

Saksnummer: (fylles ut av sekretariat for Nye metoder)

Notat til Bestillerforum

Til:	Bestillerforum
Fra:	Statens legemiddelverk
Dato:	20.09.2023

Hva saken omhandler i korte trekk

ID2022_028 Asciminib (Scemblix) til behandling av Philadelphia kromosom-positiv (Ph+) kronisk myeloid leukemi (KML) i kronisk fase (KF) som tidligere er behandlet med 2 eller flere tyrosinkinasehemmere (TKler). Det er bestilt (14.02.2022) en hurtig metodevurdering med en kostnad-per-QALY vurdering (C-løp).

Bakgrunn for saken

Novartis har 02.09.2022 levert inn dokumentasjon til en hurtig metodevurdering (løp C) for ID2022_028. Legemiddelverket vurderer at datagrunnlaget som informerer den helseøkonomiske analysen er uegnet til å belyse relativ effekt og nytte for norske pasienter over tid. Det er forventet patentutløp innenfor de nærmeste årene for flere av de etablerte legemidlene i denne gruppen. Legemiddelverket har derfor ikke belyst kostnadseffektiviteten til asciminib, men oppsummert offentlig tilgjengelig dokumentasjon om asciminib til behandling av voksne pasienter med Ph+ KML-KF som tidligere er behandlet med to eller flere TKler.

Årlige legemiddelkostnader (maksimal AUP) for asciminib ligger i dag i samme område som andre relevante behandlingsalternativer som bosutinib og ponatinib og Legemiddelverket vurderer at en eventuell innføring vil ha små budsjettkonsekvenser gitt den begrensede pasientpopulasjonen.

Philadelphia kromosom-positiv kronisk myeloid leukemi i kronisk fase (Ph+ KML-KF)

Kronisk myelogen leukemi (KML) er en type blodkreft karakterisert ved ukontrollert vekst av myeloide celler i beinmargen og opphopning av disse cellene i blodet. KML er en sjelden sykdom som rammer om lag 50 nye pasienter hvert år i Norge. Over 90 % av pasientene har det såkalte Philadelphia-kromosomet (Ph), som oppstår ved en translokasjon. Dette fører til dannelsen av et onkogen, BCR-ABL som koder for proteinet bcr-abl som har høy tyrosinkinase-aktivitet. Dannelsen av onkogenet BCR-ABL er nødvendig og tilstrekkelig for å utvikle KML. Behandling av KML går ut på å hemme tyrosinkinase-aktiviteten til bcr-abl-proteinet med såkalt tyrosinkinase-hemmere (TKI).

Behandling av KML i norsk klinisk praksis

Det foreligger nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for behandling av pasienter med maligne blodsykdommer, samt oppdaterte retningslinjer for pasienter med KML fra januar 2023 (3).

Tradisjonelt ble KML inndelt i tre faser, men sykdommen deles nå kun inn i kronisk fase og blastfase. Med TKI-behandling kan sykdommen i svært mange tilfeller stabiliseres i kronisk fase med lite symptomer og god livskvalitet. Noen pasienter får bivirkninger eller mister responsen på medisinen, noe som gjør at de må bytte til en annen tyrosinkinase-hemmer. Pasienter med dårlig respons på TKI har dårlig prognose. For disse er allogen stamcelletransplantasjon (allo-SCT) en mulighet som kan kurere sykdommen, men dette er en behandling som kan ha svært alvorlige bivirkninger og den benyttes derfor generelt kun i tilfeller der den medikamentelle behandlingen svikter.

Førstelinjebehandling er imatinib (førstegenerasjons TKI) eller i noen tilfeller dasatinib, en annengenerasjons TKI (2TKI). Nilotinib eller bosutinib (også 2TKI) reserveres til 2. linje grunnet kostnad. 2TKIer gir raskere og dypere responser enn imatinib, og øker andelen pasienter med udetekterbar sykdom. Det er imidlertid ikke vist en sikker overlevelsesforskjell sammenlignet med imatinib.

