

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: 28.09.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Alexion Europe SAS
1.2 Navn kontaktperson	Maria Andersson
1.3 Stilling kontaktperson	Nordic Director National & Key Account Access
1.4 Telefon	+46 (0) 702496256
1.5 E-post	maria.andersson@alexion.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Alexion Europe SAS
1.7 Telefon og e-post	+46 (0) 702496256 / alexion.nordics@alexion.com

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?	The proposed reimbursement restriction is for severe patients with pediatric onset HPP, with the following suggested specification in Norwegian:

<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>	Langtids enzymerstatningsbehandling hos pasienter i alle aldre med hypofosfatasi med pediatrik symptomdebut for å behandle skjelettmanifestasjoner av sykdommen. Anmodningen gjelder Asfotase alfa som et behandlingsalternativ ved hypofosfatasi med debut i barnealderen dersom personens symptomer startet før eller ved fødselen (perinatal debut), eller mellom 0 og 6 måneders alder (infantil debut). Det anbefales også til personer med symptomdebut mellom 6 måneders og 17 års alder (juvenil debut), men bare dersom: De er 1–4 år og har: • ikke nådd forventede grovmotoriske utviklingsmilepæler for alderen, eller • vedvarende eller tilbakevendende betydelige muskel- og skjelettsmerter som påvirker daglige aktiviteter og livskvalitet, og som ikke har blitt bedre etter behandling med to ulike typer smertestillende legemidler anbefalt av en nasjonal smertespesialist. De er 5–18 år og har: • begrenset mobilitet, vurdert av en spesialist, eller • vedvarende eller tilbakevendende betydelige muskel- og skjelettsmerter som påvirker daglige aktiviteter og livskvalitet, og som ikke har blitt bedre etter behandling med to ulike typer smertestillende legemidler anbefalt av en nasjonal smertespesialist.
2.3 Handelsnavn	Strensiq
2.4 Generisk navn/virkestoff	Asfotase alfa
2.5 ATC-kode	A16AB13
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i> <i>Skriv kort</i>	Solution for subcutaneous injection. Strensiq is available in strengths of 40 mg/mL and 100 mg/mL. The recommended dosage is 2 mg/kg body weight three times per week or 1 mg/kg body weight six times per week. The maximum recommended dose is 6 mg/kg/week. Treatment is intended for long-term use.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Pharmacotherapeutic group: Other alimentary tract and metabolism products, enzymes. Mechanism of action: Asfotase alfa is a recombinant human tissue-nonspecific alkaline phosphatase fusion protein. By replacing deficient tissue-nonspecific alkaline phosphatase activity, asfotase alfa promotes skeletal mineralisation in patients with hypophosphatasia.

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_108 Nominated but never assessed.
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: Sweden: TLV decision, case no. 3929/2024, <i>Strensiq (asfotase alfa)</i> England: NICE Highly Specialised Technologies Guidance HST23, <i>Asfotase alfa for treating paediatric-onset hypophosphatasia</i> , 2023. Finland: Finnish Social Insurance Institution (Kela/FPA), reimbursement entitlement No. 387

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: 28.08.2015
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: EMEA/H/C/003794 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: 28.08.2015
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»: 03.12.2008

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: Asfotase alfa is the only approved enzyme replacement therapy that addresses the underlying enzyme deficiency in patients with hypophosphatasia. Current management without asfotase alfa consists of supportive and symptomatic care.
6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye	Ja ☐ Nei ☒ Legemiddel og ID-nummer:

metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen? <i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja ☐ Nei ☒ Kommentar: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)

7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB? <i>Hvis nei, begrunn kort</i>	Ja ☐ Nei ☒ Begrunnelse: Strensiq has already undergone national reimbursement processes in Sweden and Finland.
--	--

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>	The clinical evidence of Strensiq was evaluated in a single arm trial. HPP is a very rare and severe disease with a very small expected eligible population in Norway, making a conventional health-economic analysis subject to substantial uncertainty. Asfotase alfa is the only available treatment and addresses a significant unmet need; relevant clinical evidence, treatment costs and expected budget impact will be provided. We therefore proposes a simplified assessment that describes the clinical efficacy, safety and costs.
---	---

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.	A budget calculation will be provided in the application.
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>	Approximately in November 2026

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>	Hypophosphatasia (HPP) is a rare, inherited, systemic metabolic disorder caused by pathogenic variants in the <i>ALPL</i> gene, resulting in deficient activity of tissue-nonspecific alkaline phosphatase (TNSALP) [1,2]. Deficient TNSALP activity leads to the accumulation of its substrates, which impairs the mineralisation of bones and teeth [1,2]. The clinical presentation of HPP may include rickets or osteomalacia, impaired growth, skeletal deformities, fractures and pseudofractures, premature loss of teeth, pain, muscle weakness, impaired mobility and reduced quality of life [1,2]. The disease may also involve non-skeletal complications, including respiratory insufficiency and seizures [1,2]. Perinatal HPP is the most severe form of the disease, with symptoms appearing shortly before or after birth.

