estimert slutt: 2026 Status: <i>recruiting</i> Kina
Lokalavansert pankreaskreft med tidligere spesifisert behandling, ≥18 år, n=150	MRgRT	Standard behandling	Helserelatert livskvalitet, med forverringsfri overlevelse	NCT06272162 RCT	Estimert slutt: 2030 Status: <i>not yet recruiting</i> Nederland
Kreft metastasert til rygggrad, ≥18 år, n=40	SRSS med MR linak maskin (dvs MRgRT?)	SRSS med standard maskin	M. D. Anderson Symptom Inventory - Spine Tumor (MDASI-SP)	NCT05709782 RCT	Estimert slutt: 2026 Status: <i>recruiting</i> USA
Ikke lokalavansert eller metastatisk pankreaskreft eller adenoskvamøst karsinom, tidligere behandling, ≥18 år, n=267	MRIdian SMART + kjemoterapi induksjon	Kjemoterapi induksjon	Totaloverlevelse	NCT05585554 RCT	Estimert slutt: 2028 Status: <i>not yet recruiting</i> Sponsor: Viewray inc
Lokalisert prostatakreft, ≥18 år, n=320	Adaptiv SBRT, muligens med MRgRT	Ikke-adaptiv SBRT, muligens med MRgRT	Endringer i pasientrapportering mhp urindomenet i The Expanded Prostate Cancer Index Composite - spørreskjema	NCT06825091 RCT	Estimert slutt: 2030 Status: <i>recruiting</i> Canada

Linak: lineær akselerator, **LVEF:** left ventricular ejection fraction, **MRgRT:** MR-guided radiotherapy, **NSCLC:** non-small cell lung cancer, **SABR:** stereotactic ablative radiotherapy, **SBRT:** stereotactic body radiotherapy, **SRSS:** spinal stereotactic radiosurgery (dvs stråleterapi rundt ryggrad), **SRT:** stereotactic radiotherapy.

*Kref i thorax: f.eks. lungekreft (NSCLC), kreft i spiserør og/eller mage., thymom, thymuskarsinom, etc.

†Kreft med spredning: maksimalt 5 metastatiske lesjoner til maksimalt 2 ulike organsystemer

4.3 Metodevurderinger og –varsel

Metodevurdering - nasjonalt/lokalt -	Vi har ikke identifisert noen pågående eller ferdigstilte nasjonale eller lokale metodevurderinger som omhandler MRgTR. Det er imidlertid gjennomført én nasjonal metodevurdering som omhandler MR-veiledet behandling, men da sammen med høy-intensitet fokusert ultralyd ved essensiell tremor (ID2016_007/ID2023_047) [23].
Metodevurdering / systematiske oversikt - internasjonalt -	<u>Metodevurderinger</u> Vi har identifisert fire metodevurderinger som omhandler MRgRT ved ulike typer kreft, fra henholdsvis Canada [24], Sverige [18], Singapore [25], og Irland [26]. I metodevurderingen (<i>Rapid Response Report</i>) fra Canada (2019) ble det kun inkludert én ikke-randomisert, retrospektiv matchet-komparator-studie fra 2018 som omhandlet MRgRT-behandling av personer med lungekreft [24]. Metodevurderingen fra Sverige (2020) omhandlet MRgRT for pasienter med kreft i hals og hode, thorax, abdomen, og bekken, og inkluderte 22 kasusserier (totalt 806 pasienter) [18]. Metodevurderingen fra Singapore (<i>Technology Guidance</i>, 2022) gir kun en kort oppsummering, men virker å ha tatt utgangspunkt i to HTA-er fra henholdsvis Australia og Canada, samt 16 primærstudier (hovedsakelig observasjonsstudier uten kontrollgruppe), i ulike kreftformer [25]. Metodevurderingen fra Irland (2025) identifiserte 136 primærstudier som omhandlet ulike typer kreft, hvorav 6 inkluderte en relevant komparator (kun én RCT om prostatakreft) [26]. De tre eldste metodevurderingene (2019-2022) konkluderte alle med at dokumentasjonsgrunnlaget var svært begrenset og svakt [18, 24, 25], og i sin vurdering fra 2022 anbefalte Agency for Care Effectiveness i Singapore <i>ikke</i> å subsidiere metoden for pasienter med kreft [25]. I den nyeste metodevurderingen fra Irland (2025) derimot, konkluderer forfatterne at klinisk bruk av metoden kan rettferdiggjøres selv med veldig lav tiltro til resultatene i studiene, da veiledningssystemet ikke bruker ioniserende stråling og det ikke er identifisert noen sikkerhetsrisiko i litteraturen [26]. <u>Systematiske oversikter</u> I et enkelt søk har vi identifisert flere systematiske oversikter som omhandler bruk av MRgRT til behandling av ulike typer kreft: <i>Prostatakreft:</i> vi har identifisert fire systematiske oversikter publisert i perioden 2024-2025 [27-30]. Coc et al (2025) har fokusert på å beskrive faktorer som øker behandlingsnøyaktighet ved strålebehandling av prostatakreft, deriblant MRgRT, og har inkludert 79 studier [27]. Szablewska (2025) og Dornich (2024) har begge fokusert på å beskrive effekt og sikkerhet ved MRgRT, og har inkludert henholdsvis 12 (hvorav to RCT-er) og 8 (hvorav 1 RCT) studier [28, 29]. Westerhoff (2024) er den eneste av disse fire oversiktene som også er en metaanalyse, og har fokusert på pasientrapporterte utfallsmål ved MRgRT (n=12 studier hvorav én RCT) [30]. <i>Pankreaskreft:</i> vi har identifisert to systematiske oversikter publisert i perioden 2023-2024 [30, 31]. Begge oversiktene har fokusert på MRgRT og beskrevet data på blant annet overlevelse, progresjonsfri overlevelse, tumorrespons og/eller toksisitet [31, 32]. Mens van Vliembergen (2023) inkluderte fire studier (ingen RCT), inkluderte Shouman (2024) 31 studier (ingen RCT) [31, 32].

	<i>Lungekreft:</i> vi har identifisert én systematisk oversikt (2026), som omhandler kliniske erfaringer med MRgRT, og presenterer bl.a. data på overlevelse og toksisitet, basert på 19 studier (ingen RCT) [33]. <i>Hjernekreft:</i> vi har identifisert én systematisk oversikt (2023) som omhandler kliniske og tekniske funksjoner ved hybrid MR-linak systemer ved hjernekreft, basert på 52 studier (ingen RCT) [34]
Metodevarsel	Vi har ikke identifisert noen tidligere metodevarsler eller egnethetsvurderinger som omhandler MRgRT. Vi har derimot identifisert tre egnethetsvurderinger som omhandler MR-veiledet fokusert ultralydbehandling (MRgFUS) for henholdsvis intrakraniale tumorer [35], skjelettmetastaser [36], og for å åpne blod-hjernebarriere for legemiddelbehandling av intrakraniale svulster [37] (ID2023_092). Det ble ikke gitt nasjonalt oppdrag basert på noen av disse egnethetsvurderingene [38].

5. Referanser

1. Elektra AB. *Elektra Unity*. [Nettside] 2026 16.04.2026; Available from: <https://www.elekta.com/products/radiation-therapy/unity/>.
 2. MagnetTx Oncology Solutions Ltd. *Aurora-RT*. [Nettside] 2023 16.04.2026; Available from: <https://www.magnettx.com/aurora-rt>.
 3. ViewRay Systems inc. *MRIdian A3i*. [Nettside] 2024 16.04.2026; Available from: <https://viewraysystems.com/mridian-a3i/>.
 4. U.S. Food and Drug Administration, *MRIdian Linac System - 510(k) premarket notification summary*. 2021, U.S. Food and Drug Administration: USA.
 5. U.S. Food and Drug Administration, *Aurora-RT - 510(k) premarket notification summary*. 2022, U.S. Food and Drug Administration: USA.
 6. ViewRay Systems inc. *Cancers Treated by MRIdian*. [Nettside] 2024 16.04.2026; Available from: <https://viewraysystems.com/for-patients/types-of-cancers-mridian-treats/>.
 7. Elektra AB. *What is MR-guided radiation therapy?* [Nettside] 2026 16.04.2026; Available from: <https://www.elekta.com/patients/mr-linac/>.
 8. Vano, J. *The Collapse of ViewRay*. [Web news article] 2023 13.10.2023 [cited 22.04.2026; Available from: <https://www.oncologysystems.com/blog/the-collapse-of-viewray/>.
 9. Ladbury, C., et al., *Clinical Applications of Magnetic Resonance-Guided Radiotherapy: A Narrative Review*. *Cancers* (Basel), 2023. **15**(11).
 10. Leeman, J.E., et al., *Acute toxicity comparison of magnetic resonance-guided adaptive versus fiducial or computed tomography-guided non-adaptive prostate stereotactic body radiotherapy: A systematic review and meta-analysis*. *Cancer*, 2023. **129**(19): p. 3044-3052.
 11. Roald, B., et al. *Kreft*. [Nettside] 2026 10.02.2026 [cited 17.04.2026 17.04.2026]; Available from: <https://sml.snl.no/kreft>.
 12. Klepp, O. and T.K. Olsen. *Kreftbehandling*. [Nettside] 2024 27.11.2024 [cited 17.04.2026; Available from: <https://sml.snl.no/kreftbehandling>.
 13. Kreftregisteret, *Cancer in Norway 2024 - Cancer incidence, mortality, survival and prevalence in Norway*. 2025, Folkehelseinstituttet: Norge.
 14. Kreftforeningen. *Strålebehandling*. 2026 23.02.2026 17.04.2026; Available from: <https://kreftforeningen.no/om-kreft/behandling/stralebehandling/>.
 15. Kreftlex. *Generell informasjon om strålebehandling*. [Nettside] 2026 [cited 17.04. 2026]; Available from: <https://kreftlex.no/no/Sarkom-Truncus/ProsedyreFolder/BEHANDLING/Stralebehandling/str-Generell-stralebehandling?lg=ks&CancerType=Sarkom%20Truncus&containsFaq=False>.
 16. Akershus Universitetssykehus. *Prostatakreft strålebehandling*. [Nettside] [cited 17.04. 2026]; Available from: <https://www.ahus.no/behandler/prostatakreft-stralebehandling/>.
 17. St.Olavs hospital HF. *Strålebehandling av brystkreft etter operasjon*. [Nettside] [cited 17.04. 2026]; Available from: <https://www.stolav.no/behandler/stralebehandling-av-brystkreft-etter-operasjon/>.
 18. Petruson, K., et al., *Magnetic resonance image-guided radiotherapy in patients with cancer in thorax, abdomen, pelvis or head and neck*. 2020, Region Västra Götaland, HTA-centrum: Sverige.
 19. Elektra AB. *Elekta Unity Workflow and Usability Bibliography*. [Nettside] 2026 [cited 20.04. 2026]; Available from: <https://www.elekta.com/medical-affairs/bibliographies/elekta-unity-workflow-and-usability/>.
 20. Elektra AB. *Elekta Unity Overview and Technical Publications Bibliography*. [Nettside] 2026 [cited 20.04. 2026]; Available from: <https://www.elekta.com/medical-affairs/bibliographies/elekta-unity-overview-and-technical-publications/>.
 21. Elektra AB. *Elekta Unity biology-guided Radiation Therapy*. [Nettside] 2026 [cited 20.04. 2026]; Available from: <https://www.elekta.com/medical-affairs/bibliographies/elekta-unity-biology-guided-radiation-therapy/>.
 22. Elektra AB. *Elekta Unity Clinical Indications Bibliography*. [Nettside] 2026 [cited 20.04. 2026]; Available from: <https://www.elekta.com/medical-affairs/bibliographies/elekta-unity-clinical-indications/>.
 23. Nye metoder. *Magnetisk resonans (MR)-veiledet høy-intensitet fokusert ultralyd - Til behandling av essensiell tremor*. . [Nettside] 2026 [cited 17.04. 2026]; Available from: <https://www.nyemetoder.no/metoder/magnetisk-resonans-mr-veiledet-hoy-intensitet-fokusert-ultralayd/>.
 24. Lachance, C. and S. McCormack, *CADTH Rapid Response Reports, in Magnetic Resonance Imaging-Guided Radiotherapy Delivery Systems for Cancer Treatment: A Review of Clinical Effectiveness, Cost-Effectiveness and Guidelines*. 2019, Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health
- Copyright © 2019 Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health.: Ottawa (ON).
25. Agency for Care Effectiveness, *Magnetic Resonance Image Guided Radiation Therapy for patients with cancer*. 2022, MOH Medical Technology Advisory Committee: Singapore.
 26. Health Information and Quality Authority, *Magnetic resonance-guided radiotherapy (MRgRT) - Evidence synthesis to support a generic justification decision*. 2025, Health Information and Quality Authority: Irland.
 27. Coc, F.L. and L.G. Marcu, *From CBCT to MR-Linac in Image-Guided Prostate Cancer Radiotherapy Towards Treatment Personalization*. *Curr Oncol*, 2025. **32**(6).
 28. Szablewska, S. and K. Roszkowski, *Magnetic resonance-guided adaptive stereotactic radiotherapy in prostate cancer patients: a systematic literature review*. *Rep Pract Oncol Radiother*, 2025. **30**(4): p. 548-558.

