

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: 16.okotber 2025

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Novartis Norge
1.2 Navn kontaktperson	Emilie Nielsen Solheim
1.3 Stilling kontaktperson	Value and Access Manager
1.4 Telefon	+47 98 43 33 61
1.5 E-post	emilie_nielsen.solheim@novartis.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?	Behandling av voksne pasienter med Philadelphiakromosom-positiv kronisk myelogen leukemi i kronisk fase (Ph+ KML-KF).

<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>	Scemblix is indicated for the treatment of adult patients with Philadelphia chromosome-positive chronic myeloid leukaemia in chronic phase (Ph+ CML-CP).
2.3 Handelsnavn	Scemblix
2.4 Generisk navn/virkestoff	Askiminib
2.5 ATC-kode	L01E A06
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingsslengde</i> <i>Skriv kort</i>	Askiminib administreres peroralt, og anbefalt dose er 80mg én gang daglig.
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Kronisk myelogen leukemi (KML) drives av BCR-ABL1-fusjonsproteinet, som oppstår fra en spesifikk genetisk abnormalitet: en resiprok translokasjon mellom kromosom 9 og 22, kjent som Philadelphia-kromosomet. Denne fusjonen fører til en konstant aktiv tyrosinkinase som driver ukontrollert vekst av hvite blodceller (1). Asciminib er en STAMP-hemmer (Specifically Targeting the ABL Myristoyl Pocket) av BCR-ABL1, som allosterisk binder til myristoyl-setet på BCR-ABL1. Dette gir en særskilt virkningsmekanisme sammenlignet med konvensjonelle tyrosinkinasehemmere (TKI), som hemmer ATP-binding kompetitivt i kinasens aktive domene (2).

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	ID2022_028
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: ID2017_094 (Bosutinib)
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: 01.03.2023
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: EMA/VR/0000265010 Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): 16. oktober 2025 Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): November/Desember 2025 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?	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»: 24.mars 2020

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: Scemblix er første allosteriske ABL1-hemmer; såkalt STAMP (Specifically Targeting ABL1 Myristoyl Pocket) og skiller seg fra 1. og 2. generasjons tyrosinkinasehemmere med tanke på virkningsmekanisme, effekt og tolerabilitet.
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: Scemblix er en del av nåværende onkologianbud, men er ikke faglig likeverdig.

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:

Scemblix er en oral behandling og kan derfor falle inn under andre refusjonsordninger i de nordiske landene, og er dermed ikke egnet for en felles nordisk 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)?

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

Novartis foreslår å gjennomføre en kostnadseffektivitetsanalyse (CEA) for Scemblix. Denne tilnærmingen vurderes som mest hensiktsmessig gitt legemidlets unike virkningsmekanisme og dokumenterte kliniske resultater. Scemblix er en first-in-class STAMP (Specifically Targeting the ABL Myristoyl Pocket)-hemmer med et annet virkningsprinsipp enn etablerte ATP-kompetitive tyrosinkinasehemmere (TKI). Dette representerer et annet behandlingsprinsipp med potensial for ulik klinisk effekt og behandlingsnytte, noe som gjør at effekten ikke kan anses som direkte sammenlignbar med eksisterende alternativer.

En kostnadseffektivitetsanalyse vil derfor gi et solid og beslutningsrelevant grunnlag for å vurdere forholdet mellom kostnader og oppnådd helsegevinst på tvers av tilgjengelige behandlingsalternativer.

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

Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen skal baseres på, inkluderer hovedsakelig nylig diagnostiserte voksne pasienter med Philadelphia-kromosompositiv kronisk myelogen leukemi i kronisk fase (Ph+ KML-KF).