Ved behandlingssvikt skiftes behandling til en annen TKI, bivirkningsprofil og komorbiditet må veies inn og er viktig for valg av strategi for videre behandling. Når man har prøvd to 2TKIer er sjansene for en god respons relativt små på den tredje. Tap av respons kan skyldes punktmutasjoner i BCR-ABL-genet som fører til TKI-resistens. Ved resistens er det relativt liten sjanse for god respons ved å bytte til en annen 2TKI, mens ved intoleranse er sjansen for respons ved å bytte TKI mye bedre.

Ponatinib er en TKI som er utviklet for å fungere på mutasjoner som de andre TKIene ikke er effektive mot. Ponatinib er ifølge handlingsprogrammet det mest potente KML-medikamentet, men fordelene ved ponatinib-behandling må veies mot risiko for aterosklerose-assosierte hendelser som potensielt kan gi permanent organskade.

Klinisk effekt

Det europeiske legemiddelverket (EMA) har gjennom prosedyren for markedsføringstillatelsen (MT) vurdert at asciminib har en nytte som overstiger risikoen ved behandling av voksne med Ph+ KML-KF som tidligere er behandlet med 2 eller flere TKIer (1).

Asciminib fikk MT i EU 25.08.2022, basert på ASCEMBL, en pågående fase III-studie (estimert ferdigstilt i 2024) som sammenligner asciminib med bosutinib til behandling av pasienter med Ph+ KML-KF som tidligere var behandlet med 2 eller flere TKIer. Det primære utfallsmålet i ASCEMBL er det KML-spesifikke responsmålet «major molekulær respons» (MMR)-rate og viktige sekundære endepunkter inkluderer «komplett cytogenetisk respons» (CCyR)-rater samt progresjonsfri overlevelse (PFS) og totaloverlevelse (OS). Ved siste datakutt er data på PFS og OS svært umodne, og de effektdataene som underbygger MT er responsrater (MMR og CCyR) (1,2).

ASCSEMBL-studien viser imidlertid at asciminib gir en signifikant bedre respons (MMR og CCyR) enn bosutinib (1,2). Det norske handlingsprogrammet definerer CCyR (MR2) som målet for TKI-behandling i 3. linje eller senere og MMR (MR3) omtales som en «trygg havn» med leveutsikter som gjennomsnittsbefolkningen (3). Ved 96 uker var MMR- og CCyR-raten rundt 40 %, til sammenligning ga behandling med bosutinib responsrater rundt 16 % (1,2).

Forventet plassering av asciminib i behandlingsalgoritmen

Asciminib blokkerer tyrosinkinaser ved å binde et annet sted enn andre TKIer og virker ved de fleste kjente TKI-resistensmutasjonene. Handlingsprogrammet beskriver at asciminib vil bli brukt på lignende måte som ponatinib brukes i dag. Flere medisinske fageksperter har spilt inn at asciminib vil foretrekkes fremfor ponatinib i de fleste tilfeller grunnet en mer gunstig sikkerhetsprofil.

En medisinsk fagekspert som har kontaktet Legemiddelverket vurderer ut ifra egen erfaring med KML-pasienter at det grunnet intoleranse er behov for å skifte preparat hos ca. 40 % av pasientene. I neste behandlingslinje vurderer han at intoleranse igjen vil skje hos ca. 40 % av pasientene. For disse pasientene vurderer den medisinske fageksperten at det er et udekket behov og at asciminib vil være et godt valg for disse pasientene. En annen medisinsk fagekspert Legemiddelverket har kontaktet trekker også spesielt frem pasienter med signifikante intoleranser etter annen TKI behandling som aktuelle for behandling med asciminib. I tillegg trekker den medisinske fageksperten fram at asciminib foretrekkes grunnet en gunstigere sikkerhetsprofil hos pasienter med hjerte-, kar- og koronarsykdom.

Det nasjonale handlingsprogrammet for behandling av maligne blodsykdommer beskriver at når man har prøvd to 2TKler er sjansene for meningsfull respons relativt små på den tredje, kanskje 15-20 % (3). Medisinske fageksperter Legemiddelverket har forhørt seg med har bekreftet at det er et udekket medisinsk behov for KML-pasienter med behandlingssvikt etter behandling med to eller flere TKler.