29. Dornisch, A.M., et al., *Focal radiotherapy boost to MR-visible tumor for prostate cancer: a systematic review*. World J Urol, 2024. **42**(1): p. 56.
30. Westerhoff, J.M., et al., *Patient-Reported Outcomes Following Magnetic Resonance-Guided Radiation Therapy for Prostate Cancer: A Systematic Review and Meta-Analysis*. Int J Radiat Oncol Biol Phys, 2024. **120**(1): p. 38-48.
31. Shouman, M.A., et al., *Stereotactic body radiotherapy for pancreatic cancer - A systematic review of prospective data*. Clin Transl Radiat Oncol, 2024. **45**: p. 100738.
32. van Vliembergen, E.N.M., et al., *Precision radiotherapy using MR-linac for pancreatic neuroendocrine tumors in MEN1 patients (PRIME): a protocol for a phase I-II trial, and systematic review on available evidence for radiotherapy of pNETs*. Front Endocrinol (Lausanne), 2023. **14**: p. 994370.
33. Moretti, I., et al., *Towards quantitative MRI Driving online adaptive MRgRT for lung tumors*. Phys Med, 2026. **142**: p. 105731.
34. Guerini, A.E., et al., *Adoption of Hybrid MRI-Linac Systems for the Treatment of Brain Tumors: A Systematic Review of the Current Literature Regarding Clinical and Technical Features*. Technol Cancer Res Treat, 2023. **22**: p. 15330338231199286.
35. Folkehelseinstituttet, *Magnetisk resonans (MR)-veiledet høyintensiv fokusert ultralyd til behandling av intrakraniale tumorer*. 2023, MedNytt: Norge.
36. Folkehelseinstituttet, *Magnetisk resonans (MR)-veiledet høyintensiv fokusert ultralyd til behandling av smerter ved skjelettmetastaser*. 2023, MedNytt: Norge.
37. Folkehelseinstituttet, *Magnetisk resonans (MR)-veiledet fokusert ultralyd for åpning av blodhjernebarrieren ved behandling av intrakraniale svulster*. 2023, MedNytt: Norge.
38. Nye metoder. *Magnetisk resonans (MR)-veiledet høy-intensitet fokusert ultralyd - Indikasjon II (ID2023_092)*. [Nettside] 2023 [cited 22.04.2026; Available from: <https://www.nyemetoder.no/metoder/magnetisk-resonans-mr-veiledet-hoy-intensitet-fokusert-ultralyd-indikasjon-ii/>].

6. Versjonslogg	
Magnetisk resonans (MR)-veiledet stråleterapi (MRgRT) til behandling av kreft	
6.1 Dato	5.2 Endringer gjort i dokument
27.04.2026	Laget metodevarsel
Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.	[Skrive hva som er gjort nytt]
Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.	[Skrive hva som er gjort nytt]

Beskrivelse: Kan skrive inn dato for hver endring i dokumentet.

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026_023

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	CT-veiledet strålebehandling med fotoner eller protoner CT-veiledet adaptiv stråleterapi
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	For enkelte pasienter/pasientgrupper (abdomen, hode-hals, CNS, der MR gir bedre bløtvevskontrast) kan behandlingmetoden være hensiktsmessig, ev. i en forskningssetting. Videre teknologisk utvikling vil kunne utvide indikasjoner. Hvis tilbudet skal etableres i Norge bør det av ressurshensyn i første omgang sentraliseres og opprettes som en nasjonal eller flerregional tjeneste. Utstyret vil ev. brukes i stedet for CT-veiledet stråleterapi. Det vil være aktuelt for en liten gruppe pasienter innledningsvis.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Basert på inntrykk fra andre europeiske sykehus anser vi bestråling av pankreaskreft/lever som mest aktuelt. Ved (ultra)hypofraksjonering kan MR-veiledet stråleterapi muligens ha en plass. Det

	samme gjelder bestråling av boost-volum i bekkenet.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Fagmiljøet i Norge følger med på utviklingen av MR-linac som et alternativ til CT-linac som behandlingsmetode. Fagmiljøet i HMN har til nå ikke satt opp MR-linac som et investeringsønske.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	<i>Ja, disse er oppgitt i Metodevarselet</i>

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Ingen

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	St. Olavs hospital
Avdeling	Kreftklinikken
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Monika Eidem, medisisk ansvarlig onkolog Anne Dybdahl Wanderås, avdelingssjef stråleterapi
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026-023 Magnetisk resonans (MR)-veiledet stråleterapi (MRgRT) til behandling av kreft

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	CT-basert bildeveiledet stråleterapi er etablert for pasientgruppen. For daglig tilpasning av stråledose (sanntids adaptiv behandling med pasienten på bordet), finnes i dag et CT-basert alternativ i Bergen og Trondheim (og Tromsø fra 2027). For de øvrige stråleterapisentrene er det mulighet for CT-basert tilpasning av strålebehandling mellom daglige behandlinger (offline adaptiv behandling). MRgRT har fordelen av bedre bløtvevskontrast ved sanntids adaptiv behandling, men tar lengre tid og krever flere ressurser. For sanntids adaptiv behandling, regnes det CT-baserte alternativet som en passende komparator. For økt presisjon og lavere doseeksponering av normalvev, regnes protonterapi som komparator (ID-nummer: ID2016_066).
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?	For flertallet av prostata-, bryst-, rektum- og lungekreftpasientene, er det per dags dato ikke nok datagrunnlag for å si at det er et klinisk behov for MRgRT. Samtidig åpner MRgRT for utvidet bruk av biomarkører for responsevaluering. Dette er

Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	fremdeles et forskningsfelt uten etablerte markører. For enkelte pasientgrupper er dagens behandling utfordrende, og der kan MRgRT potensielt åpne opp nye behandlingsmuligheter. Sanntids sporing av kreftsvulster i bevegelse kan potensielt bedre behandling av lunge- og galleblærekreft i nær beliggenhet til risikorganer. Det er dog foreløpig ikke utbredt med denne behandlingsmetoden for MRgRT. Bløtvevskontrast er en stor styrke ved MRgRT, samtidig som de etablerte systemene i Norge allerede blir stadig mer integrert med diagnostiske bilder. Med dagens tilgjengelighet av MR-diagnostikk ved kreftklinikkene og presisjonsbehandling (protonterapi og CT-basert sanntids adaptiv behandling), vil MRgRT trolig ha en begrenset rolle i behandlingstilbudet.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Som nevnt i punkt 2, antas pasientgruppen som virkelig vil ha stor nytteverdi av MRgRT å være av begrenset størrelse.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	For å kunne dra nytte av potensielle biomarkører, bør bilde kvaliteten være av tilstrekkelig kvalitet, hvilket generelt krever økt feltstyrke (1.5 T). Det pågår mange studier der behandlingen gis med høy dagsdose (SBRT), f.eks. oligometastatisk sykdom, som bør ha høy dose rate (rask avlevering av dose) for at behandlingstiden ikke skal bli for lang. Foreløpig er doseraten mer begrenset med MRgRT enn ved konvensjonell strålebehandling. Metoden er en kobinasjon av kjent teknologi som benyttes i dagens kliniske hverdag (MR og lineærakselerator) – og har i flere år vært en del av vurderingsgrunnlaget fagmiljøet har tatt stilling til ved kjøp av nytt utstyr. Foreløpig har det ikke blitt vurdert å kunne forsvare innkjøp av MRgRT ut fra et kost/nytte-prinsipp ved noen norske sykehus.

5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Av de to leverandørene som har levert de aller fleste installerte MRgRT (MR-linakene) i markedet, er Elekta den klart største leverandøren på feltet. Det er uklart om ViewRay selger nytt utstyr eller bare vedlikeholder tidligere solgte maskiner.
--	---

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Vi har ingen bindinger i saken.

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	Haukeland universitetssjukehus
Avdeling	Kreftklinikken
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Einar Waldeland, seksjonsleder
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Saksnummer: 111-26

Til:	Bestillerforum for nye metoder
Fra:	Direktoratet for medisinske produkter (DMP) ved Ingrid Kristine Ohm og Elisabet Hafstad
Dato:	03.07.2026

ID2022_018 Ketamin ved behandlingsresistent depresjon – oppdatert litteratursøk

Hva saken omhandler i korte trekk

Redegjørelse for oppdatert litteratursøk for fullstendig metodevurdering av ketamin ved behandlingsresistent depresjon (ID2022_018), for å identifisere potensielle nye studier med langtidsdata >7 dager etter avsluttet behandling.

Bakgrunn for saken

I mars oppdaget bibliotekar ved DMP at artikkelen av Zolghadriha *et al.* (2024) (1) som inngikk i fullstendig metodevurdering av ketamin ved behandlingsresistent depresjon (ID2022_018) (2), var blitt tilbaketrukket av redaktør i tidsskriftet den var publisert i. Denne artikkelen var inkludert i analyse av depresjonsscore ved enkeltdose ketamin versus saltvann, i alle måletidspunkt. I denne analysen var Zolghadriha 2024 også eneste studie som viste langtidsdata med oppfølgingstid på henholdsvis én og to måneder etter infusjon. Ettersom studien nå er trukket, er disse dataene ikke lenger gjeldende.

Etter å ha informert Bestillerforum om dette i notat fra 16.03.2026, ble DMP (27.04.2026) bedt om å oppdatere litteratursøket i metodevurderingen for å undersøke eventuell ny dokumentasjon med resultater på langtidseffekt over syv dager. Vi har tolket dette som syv dager etter avsluttet behandling, uavhengig av om behandlingen er én enkeltdose eller flere infusjoner med ketamin.

Saksfremstilling

Bibliotekar gjennomførte et oppdatert litteratursøk 07.05.2026, på tilsvarende måte som beskrevet i metodevurderingen fra 2025 (2). Søket gav 2 458 treff, hvorav 202 var dubletter. Etter å ha fjernet 1 916 referanser som ble identifisert i metodevurderingen fra 2025, satt vi igjen med 340 nye referanser som var publisert etter forrige søk i august 2024 (*Vedleggsfigur 1*).

I gjennomgang av alle referansene (screeningen) tok vi utgangspunkt i de samme inklusjonskriteriene som i metodevurderingen, men valgte å begrense relevante utfallsmål til respons, remisjon og/eller depresjonssalvorlighetsscore ≥ 7 dager etter avsluttet behandling (*Vedleggstabell 1*). I screening av tittel og abstract, ekskluderte vi 288 artikler (*Vedleggsfigur 1*). Av de gjenstående 52 artiklene, ble 50 ekskludert. Selv om vi identifiserte flere studier med effektdata ≥ 7 dager etter siste infusjon, ble de fleste ekskludert på grunn av feil populasjon, f.eks. ikke behandlingsresistent depresjon, og/eller feil studietype, f.eks. enarmet intervensjonsstudie.