	I tillegg vil vi inkludere studiedata for pasienter i senere behandlingslinje (2L-populasjonen). Dette begrunnes med at Scemblix har en linjeagnostisk indikasjon og representerer et effektivt og godt tolerert behandlingsalternativ. Behandlingen er klinisk relevant på tvers av behandlingslinjer, noe som gir et tydelig medisinsk rasjonale for å vurdere Scemblix for hele 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>	Den helseøkonomiske analysen vil baseres på data fra ASC4FIRST-studien (NCT04971226), som er en fase III, randomisert, head-to-head multisenterstudie. Studien sammenligner Scemblix med standard førstelinje TKI-behandling (imatinib, nilotinib, dasatinib og bosutinib) hos nydiagnostiserte pasienter med Philadelphia-kromosompositiv kronisk myelogen leukemi i kronisk fase (Ph+ KML-KF). I tillegg vil ASC4START-studien (NCT05456191) inngå som støttende dokumentasjon. Dette er en fase IIIb head-to-head-studie som sammenligner Scemblix med nilotinib, med hovedfokus på tolerabilitet og tid til seponering grunnet bivirkninger. Vi vil supplere med evidens fra andre studier for en linjeagnostisk evaluering.
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Philadelphia-kromosompositiv kronisk myelogen leukemi i kronisk fase (Ph+ KML-KF) klassifiseres som en sjelden sykdom med stabil insidens, og det forventes ingen økning i antall nydiagnostiserte pasienter. I Norge diagnostiseres om lag 50 nye tilfeller av kronisk myelogen leukemi (KML) årlig, tilsvarende en insidens på om lag 1 per 100 000 innbyggere (3). Innføring av Scemblix i førstelinje vil medføre en begrenset økning i legemiddelkostnader, og den samlede budsjettpåvirkningen vurderes som lav.
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>	Novartis planlegger å sende inn dokumentasjonspakken til DMP i løpet av Q1 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>	KML er en myeloproliferativ neoplasmi som kjennetegnes av tilstedeværelsen av Philadelphia-kromosomet, en genetisk abnormalitet som skyldes en reciprok translokasjon mellom kromosom 9 og 22, t(9;22)(q34;q11). Dette fører til dannelsen av BCR::ABL1-fusjonsgenet, som koder for et konstitutivt aktivt tyrosinkinaseenzym. Dette enzymet stimulerer ukontrollert proliferasjon av myeloide celler og hemmer apoptose, noe som gir opphav til leukemisk transformasjon (5). Symptomer ved KML varierer fra asymptomatisk til uttalte plager som slapphet, feber, nattesvette, vekttap, blødningstendens, skjelettsmerter og tyngdefølelse under venstre kostalbue. Palpabel milt og lever er vanlig (3). Klassisk inndeling av KML omfatter kronisk, akselerert og blastfase. Før behandling med hemmere av BCR-ABL1 ble tilgjengelig, var forventet levetid betydelig redusert; kronisk fase (3–4) år, akselerert fase (1/2–1 år), blastfase (kort levetid). Blant annet fordi BCR-ABL1-hemmere ofte er effektive også ved akselerert sykdom, deles sykdommen nå primært inn i kronisk og blastfase. Progresjon er assosiert med økende behandlingsresistens og symptombyrde (3).
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>	Nydiagnostiserte KML-pasienter bør diskuteres med universitetssykehus for individuell behandlingsplan. Målet er å hindre progresjon og sikre god livskvalitet, og for noen pasienter, særlig unge kvinner med barneønske, kan behandlingsfri remisjon være et behandlingsmål. ATP-bindende TKI startes raskt, også ved sterk mistanke om KML før molekylær bekreftelse. 1G-TKI imatinib eller 2G-TKI dasatinib anbefales førstelinje.