Legemiddelverkets vurdering av innsendt dokumentasjon

Det finnes data som viser korrelasjon mellom respons (som MMR og CCyR) og overlevelse ved behandling i første linje, men det mangler robuste data som bekrefter korrelasjon mellom respons og overlevelse i 3L, og det kreves flere studier for å kunne fastslå dette. I den innsendte helseøkonomiske analysen inngår ikke responsdata, men kun Kaplan-Meier-data på tid til behandlingsslutt (TTD). Disse er ekstrapolert og supplert med data fra litteraturen på tid fra behandlingsslutt til progresjon og død. TTD er et endepunkt som er utsatt for bias da andre hensyn enn effekten av behandlingen kan påvirke avgjørelsen om å avslutte behandling. ASCSEMBL er en åpen studie, der pasienter og behandlende lege vet hvilken behandling pasientene mottar og studien tillater også behandlingsbytte.

I den innleverte helseøkonomiske analysen er komparator bosutinib. Bosutinib ble plassert under H-reseptordningen fra mai 2017 og metodevurdering ble bestilt samme år. Dokumentasjon til metodevurdering er ikke mottatt. En analyse mot bosutinib vil ikke belyse kostnadseffektiviteten for norske forhold i tilstrekkelig grad, da det ikke er avklart om bosutinib er en kostnadseffektiv behandling. I tillegg er bosutinib kun ett av flere legemidler som er aktuelle å benytte i tredjelinjebehandling av KML. LIS Onkologi spesialistgruppe har ifm. gjeldende anbud vurdert dasatinib, nilotinib og bosutinib som sammenlignbare for behandling av KML. En publisert uankret indirekte sammenligning antydte lik eller bedre respons (MMR og CCyR) ved behandling med asciminib sammenlignet med ponatinib, men antydte samtidig at pasientene sto lenger på behandling med ponatinib enn på asciminib (5).

Samlet sett vurderer Legemiddelverket at datagrunnlaget som informerer den helseøkonomiske analysen er uegnet til å belyse relativ effekt og nytte for norske pasienter over tid. Det er forventet patentutløp innenfor de nærmeste årene for flere av de etablerte legemidlene i denne gruppen. Legemiddelverket har derfor ikke belyst kostnadseffektiviteten til asciminib, men oppsummert offentlig tilgjengelig dokumentasjon om asciminib til behandling av voksne pasienter med Ph+ KML-KF som tidligere er behandlet med to eller flere TKler.

I innsendt dokumentasjon har Novartis anslått at behandling med asciminib er aktuelt for om lag 6 pasienter i året. Legemiddelverket har fått innspill fra en medisinsk fagekspert som anslår 3-4 pasienter årlig. Årlige legemiddelkostnader (maksimal AUP) for asciminib ligger i dag i samme område som andre relevante behandlingsalternativer som bosutinib og ponatinib og Legemiddelverket vurderer at en eventuell innføring vil ha små budsjettkonsekvenser gitt den begrensede pasientpopulasjonen.