Totalt ble kun to artikler vurdert å være relevante i henhold til inklusjonskriteriene: én randomisert kontrollert studie (RCT): Shelton *et al.* fra 2025 (3) og én kohortstudie: Janssen-Aguilar *et al.* fra 2026 (4). Studiekarakteristika for begge de inkluderte studiene er oppsummert i Vedleggstabell 2.

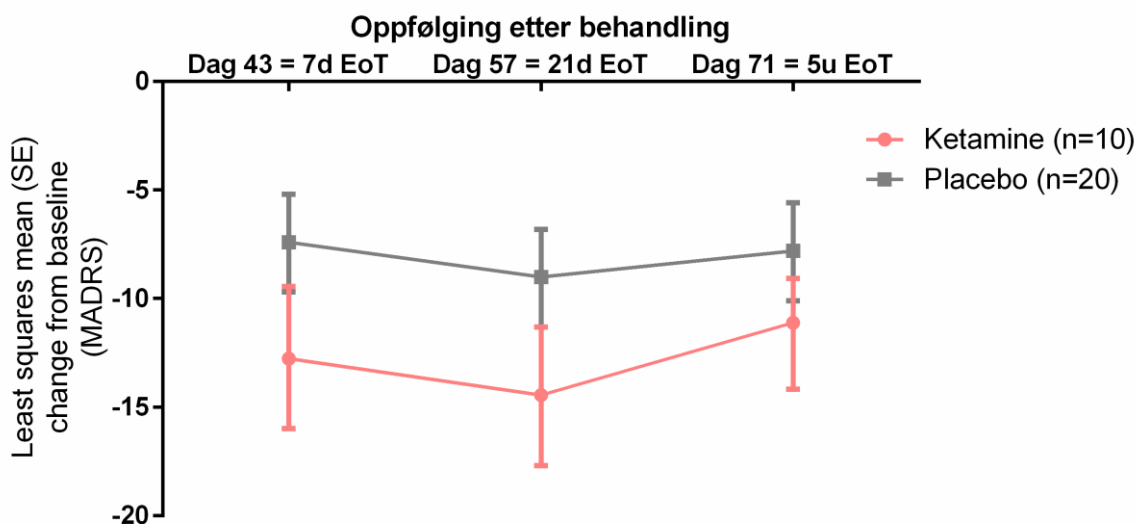
Shelton *et al.* 2025

Studien av Shelton *et al.* (2025) er en randomisert kontrollert fase 2, multisenterstudie gjennomført i Spania og USA (3). Studien rekrutterte og inkluderte 70 voksne pasienter med behandlingsresistent depresjon (MADRS-score ≥ 24), definert som tidligere mislykket behandling med ≥ 2 ulike standard antidepressiva (≥ 1 innen nåværende episode). Pasientene ble randomisert til 6 ulike grupper der de fikk enten onfasprodil (ulike doser i 4 ulike grupper), ketamin (0,5 mg/kg, n=10) eller saltvann (n=20). Både ketamin-gruppen og saltvannsgruppen fikk én infusjon per uke fra Dag 1 til Dag 36. Studien varte i totalt 14 uker, og inkluderte 4 ukers screeningperiode, 36 dagers behandlingsperiode, og 5 ukers oppfølgingstid. Forfatterne oppgir selv at studien ikke var styrkeberegnet (dvs. antall studiedeltakere) for sammenlikningen mellom ketamin og placebo (3).

Ved hjelp av WebPlotDigitizer (5), ekstraherte vi minste kvadraters (*least-squares*) gjennomsnittlige endring i depresjonsscore (MADRS-score) fra baseline $\pm$ standardfeil, for følgende måletidspunkt:

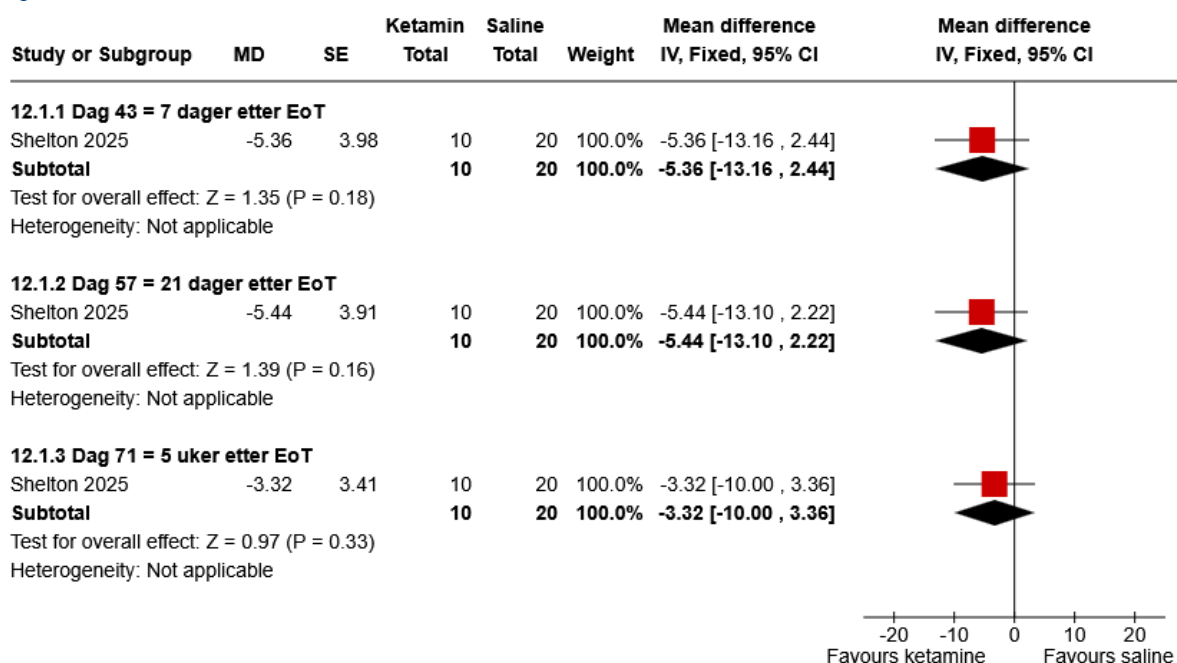
- Dag 43 = 7 dager etter avsluttet behandling
- Dag 57 = 21 dager etter avsluttet behandling
- Dag 71 = 5 uker etter avsluttet behandling.

Resultatene ved alle de tre måletidspunktene viste lavere justert gjennomsnittlig endring fra baseline i ketamin-gruppen sammenliknet med saltvannsgruppen (*Figur 1*). Merk at ingen av resultatene er statistisk signifikante, da variasjonen rundt hvert av effektestimatene for ketamin-gruppen og saltvannsgruppen overlapper hverandre.



*Figur 1: Minste kvadraters gjennomsnittlige endring fra baseline - ketamin vs placebo (3).
d: dager; EoT: end of treatment; MADRS: Montgomery and Åsberg Depression Rating Scale; SE: standard feil (error); u: uker.*

Ut fra disse dataene beregnet vi gjennomsnittsforskjell (*mean difference*) mellom ketamin og placebo $\pm$ standardfeil (antatt uavhengighet mellom gruppene), som vi deretter analyserte i RevMan Web ved hjelp av «Generic Inverse Variance» (GIV) (6).



*Figur 2: Balansediagram (forest plot) ketamin vs saltvann (LS gjennomsnittlig endring fra baseline)
CI: konfidensintervall; EoT: end of treatment; IV: invers varians; LS: minste kvadrat (least square); MD: gjennomsnittsforskjell (mean difference), SE: standardfeil (error)*

Gjennomsnittsforskjell i endring fra baseline (95% konfidensintervall, p-verdi), basert på depresjonsscore (MADRS) ved de tre måletidspunktene var som følger:

- Dag 43 = 7 dager etter EoT: -5,36 (-13,16 til 2,44; p=0,18)
- Dag 57 = 21 dager etter EoT: -5,44 (-13,10 til 2,22; p=0,16)
- Dag 71 = 5 uker etter EoT: -3,32 (-10,00 til 3,36, p=0,33)

Med andre ord, pasienter som ble behandlet med én 0,5 mg/kg ketamin-infusjon per uke i 5 uker, hadde lavere gjennomsnittlig endring fra baseline enn pasienter som fikk tilsvarende behandling med saltvann, ved alle de tre måletidspunktene i oppfølgingsperioden (Figur 2). Ettersom konfidensintervallene inkluderer verdier over null, er det likevel statistisk mulig at pasienter som fikk ketamin hadde lavere, lik eller høyere gjennomsnittlig endring fra baseline ved alle disse måletidspunktene, sammenliknet med pasienter som fikk saltvann (Figur 2).

OBS: vi har ikke vurdert risiko for systematiske skjevheter i denne artikkelen, eller vurdert vår tiltro til disse resultatene. Vi gjør også oppmerksom på at resultatene fra denne RCT-en ikke kan «erstatte» resultatene fra studien som ble trukket (Zolghadriha *et al.*), ettersom disse inngår i ulike sammenstillinger: mens Zolghadriha *et al.* undersøkte *enkeltdose* ketamin versus saltvann, har Shelton *et al.* undersøkt *flerdose* ketamin versus saltvann.

Janssen-Aguilar *et al.* 2026

Studien av Janssen-Aguilar *et al.* (2026) er en retrospektiv kohortstudie, basert på pasienter som mottok ketamin-behandling ved en spesifikk klinikk i Toronto, Canada (4).

Studien inkluderte totalt 209 voksne pasienter med behandlingsresistent depresjon, definert som manglende respons på ≥ 2 antidepressiva innen nåværende episode (4). Alle pasientene hadde fått to ketamin-infusjoner per uke i enten to eller tre uker, det vil si enten fire infusjoner (n=171) eller seks

infusjoner (n=38) totalt. Pasientene som fikk totalt fire infusjoner gjennomførte også kliniske vurderinger i oppfølgingsperioden på én uke og én måned etter avsluttet behandling. Det var ingen oppfølgingsdata for pasientene som hadde fått totalt 6 infusjoner ketamin.

I artikkelen presenteres numeriske resultater for både respons (definert som en $\geq 50\%$ reduksjon i MADRS-score fra baseline) og remisjon (definert som en MADRS-sluttscore på ≤ 10) i oppfølgingsperioden. Det er imidlertid noen uklarheter knyttet til disse tallene, og ettersom artikkelforfatter ikke har respondert på vår henvendelse, ønsker vi ikke å presentere de spesifikke numeriske resultatene i dette notatet. I stedet henviser vi til hva artikkelforfatterne skriver i teksten: ved oppfølging etter én uke og én måned hadde respons og -remisjonsratene basert på MADRS-score sunket, og var lavere enn ved behandlingsslutt, det vil si at færre pasienter opplevde respons og remisjon i oppfølgingsperioden enn under og rett etter behandling (4).

Pågående norsk RCT

Vi ble nylig gjort oppmerksomme på at det er planlagt en norsk RCT som har til hensikt å undersøke effekt av vedlikeholdsbehandling med ketamin (7). Ett av målene til studien er å undersøke varigheten av den antidepressive effekten til ketamin etter avsluttet vedlikeholdsbehandling (7). Etter planen skal studien starte rekruttering i august 2026 (8), og er estimert ferdig i 2033 (7).

I EUs studieregister oppgis det at studien planlegger å screene ca. 230 voksne pasienter med behandlingsresistent depresjon (MADRS-score ≥ 20 , manglende effekt av ≥ 2 behandlinger), hvorav n=219 antas å bli inkludert til selve studien. Alle inkluderte pasienter skal motta induksjonsbehandling med ketamin (varighet 3-5 uker). Deretter vil to grupper få vedlikeholdsbehandling med én ketamin-infusjon hver fjerde uke i henholdsvis fire og åtte måneder, mens siste gruppe får standardbehandling, dvs. ingen ketamin-infusjon (*Tabell 1*). Vedlikeholdsbehandlingsperioden skal, for alle tre gruppene, vare i totalt 14 måneder (7).