	2G-TKlene bosutinib og nilotinib kan også brukes i 1L, men i følge nasjonalt handlingsprogram, reserveres disse til 2. linje. Valg av TKI tilpasses komorbiditet og bivirkningsprofil. TKI-seponering vurderes ved dyp og stabil respons. Uavhengig av TKI-valg ved diagnose, vil allikevel de fleste pasienter måtte behandles livslangt med TKI (3).
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Prognosen for pasienter med KML har bedret seg betydelig de siste 20 årene, først og fremst takket være innføringen av TKIer. Hos pasienter i kronisk fase som oppnår god behandlingsrespons, er forventet levetid nå nær det normale. For å vurdere risiko for sykdomsrelatert død ved TKI-behandling benyttes ELTS-score. Den viktigste prognostiske faktoren er imidlertid behandlingsrespons: selv pasienter med høy risikoskår kan ha gode langtidsutsikter dersom de oppnår optimal respons på behandling. Redusert etterlevelse angis som en av de hyppigste årsakene til at responsene på imatinibbehandling ikke er optimal (3). Omtrent halvpartene av pasientene med KML må bytte behandling innen 2 år etter oppstart med førstelinjebehandling, typisk grunnet resistens eller intoleranse/bivirkninger (4).
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Scemblix representerer et sentralt og verdifullt behandlingsalternativ for pasienter med KML. Legemidlet tilbyr en effektiv og tolererbar løsning som er relevant både for nylig diagnostiserte pasienter og for de som tidligere er behandlet med TKI, og styrker dermed behandlingsalgoritmen på tvers av sykdomsforløpet.
10.7 Pasientgrunnlag <i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i>	Philadelphia-kromosompositiv kronisk myelogen leukemi i kronisk fase (Ph+ KML-KF) klassifiseres som en sjelden sykdom, og forekomsten har vært stabil over tid. I Norge diagnostiseres om lag 50 nye tilfeller av kronisk myelogen leukemi (KML) årlig, tilsvarende

<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 insidens på om lag 1 per 100 000 innbyggere (1). Pasientpopulasjonen (prevalens) er i dag ca. 650 (6), noe som forventes å øke grunnet bedre overlevelse. Det forventes ingen økning i antall nydiagnostiserte pasienter sammenlignet med dagens nivå. Ved diagnosetidspunktet er ca 95 % av pasientene i kronisk fase, noe som tilsvarer 47-48 pasienter i pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon per år (1L) (6).
---	---

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	ASC4FIRST, NCT04971226 Study Details NCT04971226 A Study of Oral Asciminib Versus Other TKIs in Adult Patients With Newly Diagnosed Ph+ CML-CP ClinicalTrials.gov	ASC4START, NCT05456191 Study Details NCT05456191 A Study to Investigate Tolerability and Efficacy of Asciminib (Oral) Versus Nilotinib (Oral) in Adult Participants (≥18 Years of Age) With Newly Diagnosed Philadelphia Chromosome Positive Chronic Myelogenous Leukemia in Chronic Phase (Ph+ CML-CP) ClinicalTrials.gov	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.2 Studietype og -design	fase III, open-label, randomisert, head-to-head, multisenterstudie	fase IIIb, open-label, head-to-head, multisenterstudie	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	Studien sammenligner Scemblix med utprøvervalgt standard førstelinje TKI-behandling (imatinib, nilotinib, dasatinib og	Studien sammenligner Scemblix med nilotinib, med hovedfokus på tolerabilitet og tid til seponering grunnet bivirkninger	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	bosutinib) hos nydiagnostiserte pasienter med Ph+ KML-KF		
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	N=405 Inklusjonskriterier: - Voksne (≥ 18 år) pasienter med KML i kronisk fase (KML-KF) innen 3 måneder etter diagnose. - Diagnose av KML-KF (i henhold til ELN 2020-kriteriene) med cytogenetisk bekreftelse av Philadelphia-kromosomet. - Ingen tegn til ekstramedullær leukemisk involvering, med unntak av hepatosplenomegali. - Eastern Cooperative Oncology Group (ECOG) funksjonsstatus på 0 eller 1. - Tilfredsstillende organfunksjon* - Deltakere må ha følgende laboratorieverdier innenfor normalområdet*, eller korrigert til normalområdet* med tilskudd før randomisering - For pasienter med mild til moderat nyresvikt ($\text{CrCl}^{**} \geq 30 \text{ mL/min}$ og $< 90 \text{ mL/min}$) må kalium, totalt kalsium (korrigert for albumin) og magnesium være $\geq$ nedre normalgrense	N=568 Viktige inklusjonskriterier: - Voksne (≥ 18 år) pasienter med KML i kronisk fase (KML-KF) innen 3 måneder etter diagnose. - Diagnose av KML-KF (i henhold til ELN 2020-kriteriene) med cytogenetisk bekreftelse av Philadelphia-kromosomet. - Ingen tegn til ekstramedullær leukemisk involvering, med unntak av hepatosplenomegali. - ECOG (Eastern Cooperative Oncology Group) prestasjonsstatus 0 eller 1. - Tilfredsstillende organfunksjon* - Laboratorieverdier for kalium, totalt kalsium og magnesium må være innenfor normalgrensene eller korrigeres med tilskudd før randomisering* Viktige eksklusjonskriterier: - Tidligere behandling av CML med andre kreftmidler, inkludert	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	(LLN) eller korrigert til normalområdet med tilskudd før randomisering. **CrCl beregnes med Cockcroft-Gault-formelen - Evne til å gi skriftlig informert samtykke før noen studie-relaterte screeningprosedyrer utføres. - Påvisning av typisk BCR-ABL1-transkript [e14a2 og/eller e13a2] ved screening, som kan kvantifiseres med standardisert real-time kvantitativ PCR (RQ-PCR). Viktige eksklusjonskriterier: - Tidligere behandling av KML med andre kreftlegemidler, inkludert kjemoterapi og/eller biologiske legemidler, eller tidligere stamcelletransplantasjon, med unntak av hydroksyurea og/eller anagrelid. Behandling med enten imatinib, nilotinib, dasatinib eller bosutinib i ≤2 uker er tillatt, men annen behandling med tyrosinkinasehemmere før randomisering er ikke tillatt. - Påvist cytopatologisk bekreftet infiltrasjon i sentralnervesystemet (CNS); ved fravær av mistanke om CNS-afleksjon kreves ikke spinalpunksjon. - Nedsatt hjertefunksjon eller forstyrrelser i hjerterepolarisering*	kjemoterapi, biologiske midler eller stamcelletransplantasjon (unntatt hydroksyurea og/eller anagrelid). - Bekreftet infiltrasjon i sentralnervesystemet (CNS). - Nedsatt hjertefunksjon eller repolariseringsforstyrrelser* - Alvorlig/uakseptabel samtidig sykdom (f.eks. ukontrollert diabetes, infeksjon, hypertensjon). - Blødningsforstyrrelser. - Større kirurgi siste 4 uker eller ikke restituert. - Aktiv kreft siste 3 år (unntatt basalcellekreft og carcinoma in situ). - Akutt pankreatitt siste år eller kronisk pankreatitt. - Alvorlig leversykdom. - Kronisk hepatitt B eller C* - HIV-historie, med mindre godt kontrollert. - GI-sykdom som påvirker absorpsjon (f.eks. malabsorpsjon, gastric bypass). - Deltakelse i annen studie siste 30 dager eller 5 halveringstider. - Gravide eller ammende kvinner. - Fertile kvinner må bruke svært effektiv prevensjon under og etter behandling (asciminib: 3 dager etter siste dose; nilotinib: i henhold til lokal	
--	--	--	--