	This form carries a high risk of fetal or neonatal death [1]. Affected infants are born with an incompletely developed, poorly mineralized rib cage [3], leading to underdeveloped lungs and respiratory difficulty. Severe skeletal disruption also results in spur-like cartilage growths and shortened limbs [1]. The most severe manifestations of HPP in early life are associated with substantial morbidity and premature death. In particular, infantile HPP is characterized by profound chest deformities and respiratory complications, which historically led to mortality in approximately half of affected infants within the first year of life [1]. Manifestations beginning during childhood may persist or progress into adulthood; therefore, paediatric-onset HPP includes both children and adults whose first signs or symptoms occurred before 18 years of age [1,2]. References: 1. Dahir KM, Nunes ME. Hypophosphatasia. 2007 Nov 20 [updated 2025 Mar 27]. In: Adam MP, Feldman J, Mirzaa GM, et al., editors. <i>GeneReviews</i>®. Seattle (WA): University of Washington, Seattle; 1993–2025. 2. Högl W, Langman C, Gomes da Silva H, et al. Diagnostic delay is common among patients with hypophosphatasia: initial findings from a longitudinal, prospective, global registry. <i>BMC Musculoskeletal Disorders</i>. 2019;20:80. doi:10.1186/s12891-019-2420-8. 3. M. P. Whyte, D. Wenkert, and F. Zhang, "Hypophosphatasia: Natural history study of 101 affected children investigated at one research center," <i>Bone</i>, vol. 93, pp. 125-138, Dec 2016.
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Endokrine sykdommer
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>	Norway has no national guidelines for treatment of HPP; however, Sunnaas sykehus, a specialised rehabilitation hospital, offers a presentation from 2020 for physicians regarding diagnosis and treatment of HPP (1). Furthermore, Norway's learning portal for rare diseases, "Sjeldne diagnoser" (2) , refers clinicians to Sunnaas sykehus for HPP. It states that treatment is multidisciplinary and varies depending on the individual patient. Patients should receive treatment according to symptoms, which include fractures, pain, dental issues, respiratory failure and/or vitamin B6-dependent seizures. It also mentions the enzyme replacement, asfotase alfa, as a treatment References: 1. Wekre, L.L., <i>Tidlig diagnostikk ved Hypofosfatasi (HPP)</i>. 2020, SUNNAAS SYKEHUS 2. HELSEenorgE. <i>Sjeldne diagnoser</i>. 2025; Available from: https://www.helsenorge.no/sjeldne-diagnoser/.
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	The prognosis of HPP varies considerably according to age at onset and disease severity. With supportive and symptomatic care alone, severe perinatal and infantile HPP is associated with high mortality, primarily due to respiratory failure and neurological complications [1,2]. Juvenile-onset HPP is highly diverse and encompasses mild and severe forms [3]. Juvenile-onset HPP presents with rickets, and premature loss of one or more primary teeth before 5 years old. Increased intracranial pressure can also appear in this patient population due to deformation of the skull by craniosynostosis. In patients with juvenile HPP, there is occasional loss of all primary teeth, rachitic deformities may involve a misshapen skull, beading of costochondral junctions, bowing of the legs or knock-knees and enlarged joints. These patients can have significant skeletal pain. Additionally, muscle weakness can result in delays in walking and other gross motor development, with a characteristic waddling gait [4, 5]. Disease manifestations that begin during childhood may continue into adulthood and result in long-term functional limitations [1]. References:

	1. Dahir KM, Nunes ME. Hypophosphatasia. 2007 Nov 20 [updated 2025 Mar 27]. In: Adam MP, Feldman J, Mirzaa GM, et al., editors. <i>GeneReviews</i>®. Seattle (WA): University of Washington, Seattle; 1993–2025. 2. Vogt M, Fischer-Zirnsak B, Peters V, et al. Hypophosphatasia: clinical manifestation and burden of disease in a large national cohort. <i>Orphanet Journal of Rare Diseases</i>. 2020;15:212. doi:10.1186/s13023-020-01472-8. 3. Millán, J.L. and M.P. Whyte, <i>Alkaline phosphatase and hypophosphatasia</i>. Calcified tissue international, 2016. 98(4): p. 398–416. 4. Whyte, M.P., et al., <i>Hypophosphatasia: validation and expansion of the clinical nosology for children from 25 years experience with 173 pediatric patients</i>. Bone, 2015. 75: p. 229–39. 5. Whyte, M.P., <i>Hypophosphatasia - aetiology, nosology, pathogenesis, diagnosis and treatment</i>. Nat Rev Endocrinol, 2016. 12(4): p. 233–46.
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Asfotase alfa is expected to be used as the only enzyme replacement therapy for eligible patients with paediatric-onset HPP. It would be added to the current multidisciplinary supportive care.
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>	Due to the rarity of the disease, there are no specific estimates on prevalence, incidence or other patient characteristics in a Norwegian setting. No studies have reported Norwegian prevalence estimates for HPP. However, a previous study assessed the prevalence of perinatal/infantile HPP in Northern Europe covering the years 2000–2009 and reported a prevalence of perinatal/infantile HPP of 0.30 per 100,000 live births (1). Based on the Northern European estimate, and considering approximately 51,000-54,000 live births annually in Norway (2), this

* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives	corresponds to an estimated 0.15-0.16 cases per year, or roughly one new case of perinatal/infantile HPP every six to seven years in Norway References: 1. Mornet E, Yvard A, Taillandier A, Fauvert D, Simon-Bouy B. A molecular-based estimation of the prevalence of hypophosphatasia in the European population. <i>Annals of Human Genetics</i>. 2011;75(3):439–445. doi:10.1111/j.1469-1809.2011.00642.x. 2. Statistics Norway, <i>Births - Live Births</i>. 2025
--	--

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke	ENB-002-08, NCT00744042 (Study Details NCT00744042 Safety and Efficacy Study of Asfotase Alfa in Severely Affected Infants With Hypophosphatasia (HPP) ClinicalTrials.gov)	ENB-003-08, NCT01205152 (Study Details NCT01205152 Extension Study of Protocol ENB-002-08 - Study of Asfotase Alfa in Infants and Young Children With Hypophosphatasia (HPP) ClinicalTrials.gov)	ENB-010-10, NCT01176266 (Study Details NCT01176266 Open-Label Study of Asfotase Alfa in Infants and Children ≤ 5 Years of Age With Hypophosphatasia (HPP) ClinicalTrials.gov)
11.2 Studietype og -design	Phase 2, multicentre, multinational, open-label, single-arm study, non-randomised study.	An open-label, single-arm extension of ENB-002-08.	Phase 2, multicentre, multinational, open-label, non-randomised, dose-comparison study.
11.3 Formål	To evaluate the efficacy, safety and tolerability of asfotase alfa in infants and young children with severe HPP.	The extension study evaluated the long-term efficacy and safety of continued treatment.	To evaluate the efficacy, safety and tolerability of two asfotase alfa dosing regimens in infants and young children with perinatal- or infantile-onset HPP

11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	Key Inclusion Criteria: • Legal guardian(s) must provide informed consent prior to any study procedures. • Documented diagnosis of severe HPP as indicated by: ○ Total serum alkaline phosphatase at least 3 standard deviations (SD) below the mean for age. ○ Plasma pyridoxal 5'-phosphate (PLP) at least 4 times the upper limit of normal. ○ Radiographic evidence of HPP (hypophosphata sia), characterized by: • Flared and frayed metaphyses. • Severe, generalized osteopenia. • Widened growth plates. ○ One or more HPP-related findings: • History or presence of: • Non-traumatic post-	Key Inclusion Criteria: • Patient completed participation in ENB-002-08 (NCT00744042). • Written informed consent by parent or other legal guardian prior to any study procedures being performed. • Parent or other legal guardian willing to comply with study requirements	Key inclusion criteria: • Parent/legal guardian written informed consent; patient assent where appropriate. • Documented diagnosis of HPP with: ○ Total serum ALP below LLN for age (historical values allowed). ○ Plasma PLP above ULN (historical values allowed; exception if pyridoxine for seizures). ○ Radiographic evidence at screening (flared/frayed metaphyses; severe osteopenia; widened growth plates; areas of radiolucency or sclerosis). ○ ≥2 HPP-related findings (e.g., fractures/delayed healing; nephrocalcinosis/elevated calcium; craniosynostosis; respiratory compromise/rachitic chest; B6-responsive seizures; failure to thrive). • Symptom onset prior to 6 months of age. • Chronological/adjusted age
--	---	--	--

	natal fracture. • Delayed fracture healing. • History of elevated serum calcium. • Functional craniosynostosis with decreased head circumference growth. • Nephrocalcinosis. • Respiratory compromise. ○ Rachitic chest deformity and/or vitamin B6 dependent seizures. ○ Failure to thrive. • Onset of symptoms prior to 6 months of age. • Age $\leq$ 36 months. • Otherwise medically stable (patient may be on ventilatory support).		(premature infants) $\leq$ 5 years • Otherwise medically stable (investigator/sponsor opinion).
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	A single intravenous dose of asfotase alfa 2 mg/kg, followed by subcutaneous asfotase alfa 1 mg/kg three times weekly for 24 weeks.	Subcutaneous asfotase alfa 3 times weekly, initially at the final dose received in ENB-002-08.	Asfotase alfa administered subcutaneously as either 2 mg/kg three times weekly or 1 mg/kg six times weekly