Tabell 1: Oversikt over behandlingsgrupper i ny studie (PreKET) (7)

Gruppe	Induksjonsbehandling	Vedlikeholdsbehandling	Oppfølging etter ketamin-behandling
Gruppe 1	Alle: 2 ketamin-infusjoner per uke i 3-5 uker. Totalt: 6-10 ketamin-doser	Standardbehandling (ikke ketamin)	14 måneder
Gruppe 2		1 ketamin-infusjon hver 4.uke i 4 uker	10 måneder
Gruppe 3		1 ketamin-infusjon hver 4.uke i 8 uker	6 måneder

Oppsummering og konklusjon

Resultatet av oppdateringssøket er som følger:

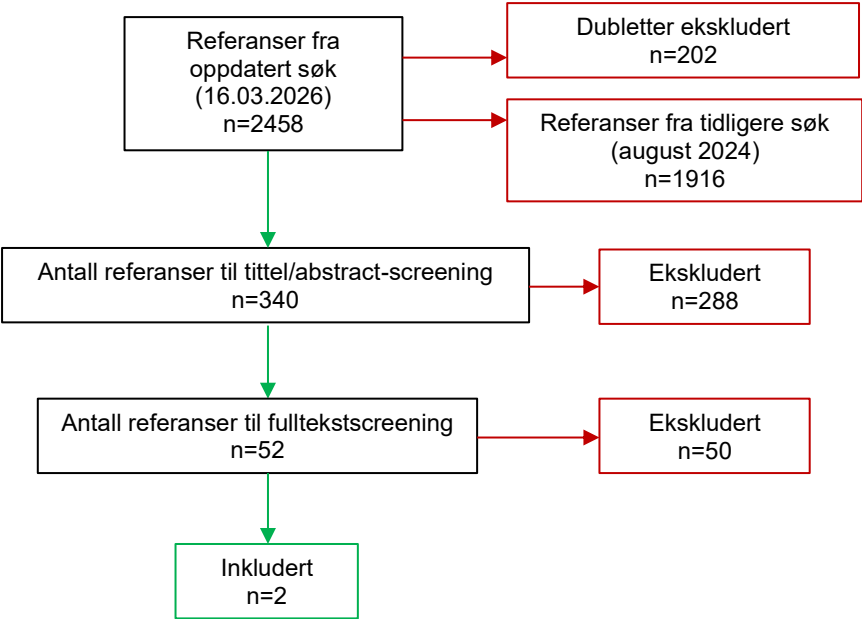
- 1) Svært begrenset ny informasjon: vi identifiserte kun to relevante studier med oppfølgingsdata utover syv dager etter avsluttet behandling.
- 2) Resultatene fra RCT-en av Shelton *et al.* er basert på en svært liten studiepopulasjon (totalt n=30), som ikke var styrkeberegnet for sammenlikningen mellom ketamin og saltvann. Vi vil ikke kunne gjøre en metaanalyse av disse resultatene, ettersom vi har ikke andre studier med langtidsdata utover behandlingsslutt i analysen av flerdose ketamin versus saltvann i metodevurderingen fra 2025. En reanalyse med de nye dataene fra Shelton *et al.* vil med

andre ord ikke gi noe mer informasjon om langtidseffekt enn hva som allerede er presentert i dette notatet.

- 3) Det er uklarheter i resultatene i kohortstudien av Janssen-Aguilar *et al.* Uavhengig av dette, ville disse dataene likevel ikke blitt inkludert i en metaanalyse, da de andre kohortstudiene i metodevurderingen fra 2025 kun ble narrativt oppsummert, bl.a. grunnet mangel på kontrollgruppe.

Da intravenøs ketamin ble besluttet innført i spesialisthelsetjenesten 25.08.2025 som et behandlingsalternativ for behandlingsresistent depresjon (9), var dette på tross av betydelig usikkerhet rundt langtidseffekt. Denne usikkerheten ble likevel hensyntatt ved at følgende begrensninger ble lagt inn i beslutningsteksten: «*Behandlingen skal inntil det foreligger mer kunnskap om langtidseffekter følges opp via register eller kliniske studier, og bør inntil videre foregå i sykehus eller DPS.*» og «*Beslutningen vil revurderes innen utgangen av 2028.*» (9). Usikkerheten med hensyn på ketamins langtidseffekt har nå økt som følge av at Zolghadriha-studien ble trukket. Likevel mener vi at hverken Shelton *et al.* eller Janssen-Aguilar *et al.* vil kunne bidra til å redusere denne usikkerheten i vesentlig grad (se overnevnte grunner) ved en oppdatering av metodevurderingen fra 2025. Usikkerheten knyttet til ketamins langtidseffekt kommer imidlertid til å bli adressert gjennom den nye norske RCT-en (som skal igangsettes i år), da den etter planen skal undersøke nettopp langtidseffekter av ketamin ved behandlingsresistent depresjon. Disse studieresultatene vil dessuten være mer relevante og overførbare til en norsk praksis, ettersom studien tross alt skal gjennomføres i Norge på norske pasienter. Vi mener derfor at det er lite hensiktsmessig å oppdatere metodevurderingen fra 2025 på nåværende tidspunkt, men heller å vente på resultatene fra den norske RCT-en.

1. Zolghadriha A, Anjomshoaa A, Jamshidi MR, Taherkhani F. Rapid and sustained antidepressant effects of intravenous ketamine in treatment-resistant major depressive disorder and suicidal ideation: a randomized clinical trial. BMC Psychiatry 2024;24(1):341. DOI: 10.1186/s12888-024-05716-0
2. Ohm IK, Flatby AV, Stoinska-Schneider A, Hafstad E. Intravenous ketamine for treatment-resistant depression: a health technology assessment (ID2022_018) [HTA]. Oslo: Norwegian Medical Products Agency; 2025. Available from: https://www.dmp.no/globalassets/documents/offentlig-finansiering-og-pris/metodevurderinger/k/id2022_018-intravenous-ketamine-for-trd_kun-offentlig-versjon_2025.pdf
3. Shelton RC, Litman RE, Hassman H, Walling DP, Ros Montalban S, Salva-Coll J, et al. Rapid Onset and Sustained Efficacy of Onfasprodil (MIJ821), a Novel NR2B Negative Allosteric Modulator, in Patients With Treatment-Resistant Depression: A Phase 2, Randomized, Placebo-Controlled, Proof-of-Concept Study. J Clin Psychiatry 2025;86(3):06. DOI: 10.4088/JCP.23m15246
4. Janssen-Aguilar R, Joseph J, Al-Shamali H, Menzies P, Dunlop K, Jha M, et al. Symptom trajectories and clinical outcomes of intravenous ketamine in treatment-resistant depression: A real-world study using group-based trajectory modeling. J Affect Disord 2026;400:121230. DOI: 10.1016/j.jad.2026.121230
5. Rohatgi A. WebPlotDigitizer [Software]. Frisco, TX: Automeris [cited 2023-02-10]. Available from: <https://automeris.io/WebPlotDigitizer>
6. Review Manager (RevMan). Version 8.14.0 ed: The Cochrane Collaboration January 24, 2025.
7. PreKET - Ketamine maintenance treatment for depression: A multicenter open-label randomized controlled trial (EUCT: 2025-521330-29-00) [Clinical trial registry]. EU clinical trials [cited 28.05.2026]. Available from: <https://euclinicaltrials.eu/ctis-public/view/2025-521330-29-00?lang=en>
8. Epostkommunikasjon - Informasjon om PreKET-studien [27.05.2026]. Fra: Inger-Tove Jentoft van de Vooren (koordinator PreKET-studien): Til: Ingrid Kristine Ohm; 2026.



Vedleggsfigur 1: Seleksjon av studier

Vedleggstabell 1: Inklusjonskriterier (PICOS)

PICOS	Beskrivelse
Populasjon	Voksne ≥18 år med moderat eller alvorlig depresjon (f.eks. MADRS-score ≥20) som er behandlingsresistent
Intervensjon	Intravenøs ketamin: 0,5-1,0 mg/kg, enkeltdose og flerdose (Intravenøs esketamin)
Komparator	Inaktiv placebo: saltvann Aktiv placebo: midazolam, ketamin <0,5 mg/kg Elektrokonvulsiv behandling
Utfallsmål	Effekt: responsrate (f.eks. basert på MADRS-score), depresjonsalvorlighetsscore (f.eks. basert på MADRS), remisjonsrate ≥7 dager etter avsluttet behandling
Studiedesign	Randomiserte kontrollerte studier (RCT), kohortstudier

MADRS: Montgomery-Åsberg Depression Rating Scale

Vedleggstabell 2: Studiekarakteristika og resultater

Forfatter, år (ref)	Om studien	Om behandlingen	Baseline pasientkarakteristika (mean $\pm$ SD)	Resultater
Shelton 2025 (3)	NCT03756129 Dobbeltblindet RCT Industrifinansiert Spania og USA	Ketamin 0,5 mg/kg, i.v.; n=10† 1 infusjon/uke i 6 uker (Dag 1-36) Oppfølging: 5 uker (Dag 37-71)	Alder: 52,3 $\pm$ 7,0. Kvinner: n=7 Depresjonsalvorlighet (MADRS): 26,8 $\pm$ 4,9	Least squares mean $\pm$ SE change from baseline: Dag 43: -7,41 $\pm$ 2,26 Dag 57: -9,01 $\pm$ 2,26 Dag 71: -7,8 $\pm$ 2,26
		Saltvann, i.v.; n=20† 1 infusjon/uke i 6 uker (Dag 1-36) Oppfølging: 5 uker (Dag 37-71)	Alder: 44,8 $\pm$ 10,7. Kvinner: n=9 Depresjonsalvorlighet (MADRS): 28,9 $\pm$ 6,5	Least squares mean $\pm$ SE change from baseline: Dag 43: -12,77 $\pm$ 3,28 Dag 57: -14,45 $\pm$ 3,19 Dag 71: -11,12 $\pm$ 2,55
Janssen-Aguilar 2026 (4)	Retrospektiv kohortstudie Ingen spesifikk finansiering Canada	Ketamin 0,5 mg/kg, i.v.; n=209 2 infusjoner/uke i 2-3 uker: 4 infusjoner: n=171 6 infusjoner: n=38	Alder: 47,05 $\pm$ 13,07. Kvinner: n=134 Depresjonsalvorlighet (MADRS): 31,23 $\pm$ 6,70	<u>Responstrate</u> 1 uke oppfølging: n=23 1 måned oppfølging: n=5 <u>Remisjonsrate</u> 1 uke oppfølging: n=13 1 måned oppfølging: n=7

*Behandlingsperiode varte fra Dag 1 til Dag 36.

† I Shelton 2025-studien var det egentlig 6 grupper, hvorav gruppene som fikk ketamin og placebo fungerte som kontroll for fire intervensjonsgrupper som fikk onfasprodil i ulike behandlingsregimer (dose og administrasjonsfrekvens).

AD: antidepressiva; **i.v.:** intravenøs administrasjon, **MADRS:** Montgomery and Åsberg Depression Rating Scale; **SD:** standard avvik; **SE:** standardfeil

Saksnummer: 113-26

Til:	Bestillerforum for nye metoder
Fra:	Sekretariatet for Nye metoder
Dato:	13.08.2026

Oppfølging av beslutning for ID2023_037 Metoksyfluran (Penthrox) som akutt smertelindring ved moderate til sterke smerter som følge av traume hos pasienter $\geq$ 6 år som er ved bevissthet**Hva saken omhandler i korte trekk**

ID2023_037 Metoksyfluran (Penthrox) som akutt smertelindring ved moderate til sterke smerter som følge av traume hos pasienter $\geq$ 6 år som er ved bevissthet ble besluttet ikke innført i Beslutningsforum 26.05.2025. Beslutningen var begrunnet i at det ikke var tilbudt en pris som stod i et rimelig forhold til dokumentert klinisk nytte på det daværende tidspunkt. I saksunderlaget ble det påpekt at det pågikk en norsk studie, PreMeFen, som ville kunne gi mer informasjon om bruk i norsk klinisk praksis.

