

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	Audhild Prytz
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Nordlandssykehuset, barneklinnikk
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	audhild.prytz@nordlandssykehuset.no / 91851858
Dato for innsending av forslag	23.09.2025

Opplysninger om metoden som foreslås

1. Forslagstillers tittel på forslaget:*

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

Emcitate /Tiratricol

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Behandling av MCT8-mangel med Emcitate/Tiratricol

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

Eneste tilgjengelige medikament for behandling av MCT8-mangel.

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.*

Det er få pasienter det gjelder. Medikamentet er uforholdsmessig kostbart. Det finnes ingen annen tilgjengelig behandling per nå. Uten behandling vil pasienter med MCT8-mangel være pleietrengende. Med behandling vil hjelpebehovet være mindre og utsikter til selvstendig liv bedre.

*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?)

Det finnes ingen annen tilgjengelig behandling for MCT8-mangel. Dagens behandling består av støttende tiltak med fysioterapi, logoped, ernæringsstøtte med PEG.

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:

Medikamentet er i bruk, men ikke i Norge. Det har vært brukt primært i studier så langt.

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:

Det søkes om godkjenning av medikamentet på H-resept.

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 barnemedisin, nevrologi og endokrinologi. Oppstart behandling vil få konsekvenser for pasienter med MCT8-mangel, pårørende og samfunnet rundt, da pasientene er ressurskrevende.

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

MCT8-mangel er en alvorlig tilstand som gir cerebralhypotyreose og dermed en progressiv hjerneskade som starter allerede i fosterlivet. I tillegg får pasientene alvorlige symptomer fra sin perifere hypertyreose. Pasientene er pleietrengende og kan ikke leve selvstendige liv.

Forventet effekt

Bedring av funksjonsnivå både kognitivt og motorisk, samt minimere symptomer på perifer hypertyreose.

Sikkerhet og bivirkninger

Det er gjort studier som viser at medikamentet er sikkert i bruk og ikke har uakseptable bivirkninger.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

1-3

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Medikamentet er kostbart, men pasienten krever omfattende ressursbruk fra helsetjenesten med sykehusopphold, oppfølging av fysioterapeut, logoped, ernæringsfysiolog, barnelege, nevrolog og endokrinolog, samt hjelpemiddelsentral og behandlingshjelpemidler.

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

<https://www.thelancet.com/journals/landia/article/PIIS2213-8587%2819%2930155-X/fulltext>

<https://academic.oup.com/icem/article/107/3/e1136/6408637>

<https://www.frontiersin.org/journals/pediatrics/articles/10.3389/fped.2024.1444919/full>

<https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC10938514>

<https://etj.bioscientifica.com/view/journals/etj/13/6/ETJ-24-0286.xml>

https://www.egetis.com/mfn_news/european-commission-approves-egetis-emcitate-tiratricol-as-the-first-and-only-treatment-for-patients-with-mct8-deficiency/

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/40549098/>

<https://www.medscape.com/viewarticle/emcitate-recommended-peripheral-thyrotoxicosis-ahds-2024a1000n4u?form=fpf>

<https://www.ema.europa.eu/en/news/first-treatment-peripheral-thyrotoxicosis-patients-allan-herndon-dudley-syndrome>

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

Egetis Therapeutics

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

Markedsføringstillatelse i Norge fra februar 2025

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

Medikamentet er svært kostbart, men vil utgjøre en stor forskjell for pasientene med aktuelle sykdom. Det er i henviste artikler presisert viktigheten av å komme i gang tidlig med behandling.

18. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv forslagsstillers 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 økonomiske interesser. Forslagsstiller er behandler for pasient med sykdommen.