	- Alvorlig og/eller ukontrollert samtidig medisinsk sykdom som etter investigators vurdering kan medføre uakseptabel sikkerhetsrisiko eller svekke etterlevelse av protokollen (f.eks. ukontrollert diabetes, aktiv eller ukontrollert infeksjon, ukontrollert arteriell eller pulmonal hypertensjon, ukontrollert klinisk signifikant hyperlipidemi) - Historie med betydelig medfødt eller ervervet blødningsforstyrrelse som ikke er relatert til kreft - Større kirurgi innen 4 uker før studiestart, eller pasienter som ikke har kommet seg etter tidligere kirurgi - Historie med annen aktiv malign sykdom innen 3 år før studiestart, med unntak av tidligere eller samtidig basalcellekreft i huden og tidligere carcinoma in situ som er kurativt behandlet - Historie med akutt pankreatitt innen 1 år før randomisering, eller medisinsk historie med kronisk pankreatitt - Historie med kronisk leversykdom som har ført til alvorlig leverfunksjonssvikt, eller pågående akutt leversykdom *se Study Details NCT04971226 A Study of Oral Asciminib Versus	forskrift). Menn trenger ikke prevensjon. - Kjente allergier mot studiemedisin. - COVID-19-symptomer eller positiv test under screening – vurderes av etterforsker. *se Study Details NCT05456191 A Study to Investigate Tolerability and Efficacy of Asciminib (Oral) Versus Nilotinib (Oral) in Adult Participants (≥18 Years of Age) With Newly Diagnosed Philadelphia Chromosome Positive Chronic Myelogenous Leukemia in Chronic Phase (Ph+ CML-CP) ClinicalTrials.gov for definisjoner og ytterligere beskrivelser	
--	--	---	--