Etter beslutningen i mai 2025 har det vært vesentlig utvikling i kunnskapsgrunnlaget:

- **PreMeFen-studien** ble publisert i The Lancet i 2025. Dette er den hittil mest relevante dokumentasjonen for norsk pre-hospital akuttmedisin, og den viser positive funn ved sammenligning av metoksyfluran med etablert intravenøs og intranasal smertebehandling.
- **Utvidet markedsføringstillatelse for barn:** Indikasjonen for metoksyfluran i Norge er utvidet til å gjelde pasienter $\geq$ 6 år. Ny klinisk dokumentasjon (MAGPIE-studien fra 2025 og en australsk registerstudie av over 10 000 barn) bekrefter at metoden er både effektiv og trygg for barn over 6 år.
- **Arbeidsgruppe satt ned av de regionale fagdirektørene (2026):** De regionale fagdirektørene nedsatte en faggruppe som leverte sin rapport i juni 2026. Gruppen anbefaler at metoksyfluran tas i bruk pre-hospitalt med definerte kriterier, som et supplement og en tidsavgrenset bro-behandling.

Saken legges frem for Bestillerforum for å vurdere behov for eventuell oppdatering av prisnotat fra Sykehusinnkjøp HF og ta stilling til om det faglige underlaget er tilstrekkelig for å vurdere barneindikasjonen uten at det må bestilles en ny, metodevurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP).

Saksfremstilling

Beslutningsforum for nye metoder besluttet 26.05.2025 å ikke innføre metoksyfluran (Penthrox).

PreMeFen-studien er en randomisert, fase III-studie gjennomført i norsk ambulansetjeneste hvor metoksyfluran ble sammenlignet med intranasal fentanyl og intravenøs morfin hos pasienter med moderate til sterke akutte smerter. Studien konkluderte med at metoksyfluran gir rask, effektiv og

sikker smertelindring, og at den er klinisk “non-inferior” som dagens standardbehandlinger. Dette fyller kunnskapshullet som ble påpekt under forrige metodevurdering.

Etter oppdrag fra de regionale fagdirektørene ble det våren 2026 nedsatt en arbeidsgruppe for å vurdere kriterier og prosedyrer for bruk av metoksyfluran i norsk pre-hospital akuttmedisin. Arbeidsgruppen leverte sin rapport i juni 2026 (vedlegg 1). Arbeidsgruppen har vurdert at ny dokumentasjon fra PreMeFen-studien styrker kunnskapsgrunnlaget betydelig sammenlignet med det som forelå ved DMP sin metodevurdering. Arbeidsgruppen vurderer at metoksyfluran bør brukes som et supplement til eksisterende pre-hospitale smertelindringsstrategier og ikke som erstatning for etablert intravenøs behandling. Arbeidsgruppen har foreslått inklusjonskriterier for bruk.

Utvidelse av indikasjonsområdet til barn over 6 år

Siden Beslutningsforum behandlet saken i 2025 har MT for metoksyfluran i Norge blitt utvidet til å gjelde barn over 6 år. Dette representerer en vesentlig utvidelse fra det opprinnelige saksunderlaget som kun inkluderte voksne. Arbeidsgruppen har vurdert dokumentasjonen og inkludert barn ≥ 6 år i sine anbefalinger.

MAGPIE-studien fra 2025 viser signifikant effekt sammenliknet mot placebo for barn over 6 år med traumatisk moderat smerte. **En Australsk studie fra 2025** av over 10 000 pediatriske pasienter som fikk metoksyfluran viste lav forekomst av bivirkninger og konkluderte med at bruk hos barn er trygt.

Forslag om revurdering/vurdering

Uavhengig av arbeidsgruppens rapport har det kommet inn forslag om revurdering av bruken til voksne, samt vurdering for barn. Forslaget som er sendt inn av IFA/FRAM, pre-hospitale tjenester Midt-Norge og Sykehuset Innlandet HF var opprinnelig tenkt behandlet i Bestillerforum 21.09.2026.

Forslaget støtter opp under behovet for metoden og samsvarer med arbeidsgruppens konklusjoner. For å sikre en koordinert og effektiv prosess foreslås det at saken behandles under ett, og at de faglige kriteriene som arbeidsgruppen har utarbeidet, danner utgangspunkt for ny behandling.

Arbeidsgruppens forslag til faglige retningslinjer og kriterier for bruk

Arbeidsgruppen vurderer at metoksyfluran bør brukes som et supplement til eksisterende pre-hospitale smertelindringsstrategier og ikke som erstatning for etablert intravenøs behandling.

Følgende kriterier foreslås:

- Pasient ≥ 6 år
- Våken og samtykkekompetent pasient
- Moderat til sterk akutt smerte (NRS ≥ 4)
- Traumatiske skader der rask smertelindring er ønskelig
- Situasjoner der intravenøs tilgang ikke er etablert eller forventes å være vanskelig
- Situasjoner der rask smertelindring er nødvendig før intravenøs behandling kan gis
- Situasjoner der rask evakuering eller transport prioriteres

Forslag til videre behandling av saken:

Før saken tas tilbake til Beslutningsforum for nye metoder må Bestillerforum ta stilling til om det er behov for ytterligere utredning fra DMP:

- **Kunnskapsgrunnlaget for barn:** Siden DMP sin metodevurdering fra 2025 kun omfattet voksne, vil en utvidelse til barn ≥ 6 år normalt kreve en ny metodevurdering. Siden arbeidsgruppen allerede har foretatt en grundig faglig gjennomgang av dokumentasjonen for barn (MAGPIE og registerstudier), og MT er formelt utvidet, vurderes det som unødvendig at DMP gjør en ny utredning. Det faglige beslutningsgrunnlaget anses som tilstrekkelig.
- **Pris og forhandlinger:** Sykehusinnkjøp HF må utarbeide et oppdatert prisnotat basert på de faglige kriteriene som arbeidsgruppen har skissert (pasienter ≥ 6 år, prehospital bruk som supplement/bro-behandling). Dette vil gi grunnlag for nye prisforhandlinger med leverandøren.

Forslag til beslutning:

1. Bestillerforum ber Sykehusinnkjøp HF om å utarbeide et oppdatert prisnotat og gjenoppta forhandlingene med leverandør om metoksyfluran (Penthrox) til akutt smertelindring ved moderate til sterke traumatiske smerter hos pasienter ≥ 6 år som er ved bevissthet.
2. Det oppdaterte prisnotatet skal baseres på de nasjonale inklusjonskriteriene og den tidsavgrensede bruken som bro-analgetikum pre-hospitalt, slik det er definert i rapporten til arbeidsgruppen.
3. Bestillerforum vurderer at rapporten fra arbeidsgruppen, sammen med utvidet MT og nyere kliniske studier (MAGPIE), utgjør et tilstrekkelig faglig kunnskapsgrunnlag for utvidelse til pasienter ≥ 6 år. Det er derfor ikke behov for en ny metodevurdering fra DMP.

Vedlegg:

1. Rapport om kriterier og prosedyrer for bruk av metoksyfluran i pre-hospital akuttmedisin i Norge - rapport fra arbeidsgruppen
2. Forslag om revurdering til voksne og vurdering for barn for ID2023_037 metoksyfluran (Penthrox)

Rapport om kriterier og prosedyrer for bruk av metoksyfluran i pre-hospital akuttmedisin i Norge

Arbeidsgruppe nedsatt av regionale fagdirektører 2026

16. juni 2026

Innhold

1. Mandat	2
2. Arbeidsgruppe	2
3. Bakgrunn og evidensgrunnlag	2
3.1 Pre-hospital smertebehandling – dagens utfordringer.....	2
3.2 Metoksyfluran	3
3.3 Tidligere dokumentasjon	3
3.4 Ny kunnskap	4
3.5 Samlet vurdering av evidensgrunnlaget	5
4. Pasientpopulasjon og indikasjon for bruk.....	5
5. Praktisk bruk og dosering.....	6
6. Sikkerhet og bivirkninger.....	6
6.1 Generell sikkerhet	6
6.2 Vanlige bivirkninger.....	6
6.3 Alvorlige bivirkninger.....	7
6.4 Sikkerhet for helsepersonell	7
7. Arbeidsgruppens vurdering.....	7
8. Arbeidsgruppens forslag til handlingskort/prosedyre	8
Referanser	9

1. Mandat

Etter oppdrag fra regionale fagdirektører er det nedsatt en arbeidsgruppe for å vurdere kriterier og prosedyrer for bruk av metoksyfluran (Penthrox®) i norsk pre-hospital akuttmedisin. Representant for fagdirektørene er direktør for medisin og helsefag i HSØ, Ulrich Spreng.

Arbeidsgruppen skal:

- Vurdere tilgjengelig dokumentasjon om effekt, sikkerhet og praktisk anvendelse av metoksyfluran i pre-hospital behandling av akutte smerter.
- Vurdere hvilken rolle metoksyfluran kan ha i norske ambulanse- og luftambulansetjenester.
- Foreslå kriterier for hvilke pasientgrupper som bør tilbys behandling.
- Foreslå prosedyrer for administrasjon.

2. Arbeidsgruppe

Arbeidsgruppen har bestått av:

- Fridtjof Heyerdahl (leder)
- Randi Simensen
- Anders Samuelsen
- Thomas Wilson
- Svein Oddvar Moen
- Christopher Kalhagen Bjerkvik
- Karin Bakkelund

Det er avholdt tre møter i arbeidsgruppen (1., 9. og 16. juni 2026)

3. Bakgrunn og evidensgrunnlag

3.1 Pre-hospital smertebehandling – dagens utfordringer

Effektiv behandling av akutte smerter er en sentral oppgave i pre-hospital akuttmedisin. Til tross for etablerte behandlingsprotokoller viser både internasjonale og norske data at mange pasienter fortsatt mottar utilstrekkelig smertelindring (oligoanalgesi).

Den pre-hospitale settingen skiller seg fra behandling i akuttmottak ved at helsepersonell ofte arbeider under krevende forhold med begrensede ressurser, dårlig tilgang til pasienten, kuldeeksponering, mørke, tidskrisiske situasjoner eller behov for rask evakuering. Etablering av intravenøs tilgang kan være utfordrende eller tidkrevende, særlig hos eldre pasienter, hos barn, ved hypotermi, sirkulasjonssvikt eller alvorlige traumer.

Det foreligger dokumentasjon på at intravenøs tilgang ikke lykkes ved første forsøk hos en betydelig andel pasienter, og dette kan forsinke adekvat smertelindring (1).

Inhalasjonsanalgesi har en distinkt annen farmakodynamikk enn intranasal behandling og injeksjonsbehandling. Effekt inntreffer raskere, og følger en annen kurve enn andre administrasjonsformer. Dette er viktig å få frem når slike medikamenter vurderes.

3.2 Metoksyfluran

Metoksyfluran er et flyktig inhalasjonsanalgetikum som administreres gjennom en håndholdt inhalator. Pasienten inhalerer legemidlet selv under veiledning av helsepersonell.

Legemidlet ble tidligere brukt som anestesimiddel i høye doser, men brukes i dag i betydelig lavere doser for analgetisk behandling. Mekanismen bak den smertestillende effekten er ikke fullt kartlagt, men den kliniske effekten er godt dokumentert.

Fordelene ved metoksyfluran inkluderer:

- Enkel administrasjon uten behov for intravenøs tilgang.
- Rask innsettende effekt (inhalasjon gir raskere effekt enn IN og IM)
- Mulighet for bruk på skadested før annen behandling er etablert.
- Pasientstyrt administrasjon.
- Begrenset behov for avansert monitorering sammenlignet med intravenøse opioider.
- Overdosering korrigerer seg selv ved at pasienten slutter å holde inhalator mot munnen, og effekten forsvinner raskt når inhalasjon opphører.
- Metoksyfluran har ikke vist seg å være vanedannende, til forskjell fra opioider.

Metoksyfluran er relativt kostbart sammenliknet med tilsvarende tradisjonell smertelindring. Pris hentet fra felleskatalogen i juni 2026 er kr 399,50 per dose. Til sammenlikning koster en ampulle med 10 mg morfin kr 42,50. Avtalepriser fremforhandlet av helseforetak vil skille seg fra disse, og oftest være lavere.