Handelsnavn	Scemblix																									
Virkestoff	Asciminib																									
ATC-nr.	L01EA06																									
Legemiddelfirma	Novartis Norge AS																									
Aktuell indikasjon	Asciminib (Scemblix) er indisert til behandling av Ph+ KML i kronisk fase som tidligere er behandlet med 2 eller flere tyrosinkinase-hemmere																									
Øvrige indikasjoner	Ingen øvrige indikasjoner, asciminib er et nytt virkestoff.																									
MT legemiddel	25.08.2022																									
Virkningsmekanisme	Hemmer av fusjonsproteinet BCR:ABL (tyrosinkinase-hemmer, TKI)																									
Dosering og administrasjonsmåte	Anbefalt dose er 40 mg 2 ganger daglig oralt med ca. 12 timers intervall. Behandlingen bør fortsette så lenge klinisk nytte sees eller inntil uakseptabel toksisitet.																									
Klinisk effekt	Klinisk effekt og sikkerhet av asciminib ble evaluert i den åpne, randomiserte og kontrollerte fase III-studien ASCEMBL, i pasienter med Ph+ KML-KF som tidligere var behandlet med 2 eller flere TKI-er (1,2). Totalt 233 pasienter ble randomisert 2:1 til enten asciminib (N = 157) eller bosutinib (N = 76). Behandling gis inntil uakseptabel toksisitet eller behandlingssvikt, studien er pågående og ved siste datakutt (06.10.2021) sto fortsatt 54 % og 20 % av pasientene på behandling i hhv. asciminib- og bosutinib-armen. Median alder i studien var 52 år, 51,5 % var kvinner og 48,5 % var menn. Andel pasienter med en eller flere mutasjoner i BCR-ABL-proteinet var 12,7 % for asciminib-armen og 13,2 % i bosutinib-armen. Andelen pasienter som tidligere var behandlet med 2/3/4 og ≥5 tidligere TKI-linjer var hhv. 52 %/28 %/15 % og 4,5 % i asciminib-armen og 40 %/38 %/13 % og 9 % i bosutinib-armen. Av de 233 pasientene hadde 80,7 % og 18 % en ECOG funksjonsstatus på henholdsvis 0 og 1. Det primære endepunktet i studien var MMR-rate ved 24 uker og det viktigste sekundære endepunktet var MMR-rate ved 96 uker. Molekylær respons (MR) måles ved kvantifisering av transkripter av BCR-ABL genet hos pasienten og MMR (også betegnet MR3) defineres som ≤ 0,1 % BCR-ABL transkripter relativ til en internasjonal skala (BCR-ABL^{IS}). Andre viktige sekundære endepunkter i ASCEMBL-studien er CCyR-rate ved de ulike tidspunktene, PFS og OS. CCyR (MR2) defineres som ≤ 1 % BCR-ABL^{IS}. De viktigste effektutfallene fra ASCEMBL-studien er oppsummert i tabellen under (4): <table><tr><th></th><th>Askiminib 40 mg to ganger daglig N = 157</th><th>Bosutinib 500 mg én gang daglig N = 76</th><th>Forskjell (95 % KI)¹</th><th>p-verdi</th></tr><tr><td>MMR-rate, % (95 % KI) ved 24 uker</td><td>25,48 (18,87; 33,04)</td><td>13,16 (6,49; 22,87)</td><td>12,24 (2,19; 22,30)</td><td>0,029²</td></tr><tr><td>MMR rate, % (95 % KI) ved 96 uker</td><td>37,58 (29,99; 45,65)</td><td>15,79 (8,43; 25,96)</td><td>21,74 (10,53; 32,95)</td><td>0,001²</td></tr><tr><td>CCyR-rate, % (95 % KI) ved 24 uker</td><td>40,78 (31,20; 50,90)</td><td>24,19 (14,22; 36,74)</td><td>17,30 (3,62; 30,99)</td><td>Ikke formelt testet</td></tr><tr><td>CCyR-rate, % (95 % KI) ved 96 uker</td><td>39,81 (30,29; 49,92)</td><td>16,13 (8,02; 27,67)</td><td>23,87 (10,3; 37,43)</td><td>Ikke formelt testet</td></tr></table> ¹ Ved justering for status for major cytogenetisk respons ved baseline ² Cochran-Mantel-Haenszel to-sidet test stratifisert ved status for major cytogenetisk respons ved baseline ³ CCyR-analyse basert på pasienter som ikke hadde CCyR ved baseline		Askiminib 40 mg to ganger daglig N = 157	Bosutinib 500 mg én gang daglig N = 76	Forskjell (95 % KI) ¹	p-verdi	MMR-rate, % (95 % KI) ved 24 uker	25,48 (18,87; 33,04)	13,16 (6,49; 22,87)	12,24 (2,19; 22,30)	0,029 ²	MMR rate, % (95 % KI) ved 96 uker	37,58 (29,99; 45,65)	15,79 (8,43; 25,96)	21,74 (10,53; 32,95)	0,001 ²	CCyR-rate, % (95 % KI) ved 24 uker	40,78 (31,20; 50,90)	24,19 (14,22; 36,74)	17,30 (3,62; 30,99)	Ikke formelt testet	CCyR-rate, % (95 % KI) ved 96 uker	39,81 (30,29; 49,92)	16,13 (8,02; 27,67)	23,87 (10,3; 37,43)	Ikke formelt testet
	Askiminib 40 mg to ganger daglig N = 157	Bosutinib 500 mg én gang daglig N = 76	Forskjell (95 % KI) ¹	p-verdi																						
MMR-rate, % (95 % KI) ved 24 uker	25,48 (18,87; 33,04)	13,16 (6,49; 22,87)	12,24 (2,19; 22,30)	0,029 ²																						
MMR rate, % (95 % KI) ved 96 uker	37,58 (29,99; 45,65)	15,79 (8,43; 25,96)	21,74 (10,53; 32,95)	0,001 ²																						
CCyR-rate, % (95 % KI) ved 24 uker	40,78 (31,20; 50,90)	24,19 (14,22; 36,74)	17,30 (3,62; 30,99)	Ikke formelt testet																						
CCyR-rate, % (95 % KI) ved 96 uker	39,81 (30,29; 49,92)	16,13 (8,02; 27,67)	23,87 (10,3; 37,43)	Ikke formelt testet																						