11.6 Komparator (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	No comparator	No comparator	No comparator
11.7 Endepunkter <i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Primary endpoint in the study: Radiographic Global Impression of Change (RGI-C) score at 24 weeks Secondary endpoints: Maximum serum concentration (Cmax), Time at maximum serum concentration (Tmax), Area under the serum concentration-time curve to last measurable concentration (AUCt).	Primary endpoint in the study: Extension of study ENB-002-08. Secondary endpoints: Change from baseline in plasma inorganic pyrophosphate (PPi). Change from baseline in pyridoxal-5-phosphate (PLP). Change from baseline in height/length Z-scores. Change from baseline in weight Z-scores. Respiratory support: shift in the proportion of patients requiring respiratory support (last assessment vs baseline)	Primary endpoint in the study: RGI-C score at 24 weeks. Secondary endpoints: Safety & tolerability (patients with ≥ 1 treatment-emergent adverse event). Skeletal manifestations assessed by RGI-C (baseline to last assessment). Ventilator-free survival (reported as Week 288 in the endpoint title). Respiratory function (shift in proportion requiring respiratory support vs baseline). Growth: length/height Z-score change; weight Z-score change. Biomarkers: PPi change; PLP change; PTH change. Dental: "tooth loss" endpoint is also listed as secondary
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	No formal subgroup analyses	No formal subgroup analyses	No formal subgroup analyses

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>	From baseline to Week 24	Long-term extension with follow-up for up to 7 years	Up to 6 years
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Study completion 2010-05-01	Study completion 2016-08-01	Study completion 2016-09-01
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Whyte MP, Greenberg CR, Salman NJ, Bober MB, McAlister WH, Wenkert D, Van Sickle BJ, Simmons JH, Edgar TS, Bauer ML, Hamdan MA, Bishop N, Lutz RE, McGinn M, Craig S, Moore JN, Taylor JW, Cleveland RH, Cranley WR, Lim R, Thacher TD, Mayhew JE, Downs M, Millán JL, Skrinar AM, Crine P, Landy H. Enzyme-replacement therapy in life-threatening hypophosphatasia. <i>N Engl J Med.</i> 2012 Mar 8;366(10):904-13. doi: 10.1056/NEJMoa1106173.	Whyte MP, Simmons JH, Moseley S, Fujita KP, Bishop N, Salman NJ, Taylor J, Phillips D, McGinn M, McAlister WH. Asfotase alfa for infants and young children with hypophosphatasia: 7 year outcomes of a single-arm, open-label, phase 2 extension trial. <i>Lancet Diabetes Endocrinol.</i> 2019 Feb;7(2):93-105. doi: 10.1016/S2213-8587(18)30307-3.	Michael P. Whyte, Cheryl Rockman-Greenberg, Keiichi Ozono, Richard Riese, Scott Moseley, Agustin Melian, David D. Thompson, Nicholas Bishop, Christine Hofmann. Asfotase Alfa Treatment Improves Survival for Perinatal and Infantile Hypophosphatasia, <i>The Journal of Clinical Endocrinology & Metabolism</i>, Volume 101, Issue 1, 1 January 2016, Pages 334–342, https://doi.org/10.1210/jc.2015-3462 Christine E Hofmann, Paul Harmatz, Jerry Vockley, Wolfgang Högl, Hideki Nakayama, Nick Bishop, Gabriel Á Martos-

			Moreno, Scott Moseley, Kenji P Fujita, Johannes Liese, Cheryl Rockman-Greenberg, ENB-010-10 Study Group. Efficacy and Safety of Asfotase Alfa in Infants and Young Children With Hypophosphatasia: A Phase 2 Open-Label Study, <i>The Journal of Clinical Endocrinology & Metabolism</i>, Volume 104, Issue 7, July 2019, Pages 2735–2747, https://doi.org/10.1210/jc.2018-02335
--	--	--	--

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 ☐ We have been in contact with clinicians but not specifically related to the reimbursement submission. KOL have been engaged in advisory board.
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 ☐ Rebate agreement is needed in order to balance the cost implications of weight-based dosing
14.3 Andre relevante opplysninger?	Positive reimbursement decisions have also been made in Sweden, Finland and England, supporting the clinical relevance of asfotase alfa for selected patients with paediatric-onset HPP. We have recently been informed that a patient in Norway is diagnosed with HPP and may qualify for treatment with Strensiq. The patient numbers for the most severe forms of HPP are extremely low.

--	--

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no