Metoksyfluran har et større miljøavtrykk enn mange andre medisiner, og det er estimert 0,8 kg CO₂-utslipp per dose (2) Det er et argument for en nøye utvelgelse av hvilke pasienter som egner seg slik at bruken ikke blir for stor. Men det er ikke en miljøkostnad som bør hindre bruken der denne er godt fundert (3)

3.3 Tidligere dokumentasjon

DMPs metodevurdering fra februar 2025 bygget hovedsakelig på STOP!-, InMEDIATE- og MEDITA-studiene (4-6).

STOP!-studien viste signifikant bedre smertelindring sammenlignet med placebo. InMEDIATE- og MEDITA-studiene sammenlignet metoksyfluran med standard analgetisk behandling og viste rask smertelindring og høy pasienttilfredshet.

På tvers av studiene ble smertelindring rapportert hos mellom 83 og 95 % av pasientene. Median tid til opplevd effekt var mellom 4 og 10 minutter. Studiene viste samtidig at metoksyfluran primært har sin styrke i den tidlige fasen av behandlingen. Effekten avtok raskere hos pasienter med svært sterke smerter, noe som understøtter bruk som bro-behandling frem til annen analgesi etableres.

DMP konkluderte med at metoksyfluran fremstår som en trygg og effektiv behandling med særlig relevans i pre-hospital setting når intravenøs tilgang er vanskelig eller utilgjengelig. Metoksyfluran er tidligere sammenliknet med paracetamol prehospitalt. Det er imidlertid vel så relevant å sammenlikne med sterkere analgetika med mer akutt innsettende effekt. Dette vil også være mer relevant i vurderingen av metoksyfluran som del av multimodal smertelindring i akutfasen.

3.4 Ny kunnskap

3.4.1 PreMeFen-studien

PreMeFen representerer den hittil mest relevante dokumentasjonen for norsk ambulansetjeneste (7).

Studien var en randomisert fase III-studie gjennomført i norsk ambulansetjeneste hvor metoksyfluran ble sammenlignet med intranasal fentanyl og intravenøs morfin hos pasienter med moderate til sterke akutte smerter.

Totalt ble 338 pasienter inkludert.

Studien viste at:

- Metoksyfluran var non-inferior til intravenøs morfin etter 10 minutter.
- Metoksyfluran var non-inferior til intranasal fentanyl etter 10 minutter.
- Den gjennomsnittlige smertereduksjonen etter 10 minutter var størst i metoksyflurangruppen.
- Intranasal fentanyl oppnådde først tilsvarende effekt som morfin etter 20–30 minutter.
- Forekomsten av bivirkninger var sammenlignbar mellom behandlingsgruppene.

Forfatterne konkluderte med at metoksyfluran har en særlig rolle i den aller tidligste fasen av behandlingen og kan fungere som en bro til mer langvarig analgesi når intravenøs behandling ennå ikke er etablert.

Studien har høy overføringsverdi til norsk klinisk praksis fordi den ble gjennomført i ordinær norsk ambulansetjeneste med både traumatiske og medisinske smertepasienter.

3.4.2 MetoksyKval-studien

MetoksyKval undersøkte hvordan metoksyfluran faktisk ble brukt etter implementering i ordinær ambulansetjeneste (8).

Studien viste at:

- Metoksyfluran ble brukt selektivt.
- Kun 7 % av alle pasienter med NRS ≥ 4 mottok metoksyfluran.
- De vanligste indikasjonene var vanskelig intravenøs tilgang, behov for en ikke-opioid løsning og ønske om redusert skadestedstid.
- Omtrent halvparten av pasientene oppnådde tilfredsstillende smertelindring uten ytterligere analgesi.
- Pasienttilfredshet og tilfredshet blant ambulanspersonell var høy.

Studien støtter at metoksyfluran kan brukes målrettet hos utvalgte pasientgrupper uten å medføre omfattende bruk.

3.4.3 Nye studier på effekt hos barn

Etter DMPs metodevurdering i 2025 er markedsføringstillatelsen for metoksyfluran i Norge utvidet til barn over 6 år. MAGPIE-studien fra 2025 viser signifikant effekt sammenliknet mot placebo for barn over 6 år med traumatisk moderat smerte (9). En Australsk studie av over 10 000 pediatriske pasienter som fikk metoksyfluran viste lav forekomst av bivirkninger og konkluderte med at bruk hos barn er trygt (10).

3.5 Samlet vurdering av evidensgrunnlaget

Arbeidsgruppen vurderer at evidensgrunnlaget nå er betydelig styrket sammenliknet med situasjonen da DMP gjennomførte metodevurderingen sist.

Det foreligger dokumentasjon for:

- Rask smertelindring.
- God klinisk effekt ved moderate til sterke smerter, også hos barn fra 6 år.
- God anvendbarhet i pre-hospital setting.
- Høy pasienttilfredshet.
- Akseptabel sikkerhetsprofil, også hos barn.
- Praktisk nytte ved manglende eller forsinket intravenøs tilgang.

Arbeidsgruppen vurderer at metoksyfluran ikke bør erstatte etablerte intravenøse analgetika, men bør inngå som et supplement og en bro-behandling i utvalgte pre-hospitale situasjoner.

4. Pasientpopulasjon og indikasjon for bruk

Arbeidsgruppen vurderer at metoksyfluran bør brukes som et supplement til eksisterende pre-hospitale smertelindringsstrategier og ikke som erstatning for etablert intravenøs behandling.

Følgende kriterier foreslås:

Inklusjonskriterier

- Pasient ≥ 6 år.
- Våken og samtykkekompetent pasient.
- Moderat til sterk akutt smerte ($\text{NRS} \geq 4$).
- Traumatiske skader der rask smertelindring er ønskelig.
- Situasjoner der intravenøs tilgang ikke er etablert eller forventes å være vanskelig.
- Situasjoner der rask smertelindring er nødvendig før intravenøs behandling kan gis.
- Situasjoner der rask evakuering eller transport prioriteres.

Særlig aktuelle situasjoner (Eksempler, ikke uttømmende)

- Ekstremitetsskader med mistanke om fraktur eller luksasjon.

- Skader i fjell-, sjø-, skog- eller vintermiljø.
- Lett hypotermie pasienter eller i kalde omgivelser der intravenøs tilgang er vanskelig.
- pasienter med krevende evakuering der intravenøs tilgang er vanskelig.
- Pasienter der etablering av intravenøs tilgang kan forsinke behandling eller transport.
- Smertelindring hos barn >6 år der rask effekt er ønskelig, og hensyn til skånsom behandling er viktig.
- Akutte traumatiske smerter hos pasienter der opiatte bør unngås (opioid-misbruk etc)

Kontraindikasjoner

Kontraindikasjoner bør følge preparatomtalen og gjeldende legemiddelinformasjon.

5. Praktisk bruk og dosering

Metoksyfluran administreres ved hjelp av Penthrox®-inhalatoren.

Dosering

- Én ampulle inneholder 3 ml metoksyfluran.
- Standard startdose er én inhalator (3 ml).
- En ny ampulle (ytterligere 3 ml) kan gis ved utilstrekkelig effekt.
- Maksimal døgndose er 6 ml.

Administrasjon

1. Inhalatoren klargjøres av helsepersonell.
2. Pasienten instrueres i selvadministrasjon.
3. Pasienten inhalerer etter behov for ønsket smertelindring.
4. Effekt vurderes fortløpende med NRS.
5. Videre smertelindring gis etter ordinære prosedyrer når intravenøs eller annen tilgang er etablert.

6. Sikkerhet og bivirkninger

6.1 Generell sikkerhet

Tilgjengelige studier viser at metoksyfluran generelt har en god sikkerhetsprofil når legemidlet brukes i anbefalte analgetiske doser.

I de randomiserte studiene STOP!, InMEDIATE, MEDITA og PreMeFen var alvorlige bivirkninger sjeldne. De fleste rapporterte bivirkninger var milde, forbigående og selvbegrensende.

6.2 Vanlige bivirkninger

De hyppigst rapporterte bivirkningene er:

- Svimmelhet
- Døsighet
- Tretthet
- Følelse av rus eller påvirkning
- Kvalme

Bivirkningene oppstår vanligvis kort tid etter administrasjon og går som regel tilbake i løpet av få timer.

6.3 Alvorlige bivirkninger

Historisk har høydose metoksyfluran vært assosiert med nefrotoksisitet ved anestesibruk. Dagens analgetiske doser er betydelig lavere enn dosene som tidligere ble brukt ved anestesi.

Det foreligger ikke dokumentasjon som tilsier klinisk relevant nefrotoksisitet ved anbefalt prehospital bruk.

Det er beskrevet en økt risiko for malign hypertermi, men dette er svært sjeldent og virker ikke å være økt risiko i forhold til andre inhalasjonsanestetika.

I PreMeFen-studien ble to alvorlige hendelser registrert hos én pasient i metoksyflurangruppen (respirasjonsdepresjon og kortvarig bevissthetstap). Pasienten fikk begge hendelsene i samme behandlingsforløp. Det forekom ingen behandlingsrelaterte dødsfall.

6.4 Sikkerhet for helsepersonell

Metoksyfluran-inhalatoren er utstyrt med kullfilter **som** reduserer eksponering av omgivelsene.

Eksponering av helsepersonell kan forekomme, særlig i lukkede omgivelser som ambulanser og luftambulanser. Tilgjengelige målinger viser imidlertid nivåer langt under kjente toksiske grenser.

Ved bruk i luftambulanse anbefales god ventilasjon og etterlevelse av lokale prosedyrer.

7. Arbeidsgruppens vurdering

Arbeidsgruppen vurderer at metoksyfluran har en akseptabel sikkerhetsprofil for prehospital bruk når anbefalte doser følges, pasientutvelgelsen skjer i henhold til SPC (godkjenning), administrasjon utføres under tilsyn av helsepersonell, og behandlingen inngår som del av etablerte prosedyrer for smertebehandling. Risikoen vurderes som lav sammenlignet med den potensielle gevinsten ved rask smertelindring hos selekterte pasientgrupper.

Ny dokumentasjon fra PreMeFen-studien styrker kunnskapsgrunnlaget betydelig sammenlignet med det som forelå ved DMPs metodevurdering (ID2023-037). Metoksyfluran

gir rask smertelindring, er enkel å administrere og kan benyttes uten intravenøs tilgang, noe som gjør legemidlet særlig egnet som bro-behandling i den tidlige prehospitale fasen.

MetoksyKval-studien viser samtidig at bruken kan holdes på et moderat nivå dersom tydelige kriterier legges til grunn. På denne bakgrunn vurderer arbeidsgruppen at metoksyfluran bør inngå som et tilgjengelig pre-hospitalt behandlingsalternativ i norske ambulanse- og luftambulansetjenester, primært for pasienter med akutte traumatiske smerter der rask smertelindring er nødvendig og intravenøs behandling ikke umiddelbart er tilgjengelig.

Metoksyfluran har en implementeringsrisiko som skiller seg fra tradisjonelle analgetika. Fordi preparatet er enkelt, raskt og ikke-invasivt, kan det få større utbredelse enn den faglige indikasjonen tilsier, med risiko for kostbart overforbruk. Ved innføring bør metoksyfluran ikke presenteres som et generelt førstevalg. Det skal ikke brukes som en opioid-erstatning, men som et avgrenset bro-analgetikum i nevnte situasjoner. Vi anbefaler at helseforetakene har en strategi for å monitorere bruken slik at man kan korrigere ved behov.

8. Arbeidsgruppens forslag til handlingskort/prosedyre

Indikasjon

- Akutt smertelindring ved moderat til sterk traumatisk smerte
- Brukes i tilfeller med behov for rask smertelindring der ikke annen smertelindring er mulig, eller der det er utfordrende med etablering av intravenøs tilgang.

Kontraindikasjon

- Endret bevissthetsnivå av enhver årsak (f.eks. hodeskade, legemidler, alkohol)
- Respiratorisk og/eller sirkulatorisk ustabilitet
- Malign hypertermi, eller andre alvorlige bivirkninger etter tidligere
- inhalasjonsanestesi (inkludert familieanamnese)
- Alvorlig nedsatt nyre-/leverfunksjon
- Pasienter under 6 år

Dosering

En ampulle 3 ml i inhalasjonskammeret. Kan gjentas en gang (hver ampulle varer ca 30 minutter). Dosering er lik for alle aldre. Ukesdosen skal ikke overstige 15 ml.