	Data for PFS og OS er svært umodne. Estimert 2 års PFS rate var 94,4 % (95 % KI, 88,6–97,3) for asciminib og 91,1 % (95 % KI, 79,5–96,3) for bosutinib, for totaloverlevelse var estimert 2 års rate 97,3 % (95 % KI, 92,9–99,0) for asciminib og 98,6 % (95 % KI, 90,2–99,8) for bosutinib.
Bivirkninger	De vanligste bivirkningene (insidens ≥ 20 %) hos pasienter som fikk asciminib var muskel-skjelettsmerter (37,1 %), infeksjoner i øvre luftveier (28,1 %), trombocytopeni (27,5 %), fatigue (27,2 %), hodepine (24,2 %), artralgi (21,6 %), forhøyede pankreasenzymer (21,3 %), abdominalsmerter (21,3 %), diaré (20,5 %) og kvalme (20,2 %). Alvorlige bivirkninger forekom hos 12,4 % av pasientene som fikk asciminib. De vanligste alvorlige bivirkningene (insidens ≥ 1 %) var pleuraeffusjon (2,5 %), infeksjoner i nedre luftveier (2,2 %), trombocytopeni (1,7 %), pyreksi (1,4 %), pankreatitt (1,1 %), ikke-kardial brystsmerte (1,1 %) og oppkast (1,1 %) (4).
Dagens behandling	Følgende TKler er aktuelle for behandling av Ph+ KML i kronisk fase i tredje behandlingslinje: – Dasatinib – Nilotinib – Bosutinib – Ponatinib Sykehusinnkjøp HF har avtaler på tyrosinkinasehemmere som gjelder til 30.09.2024, der dasatinib, nilotinib og bosutinib inngår i legemiddelanbudet «anbefalinger for onkologiske og kolonistimulerende legemidler».
Kostnader	Legemiddelkostnaden for en måneds/års behandling med asciminib er hhv. 55 000/655 000 kr ved 100 % doseintensitet, og basert på maksimal AUP inkludert mva. Til sammenligning er kostnadene for bosutinib og ponatinib hhv. 45 000/545 000 og 72 000/860 00 NOK per mnd./år (maksimal AUP inkludert mva). Det foreligger imidlertid konfidensielle priser på bosutinib (samt dasatinib og nilotinib), dasatinib har generisk konkurranse og det er forventet patentutløp innenfor de nærmeste årene for flere av legemidlene i denne gruppen. En oppsummering av behandlingskostnader ved bruk av asciminib til behandling av aktuell pasientpopulasjon vil fremkomme i et separat notat fra Sykehusinnkjøp HF, LIS.
Merknader	Det norske handlingsprogrammet med retningslinjer for behandling av KML anbefaler behandling med asciminib for pasienter med punktmutasjoner i BCR-ABL som gir TKI-resistens. Spesielt for pasienter med høy kardiovaskulær risiko anbefales asciminib fremfor ponatinib (3). En uankret indirekte sammenlikning (MAIC) av asciminib med annen behandling for pasienter med Ph+ KML-KF etter behandling med ≥ 2 TKler ble publisert i “Journal of Cancer Research and Clinical Oncology” i januar 2023 (5). Den indirekte sammenligningen antydte bedre respons på asciminib sammenlignet med andre TKler, og forlenget TTD sammenlignet med nilotinib og dasatinib, men ikke sammenlignet med ponatinib.