Spesielle hensyn

- Inhalator skal alltid benyttes med aktivt kullfilter for å redusere eksponering av gass til omgivelser (spesielt viktig inne i et lukket rom)
- Velg annen smertelindring så snart det er hensiktsmessig
- Forsiktighet ved eldre og svekkede, og pasienter med hypotensjon og bradykardi
- Forsiktighet ved samtidig bruk av metoxyfluran med CNS-depressiva (f.eks. alkohol, opioider eller benzodiazepiner)

- Bruk under graviditet og amming er dårlig klarlagt og bør unngås såfremt ikke helt nødvendig.

Forslaget er så langt som mulig harmonisert med tilsvarende prosedyre fra FRAM

Referanser

1. Sabri A, Szalas J, Holmes KS, Labib L, Mussivand T. Failed attempts and improvement strategies in peripheral intravenous catheterization. *Biomed Mater Eng.* 2013;23(1-2):93-108. doi:10.3233/BME-120735
2. Martindale AE, Morris DS, Cromarty T, Fennell-Wells A, Duane B. Environmental impact of low-dose methoxyflurane versus nitrous oxide for analgesia: How green is the 'green whistle'? *Emerg Med J.* 2024;41(2):69-75. doi:10.1136/emered-2022-213042
3. Simensen R, Rehn M, Hagemo J, Fjose LO, Heyerdahl F. Methoxyflurane: Analgesic benefit and environmental impact; authors' reply. *The Lancet.* 2026;407(10537):1427-8. doi:10.1016/S0140-6736(26)00495-2
4. Coffey F, Wright J, Hartshorn S, Hunt P, Locker T, Mirza K, et al. Stop!: A randomised, double-blind, placebo-controlled study of the efficacy and safety of methoxyflurane for the treatment of acute pain. *Emerg Med J.* 2014;31(8):613-8. doi:10.1136/emered-2013-202909
5. Borobia AM, Collado SG, Cardona CC, Pueyo RC, Alonso CF, Torres IP, et al. Inhaled methoxyflurane provides greater analgesia and faster onset of action versus standard analgesia in patients with trauma pain: Immediate: A randomized controlled trial in emergency departments. *Ann Emerg Med.* 2020;75(3):315-28. doi:10.1016/j.annemergmed.2019.07.028
6. Voza A, Ruggiano G, Serra S, Carpinteri G, Gangitano G, Intelligente F, et al. Inhaled methoxyflurane versus intravenous morphine for severe trauma pain in the emergency setting: Subgroup analysis of medita, a multicenter, randomized, controlled, open-label trial. *J Pain Res.* 2020;13:491-502. doi:10.2147/jpr.S240911
7. Simensen R, Fjose LO, Thorsen K, Olsen IC, Rehn M, Hagemo J, et al. Comparison of inhalational methoxyflurane, intranasal fentanyl, and intravenous morphine for treatment of prehospital acute pain in Norway (premedfen): A randomised, non-inferiority, three-arm, phase 3 trial. *The Lancet.* 2025;406(10522):2957-67. doi:10.1016/s0140-6736(25)01575-2
8. Simensen R, Smalberget L, Heyerdahl F. Metoksykval: The extent of pre-hospital methoxyflurane administration for acute traumatic pain: Focus on economic

impact and rationale for use. *Scand J Trauma Resusc Emerg Med*. 2026;34(29). doi:10.1186/s13049-026-01546-z

9. Hartshorn S, Barrett MJ, Bloom B, Lyttle MD, Walton E, Steel K, et al. Treatment of acute trauma-related pain in children and adolescents with methoxyflurane (penthrox®) compared to placebo (magpie): A randomised clinical trial. *Injury*. 2025;56(12):112830. doi:10.1016/j.injury.2025.112830
10. Kelty EA, Murray K, Sanfilippo FM, Preen DB. The safety of methoxyflurane for emergency pain relief in children and adolescents: A retrospective cohort study. *Prehosp Emerg Care*. 2025;29(6):768-75. doi:10.1080/10903127.2024.2397519

Forslag om nasjonal metodevurdering

Viktig informasjon – se på dette først og husk å krysse av!

- Innsendte forslag til nasjonale metodevurderinger vil bli publisert i sin helhet. Har du informasjon du mener ikke kan offentliggjøres, ta kontakt med sekretariatet før innsending.
Forslagsstiller er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (kryss av): ☒
- Forslagsstiller har fylt ut punkt 18 nedenfor: «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av): ☒
- Dette skjemaet brukes for å sende inn forslag om metodevurdering på nasjonalt nivå i Nye metoder. Skjemaet gjelder ikke forslag om forskningsprosjekter. En metodevurdering er en type kunnskapsoppsummering, og for at en slik skal kunne utføres, behøves dokumentasjon eksempelvis fra gjennomførte kliniske studier. Manglende dokumentasjonsgrunnlag kan være en av årsakene til at Bestillerforum RHF ikke gir oppdrag om en metodevurdering.
- Hvis forslaget gjelder et medisinsk utstyr, er forlagsstiller kjent med dokumentet [Veiledende kriterier for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder](#) (link) (kryss av): ☐

Opplysninger om forlagsstiller

Navn/kontaktperson	Gunnar Vangberg og Lars Olav Fjose på vegne av smertegruppen i FRAM / IFA
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	IFA/FRAM, prehospitaltjenester Midt-Norge og Sykehuset Innlandet HF
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	lars.olav.fjose@sykehuset-innlandet.no 99591112
Dato for innsending av forslag	22.05.2026

Opplysninger om metoden som foreslås

1. Forslagstillers tittel på forslaget:*

*Denne kan endres under den videre behandlingen i systemet for Nye metoder:

Godkjenning av Pentrox (metoksyfluran) for bruk i spesialisthelsetjenesten

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

I akuttmedisinsk sammenheng er det behov for et effektivt og sikkert medikament som kan gis uten bruk av intravenøst kateter. Ny forskning viser at metoksyfluran virker raskt og effektivt på akutte smerter til barn og voksne.

3. Gi en kort begrunnelse for hvorfor det er viktig at metodevurderingen som foreslås bør gjennomføres:

I akutte situasjoner kan det være vanskelig å gi medikamenter intravenøst. Barn er ofte redd for å bli stukket med intravenøst kateter. Innleggelse av venekateter- kan også være vanskelig pga. små blodårer, kulde, vanskelige arbeidsforhold og manglende erfaring i håndtering av intravenøs tilgang hos barn og voksne i ambulansetjenesten og i akutte medisinske situasjoner. Metoksyfluran er et godt alternativ siden det gis i en fløyte til pasienten. Medikamentet virker raskt, er lett å administrere og er forbundet med en god sikkerhetsprofil. Pasienten administrerer medikamentet selv og virkningen opphører raskt når pasienten tar fløyten ut av munnen.

Medikamentet er spesielt velegnet i akutte situasjoner til pasienter med sterke smerter der venøs tilgang ikke lar seg etablere innen rimelig tid, og det foreligger klinisk behov for rask smertelindring. Metoksyfluran er et ikke-opioid uten misbruksproblematikk og med få alvorlige bivirkninger. Intranasal fentanyl og ketamin kan gis av ambulansetjenesten-, men det kreves lengre tid før den kliniske effekten kommer. Metoksyfluran er spesielt godt egnet i kalde omgivelser og situasjoner hvor det er viktig at medikamentet virker raskt.

Det er økende forståelse for at opioidbruken i befolkningen bør reduseres og et smertestillende medikament som ikke er opioid med rask innsettende effekt vil bidra til bedre prehospital behandling for pasienter med akutte smerter.

Metoksyfluran brukes i økende grad på sykehus som et enklere alternativ til anestesi og sedasjon ifm smertefulle prosedyrer. Medikamentet kan bidra i noe grad til reduksjon i behovet for sedasjon ved smertefulle prosedyrer i mottaksavdelinger.

Et samlet Interregionalt fagråd(IFA) for ambulansetjenesten og Felles retningslinjer for ambulansetjenesten (FRAM) står bak forslag om nasjonal metodevurdering.

4. Foreslå hva som bør være hovedproblemstilling(er) for metodevurderingen, samt eventuelle underproblemstillinger. For deg som er kjent med «PICO (Patient, Intervention, Comparator, Outcome) -begrepet», inkluder gjerne tentativt forslag til PICO.*

Indikasjonen for Pentrox er endret i Felleskatalogen, men Nye Metoder har ikke godkjent bruk av medikamentet i spesialisthelsetjenesten.

P-voksne og barn fra 6 år med akutte smerter pga skade

I-inhalasjon med Pentrox

C- standard analgetika i ambulansetjenesten, intravenøs morfin, intravenøs fentanyl, intranasal fentanyl, intranasal ketamin/esketamin, intramuskulær ketamin/esketamin

O-smertelindring, reduksjon i NRS, reduksjon i Face Pain Scale til barn. Alvorlige bivirkninger som apne, alvorlig fall i saturasjon, respirasjonsfrekvens og blodtrykk

*PICO er et verktøy for å formulere presise problemstillinger i metodevurderingsarbeid. PICO er en forkortelse for Population/Problem – Intervention – Comparison – Outcome. PICO brukes til å presisere hvilken populasjon/problem som skal studeres, hvilke(t) tiltak (metode/behandling) som skal vurderes, hvilket tiltak det er naturlig å sammenligne med, og hvilke utfall/endepunkter det er relevant å måle/vurdere. PICO er viktig for planlegging og gjennomføring av en metodevurdering.

5. Kort beskrivelse av dagens tilbud (Hvilken metode brukes nå? Status for metoden (gir kurativ behandling, forlenget levetid etc.) Vil metoden som foreslås vurdert erstatte eller komme i tillegg til dagens tilbud?)

I løpet av de siste årene er intranasal administrasjon av medikamenter blitt mer vanlig i akuttmedisinsk sammenheng. Smertestillende medikamenter som sufentanil, fentanyl og ketamin/esketamin kan gis intranasalt til barn og voksne. Det kan være bivirkninger av medikamentene. Intranasal administrasjon av de nevnte analgetika er i hovedsak sikker, men metoksyfluran har egenskaper som er ønskelige i akutte situasjoner.

Den norske prehospital studien PreMeFen viste at intranasal fentanyl var non-inferior til i.v. morfin og metoksyfluran først etter 20 minutter. Det er lang tid i behandling av akutte smerter.

Metoksyfluran vil være tilleggsbehandling når vanlige smertestillende tiltak ikke fører frem eller når ambulanspersonell mener at metoksyfluran vil være best.

6. Forslaget gjelder:	Ja	Nei
En metode som er aktuell for spesialisthelsetjenesten	☒	☐
En ny og innovativ metode	☒	☐
Et nytt bruksområde, eller en ny indikasjon for en etablert metode	☒	☐
En sammenligning mellom flere metoder	☐	☒
Er metoden tatt i bruk?	☒	☐
Hvis ja – metode er tatt i bruk i klinisk praksis	☒	☐
Hvis ja – metode er tatt i bruk innen forskning/utprøving	☒	☐
Revurdering/utfasing av en metode som er tatt i bruk i klinisk praksis	☐	☒

Eventuelle kommentarer til bruken av metoden:

Metoksyfluran kan være nyttig til spesielt sårbare pasientgrupper som barn, LAR pas og pasienter som bruker opioider i høye doser med akutte smerter pga skade.

7. Hva omfatter metoden som foreslås (flere kryss mulig)?

Legemiddel ☒

Medisinsk utstyr som er CE-merket* ☐

*Angi klassifisering og bruksområde:

Akutt smertelindring ved moderat til sterke smerter som følge av traume hos pasienter ≥ 6 år som er ved bevissthet.

Medikamentet er i reseptgruppe C.

Medisinsk utstyr som ikke er CE-merket ☐

Prosedyre ☐

Screening ☐

Høyspesialiserte tjenester/nasjonale tilbud ☒

Organisatorisk oppsett av helsetjenesten ☐

Annet (beskriv) ☐

Det er gjort endringer av SPC godkjent av DMP/EMA 03.09.2025. Endring av indikasjon er nylig gjennomført i Felleskatalogen

8. Finansieringsansvar Ja Nei

Har spesialisthelsetjenesten et finansieringsansvar for metoden i dag? ☐ ☒

Vil spesialisthelsetjenesten kunne få finansieringsansvar for metoden? ☒ ☐

Eventuelle kommentarer:

Det er gjort beregninger som estimerer kostnaden ved å introdusere metoksyfluran i spesialisthelsetjenesten.

Smertegruppa i FRAM og IFA mener at medikamentet vil representere en klar forbedring til noen pasienter med akutte smerter og nytteverdien vil etter vår vurdering overstige ulempene med økt kostnad.

Ledere i FRAM og IFA vil ha fokus på at medikamentet brukes på riktige pas slik at kostnadene holdes nede.

9. Er metoden omtalt i nasjonale faglige retningslinjer eller handlingsprogrammer utarbeidet av Helsedirektoratet?

Ja Nei
☐ ☒

Angi eventuelt hvilke og kommenter eventuelt behov for endringer:

10. Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)?

Ja Nei
☐ ☒

Angi eventuelt type strålekilde, utstyr og stråleeksponering:

11. Hvilke fagområde(r) gjelder metoden, og hvilke pasienter berøres? (Får metoden evt. også konsekvenser for andre grupper (som personell, pårørende?))

Metoden gjelder for pasienter med moderate til sterke smerter fra 6 år pga skade.

Metoden vil få konsekvenser for arbeidsmiljøet til de som administrerer medikamentet i ambulanser og luftambulanser. Det finnes teknikker for å redusere forurensing i lukket miljø og studier som konkluderer med at faren for kontaminasjon ikke er stor.

12. Hvilke aspekter er relevante for metodevurderingen? (flere kryss mulig)

Klinisk effekt	☒
Sikkerhet/bivirkninger	☒
Kostnader/ressursbruk	☒
Kostnadseffektivitet	☒
Organisatoriske konsekvenser	☒
Etiske	☐
Juridiske	☐

13. Kommenter metoden som forslås vurdert mht. følgende punkter:

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

Akutte sterke smerter er en prioritert problemstilling i prehospitale tjenester som må ha tilstrekkelig fokus

Forventet effekt

Den smertestillende effekten av medikamentet er effektiv og raskere enn andre non-invasive medikamenter.

Sikkerhet og bivirkninger

Medikamentet har god sikkerhet og rask redusert klinisk virkning når medikamentet tas ut av munnen til pasienten.

Bivirkningsprofilen er på linje med tilsvarende medikamenter brukt i behandling av akutte smerter (referanse PreMeFen-studien)

Medikamentet tåler kulde bedre enn intranasale alternativer og er et viktig supplement i kalde omgivelser

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

Studien til Simensen et al viser at ca 7 % av pasientene i en norsk ambulansetjeneste fikk metoksyfluran i en periode. Man ser av studien at bruken er størst i den kalde årstiden.

Simensen R, Smalberget L, Heyerdahl F. MetoksyKval: the extent of pre-hospital methoxyflurane administration for acute traumatic pain: focus on economic impact and rationale for use. Scand J Trauma Resusc Emerg Med. 2026;34(1):29.

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Det er gjort beregninger i Nye Metoder som estimerer kostnaden ved å introdusere metoksyfluran i spesialisthelsetjenesten i Norge.

Klinisk erfaring fra mottak i Norge viser redusert behov for anestesitjenester pga enkle administrasjon og effektiv analgetisk virkning av medikamentet ved smertefulle prosedyrer. God smertelindring bidrar til bedre pasientflyt på sykehus og forbedringer i prehospital smertebehandling kan ha positiv virkning i videre behandlingsforløp.

.

14. Oppgi referanser til dokumentasjon om metodens effekt og sikkerhet (eks. tidligere metodevurderinger). (Inntil 10 sentrale referanser oppgis. Ikke send vedlegg nå.)

- Simensen R, Fjose LO, Thorsen K, Olsen IC, Rehn M, Hagemo J, et al. Comparison of inhalational methoxyflurane, intranasal fentanyl, and intravenous morphine for treatment of prehospital acute pain in Norway (PreMeFen): a randomised, non-inferiority, three-arm, phase 3 trial. Lancet. 2025.

- Kely EA, Murray K, Sanfilippo FM, Preen DB. The Safety of Methoxyflurane for Emergency Pain Relief in Children and Adolescents: A Retrospective Cohort Study. Prehosp Emerg Care. 2025;29(6):768-75.

- Hartshorn S, Barrett MJ, Bloom B, Lyttle MD, Walton E, Steel K, et al. Treatment of acute trauma-related pain in children and adolescents with methoxyflurane (Penthrox®) compared to placebo (MAGPIE): A randomised clinical trial. Injury. 2025;56(12):112830

- Abebe Y, Hetmann F, Sumera K, Holland M, Staff T. The effectiveness and safety of paediatric prehospital pain management: a systematic review. Scand J Trauma Resusc Emerg Med. 2021;29(1):170

- Editorial Lancet:Metoxyflurane: a promising non-intravenous, non-opioid analgesic. 20 november 2025. DOI 10.1016/S0140-6736(25)01532-6

- Simensen R, Smalberget L, Heyerdahl F. MetoksyKval: the extent of pre-hospital methoxyflurane administration for acute traumatic pain: focus on economic impact and rationale for use. Scand J Trauma Resusc Emerg Med. 2026;34(1):29.

- Barnett, ML, Olenski, AR, Jena, AB Opioid-prescribing patterns of emergency physicians and risk

15. Oppgi navn på produsenter/leverandører vedrørende metoden (dersom aktuelt/tilgjengelig):

Medical DevelopmentsNEDB.V Nederland.
Repr PAO Pharma Scandinavia 215032 Malmø.

15. Status for markedsføringstillatelse (MT) eller CE-merking: Når forventes MT- eller CE-merking? Eventuelt opplysning om planlagt tidspunkt for markedsføring.

16. Fritekstrubrikk (Supplerende relevant informasjon, inntil 300 ord.)

God prehospital smertelindring er markør på god prehospital behandling. Introduksjon av en sikker og effektiv ny metode kan bidra til bedre omdømme av helsetjenestene prehospitalt og på sykehus.

Vi vil gjerne bidra til å opplyse mer i saken og kan tenke oss et fysisk møte med dere ved behov.

17. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv forslagstillers relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som foreslås metodevurdert. (Eksempler: Forslagsstiller har økonomiske interesser i saken. Forslagsstiller har eller har hatt

oppdrag i forbindelse med, eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.)

Forslagsstillere har ingen økonomiske interesser i saken.

Saksnummer: 114-26

Til:	Bestillerforum for nye metoder
Fra:	Sekretariatet for Nye metoder, Direktoratet for medisinske produkter og Sykehusinnkjøp HF
Dato:	14.08.2026

Anmodninger der dokumentasjon ikke er levert av leverandør (ID2022_143, ID2023_057, ID2024_024, ID2025_058, ID2025_063, ID2025_064). Forslag om avbestilling av oppdrag. Notat fra Direktoratet for medisinske produkter, Sykehusinnkjøp HF og sekretariatet for Nye metoder.

Hva saken omhandler

Beslutningsforum besluttet i sak 051-23 at det bør ikke gå mer enn ni måneder fra leverandøren sender anmodning om vurdering til dokumentasjonspakke skal leveres til Direktoratet for medisinske produkter. 12 måneder etter anmodningstidspunktet avbestilles oppdraget dersom det ikke er levert dokumentasjon iht. bestilling, og det må evt. sendes ny anmodning.

Tabellen under viser oppdrag der det har gått over 12 måneder siden anmodning om vurdering ble sendt inn og hvor det ikke er mottatt dokumentasjon fra leverandør:

ID-nr.	Metodenavn	Oppdrag bestilt	Kommentar
ID2022_143	Ravulizumab (Ultomiris) - Behandling av voksne pasienter med neuromyelitis optica spektrumforstyrrelse (NMOSD) som er positive for antistoffer mot akvaporin-4 (AQP4)	Metodevurdering, med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse), basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør, med tilhørende prisnotat.	Leverandør anmodet om vurdering 19.08.2025. Metoden fikk MT 05.05.2023. I anmodning oppga leverandør at forventet innlevering av dokumentasjon ville være november 2025.
ID2023_057	Zilukoplan (Zilbrysq) som tillegg til standardbehandling for behandling av generalisert myasthenia gravis (generalisert MG) hos voksne som er anti-acetylkolinreseptor (AChR)- antistoffpositive.	Metodevurdering, med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse), basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør, med tilhørende prisnotat.	Leverandør anmodet om vurdering 30.06.2025. I anmodning oppga leverandør at forventet innlevering av dokumentasjon ville være oktober 2025.
ID2024_024	Elafibranor (Iqirvo) til behandling av primær biliær kolangitt (PBC), enten i kombinasjon med ursodeoksykolsyre (UDCA) hos voksne med utilstrekkelig respons på	Metodevurdering, med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse), basert på innsendt dokumentasjon fra	Leverandør anmodet 11.07.2025. Følgende sto presisert i beslutningen fra Bestillerforum: <i>Den helseøkonomiske analysen skal ta utgangspunkt i hele den</i>

	UDCA, eller som monoterapi hos pasienter som ikke tolererer UDCA.	leverandør, med tilhørende prisnotat.	<i>godkjente indikasjonen og Bestillerforum ber om at komparator i analysen også inkluderer bezafibrat.</i> <i>Dersom leverandøren ikke leverer dokumentasjon til hele oppdraget, ber Bestillerforum for Nye metoder om at DMP i stedet utarbeider et kort notat.</i> I anmodning oppga leverandør at forventet innlevering av dokumentasjon ville være august 2025.
ID2025_058	Resmetirom (Rezdiffra) i kombinasjon med kosthold og trening for behandling av voksne med ikke-cirrhøtisk metabolsk dysfunksjonsassosiert steatohepatitt (MASH) med moderat til fremskreden leverfibrose (fibroestadium F2 til F3)	Metodevurdering, med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse), basert på innsendt dokumentasjon fra leverandør, med tilhørende prisnotat.	Leverandør anmodet om vurdering 27.06.2025. Legemidlet fikk betinget MT i Europa 18.08.2025. I anmodning oppga leverandør at forventet innlevering av dokumentasjon ville være september – oktober 2025.
ID2025_063	Oktreotid (Oczyesa) - Vedlikeholdsbehandling hos voksne med akromegali som har respondert på og tolerert behandling med somatostatinanaloger. Depotinjeksjon.	Prisnotat.	Leverandør anmodet om vurdering 15.07.2025. Legemidlet fikk betinget MT i Europa 30.06.2025. I anmodning oppga leverandør at forventet innlevering av dokumentasjon ville være september 2025.
ID2025_064	Depemokimab som tilleggsbehandling til intranasale kortikosteroider til behandling av voksne med alvorlig kronisk rhinosinussitt med nesepolypper (CRSwNP) hvor behandling med systemiske kortikosteroider og/eller kirurgi ikke gir	Prisnotat.	Leverandør anmodet om vurdering 04.08.2025. I anmodning oppga leverandør at de forventet å kunne levere pris rundt samme tidspunkt som positiv opinion i CHMP som var forventet november 2025.

	tilstrekkelig sykdomskontroll.		
--	-----------------------------------	--	--

Forslag til beslutning for oppdrag i saken:

Leverandør har ikke levert dokumentasjon innenfor 12 måneder etter anmodningstidspunkt, og oppdraget er derfor avbestilt.

Leverandørene kan sende inn en ny anmodning dersom de ønsker en vurdering i Nye metoder.

Bestillerforum minner om at nye virkestoff, styrker, formuleringer og indikasjonsutvidelser ikke skal forskrives i spesialisthelsetjenesten før det er fattet en nasjonal beslutning om innføring.

Beslutning

Bestillerforum for nye metoder avbestiller oppdraget.

Saksnummer: 115-26

Eventuelt