Metodevurderinger fra andre land

Under følger en oppsummering av vurderinger som er gjort i andre land som kan være relevant å sammenligne med. Legemiddelverket tar ikke stilling til utfall i disse metodevurderingen, men etterstreber en nøytral oppsummering for å belyse saken.

Legemiddelverket tar forbehold om at utredninger og beslutninger i andre land kan være ulike med andre føringer og forutsetninger og ikke nødvendigvis overførbare til norske forhold.

Sverige (Tandvårds- och Läkemedelsförmånsverket, TLV)

TLV anbefaler å innføre asciminib til en begrenset pasientpopulasjon, pasienter med Ph+ KML-KF, uten kjent BCR-ABL1 T315I-mutasjon, som tidligere er behandlet med to eller flere TKI og hvor behandling med nilotinib eller bosutinib ikke er egnet.

TLV vurderer at relevante sammenligningsalternativer er bosutinib, nilotinib og ponatinib. I sin metodevurdering har TLV beregnet en IKER sammenlignet med bosutinib og nilotinib, mens for ponatinib gjør de en kostnadssammenligning basert på sammenlignbar effekt av asciminib og ponatinib. TLV vurderer beregnet IKER til å være svært usikker da den relative effekten i modellen ikke er basert på PFS- eller OS-data fra studien. TLV konkluderer med at IKER er høy sammenlignet med bosutinib og nilotinib (6).

Danmark (Medicinerådet)

Medicinerådet anbefaler innføring av asciminib til aktuell indikasjon. Medicinerådet vurderer at det er svakheter ved ASCEMBL-studien som medfører at det ikke er mulig å vurdere hvorvidt det er en effektforskjell mellom asciminib og bosutinib. Medicinerådet har utført en forenklet analyse der de har sammenlignet legemiddelkostnaden for ett års behandling, og vurderer at kostnadene ved asciminib-behandling er rimelige i forhold til effekten, da legemiddelkostnadene for asciminib og bosutinib sammenlignbare (7).

England og Wales (National Institute for Health and Care Excellence, NICE)

NICE anbefaler innføring av asciminib til aktuell indikasjon. NICE har gjort en metodevurdering av asciminib der de leverer en IKER for asciminib sammenlignet med bosutinib, nilotinib, dasatinib og ponatinib. NICE peker imidlertid på en lang rekke usikkerhetsmomenter i analysen og vurderer både beregningene rundt kostnadseffektivitet og de ulike innsendte indirekte sammenligningene mot dasatinib, nilotinib og ponatinib som svært usikre. Spesielt er komiteen kritiske til bruken av TTD som eneste utfallsmålet som informerer den helseøkonomiske modellen, ettersom det ikke finnes data som viser noen direkte sammenheng mellom TTD og overlevelsesendepunktene PFS og OS. Komiteen er videre bekymret for påliteligheten av TTD som et klinisk endepunkt og mener det er stor mulighet for bias ettersom TTD er et subjektivt endepunkt som kan påvirkes av mye annet enn kun effekten av behandling (8).

Skottland (Scottish Medicines Consortium, SMC)

SMC har anbefalt å innføre asciminib til aktuell indikasjon. SMC har beregnet IKER sammenlignet med bosutinib, ponatinib, nilotinib og dasatinib, men understreker at sammenligningsgrunnlaget for ponatinib, nilotinib og dasatinib er svært usikkert (9).

Canada (Canada's Drug and Health Technology Agency, CADTH)

CADTH har anbefalt å innføre asciminib til aktuell indikasjon dersom prisen på asciminib reduseres. CADTH vurderer at den relative effekten av asciminib sammenlignet med alle komparatorer (bosutinib, ponatinib, nilotinib og dasatinib) er høyst usikker. I CADTH sin analyse beregnet de en IKER sammenlignet med bosutinib, mens de vurderte at usikkerheten i datagrunnlaget for beregning av relativ effekt var for høy for å estimere en IKER for asciminib vs. andre komparatorer (10).

Anbefaling til Bestillerforum

Legemiddelverket anser at en grundigere utredning av metoden ikke vil opplyse saken ytterligere. I lys av dagens situasjon med flere saker i kø og beslutningen fra Bestillerforum i sak 126-22, anbefaler Legemiddelverket at oppdraget gitt Legemiddelverket i ID2022_028, kvitteres ut med dette notatet.

Statens legemiddelverk, 20-09-2023

Elisabeth Bryn,
Enhetsleder

Ida Jonson,
Saksutreder

Logg over prosessen

Dokumentasjon bestilt av Legemiddelverket	14.02.2022
Dokumentasjon mottatt hos Legemiddelverket	02.09.2022
Saken tildelt saksutreder	11.05.2023
Klinikere kontaktet av Legemiddelverket	12.06.2023
Rapport ferdigstilt	20.09.2023
Saksbehandlingstid	383 dager. Dette inkluderer 251 dager i kø i påvente av tildeling til saksutreder.
Saksutreder	Ida Jonson
Medisinske fageksperter	Marko Pavicevic, Akershus universitetssykehus HF Bjørn Tore Gjertsen, Haukeland universitetssjukehus
Medisinske fageksperter har bidratt med avklaringer av sentrale forutsetninger i analysen (bl.a. sammenlignende behandling, pasientgrunnlag og overførbarhet av studiedata til norsk klinisk praksis). Legemiddelverket er ansvarlig for rapportens innhold. Medisinske fageksperter har ikke vært involvert i noen konsensusprosess eller hatt noen «peer-review» funksjon ved utarbeidelse av rapporten.	

Referanser

1. European Medicines Agency. Scemblix – European Public Assessment Report 2022. Hentet fra: https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/scemblix-epar-public-assessment-report_en.pdf
2. ClinicalTrials.gov. Hentet fra: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03106779>
3. Helsedirektoratet. Nasjonalt handlingsprogram for diagnostikk, behandling og oppfølging av pasienter med maligne blodsykdommer. Oppdaterte retningslinjer (jan. 2023) hentet fra: <https://www.legeforeningen.no/contentassets/830ca1e1e1f747ef90df5d0b047ef557/handlingsprogram-kml-jan2023b.pdf>
4. Statens Legemiddelverk. Preparatomtale – Scemblix. Hentet fra: https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/scemblix-epar-product-information_no.pdf
5. Journal of Cancer Research and Clinical Oncology. E Atallah, et al. (2023) Matching-adjusted indirect comparison of asciminib versus other treatments in chronic-phase chronic myeloid leukemia after failure of two prior tyrosine kinase inhibitors.
6. Tandvårds och Läkemedelsförmånsverket. Scemblix (asciminib). Hentet fra: https://www.tlv.se/download/18.187f44431872c3a93f232608/1680255944998/bes230323_scemblix_3266-2022_underlag.pdf
7. Medicinrådet. Medicinrådets anbefaling vedr. asciminib til behandling af kronisk myeloid leukæmi. Hentet fra: <https://medicinraadet.dk/media/vizeg54p/medicnr%C3%A5det-anbefaling-af-asciminib-til-kronisk-myeloid-leuk%C3%A6mi-cml-vers-1-0x.pdf>
8. National Institute for Health and Care Excellence. Single Technology Appraisal. Asciminib for treating chronic myeloid leukaemia after 2 or more tyrosine kinase inhibitors. Hentet fra: <https://www.nice.org.uk/guidance/ta813/evidence/committee-papers-pdf-11186296957>
9. Scottish Medicines Consortium. Asciminib 20mg and 40mg film-coated tablets (Scemblix®). Hentet fra: <https://www.scottishmedicines.org.uk/media/7245/asciminib-scemblix-final-oct-2022-amended-171122-for-website.pdf>
10. Canada's Drug and Health Technology Agency. Asciminib (Scemblix). Hentet fra: <https://www.cadth.ca/sites/default/files/DRR/2022/PC0275-Scemblix.pdf>