	Other TKIs in Adult Patients With Newly Diagnosed Ph+ CML-CP ClinicalTrials.gov for definisjoner.		
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Askiminib 80 mg én gang daglig (QD) Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Askiminib 80 mg én gang daglig (QD) 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>	Imatinib 400 mg QD, dasatinib 100 mg QD, nilotinib 300 mg BID, bosutinib 400 mg QD Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Nilotinib 300 mg BID 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: - Andel deltakere i major molecular response* (MMR) ved uke 48 – Asciminib vs. utprøvervalgt TKI - Andel deltakere i major molecular response ved uke 48 – Asciminib (Imatinib-stratum) vs. utprøvervalgt TKI (Imatinib-stratum)	Primært endepunkt: Tid til seponering grunnet bivirkninger (TTDAE: time to discontinuation due to adverse events); tidsramme 4,5 år etter siste pasient første dose. Sekundære endepunkter:	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	Sekundære endepunkter: MMR ved 96 uker. Tid til seponering grunnet bivirkninger (TTDAE: time to discontinuation due to adverse events); tidsramme 96 uker etter siste pasient første dose. MMR, MR4.0, MR4.5 og komplett hematologisk respons (CHR) ved alle planlagte tidspunkter for datainnsamling** Andel deltakere med komplett cytogenetisk respons (CCyR) ved 48 og 96 uker. Varighet av MMR, MR4.0, MR4.5** Tid til første MMR, MR4.0, MR4.5** BCR-ABL1$\leq$1% ved planlagte tidspunkter for datainnsamling** Tid til behandlingssvikt (TTF)** (tid fra randomisering til behandlingssvikt i henhold til ELN, bekreftet tap av MMR, progresjon til AP eller BC, død av enhver årsak). Overlevelse uten behandlingssvikt (FFS)**(tid fra randomisering til behandlingssvikt i henhold til ELN, bekreftet tap av MMR,	Andel deltakere i MMR, MR4.0, MR4.5 og komplett hematologisk respons (CHR) ved alle planlagte tidspunkter for datainnsamling* Andel deltakere med BCR-ABL1$\leq$1% ved uke 48 og 96. Varighet av MMR, MR4.0, MR4.5 fra dato for første dokumentering av aktuelt response-nivå til tap av respons eller død av enhver årsak** Tid til første MMR, MR4.0, MR4.5 fra dato for randomisering til dato første dokumentering av aktuelt responsnivå** Tid til behandlingssvikt (TTF)** (tid fra randomisering til behandlingssvikt i henhold til ELN, bekreftet tap av MMR, seponering grunnet enhver årsak). Hendelsesfri overlevelse (EFS)** (tid fra randomisering til behandlingssvikt i henhold til ELN, bekreftet tap av MMR, seponering grunnet bivirkning, progresjon til akselerert fase (AP) eller blastkrise (BC), død av enhver årsak). Progressionsfri overlevelse (PFS)** (Tid fra randomiseringsdato til det tidligste	
--	---	---	--

	progresjon til akselerert fase (AP) eller blastkrise (BC), død av enhver årsak). Hendelsesfri overlevelse (EFS)** (tid fra Progressionsfri overlevelse (PFS)** (Tid fra randomiseringsdato til det tidligste tidspunktet for progresjon til AP eller BC, eller død av enhver årsak). Totaloverlevelse (OS)** (tid fra randomiseringsdato til dato for død av enhver årsak). Bunnkonsentrasjon i plasma (u 48), Pharmacokinetics (PK) asciminib: Cmax, Tmax, AUCtau og AUClast and CL/F*** Endring fra baseline i total score (global helsestatus), European Organization for the Research and Treatment of Cancer Quality of Life Questionnaire EORTC QLQ-C30 og EORTC QLQ-CML24 ved uke 48 og 96. * Molekylær respons vurderes ved hjelp av BCR-ABL1-transkriptnivåer målt med qPCR. MMR er definert som et forhold $\text{BCR-ABL1/ABL} \leq 0,1 \%$	tidspunktet for progresjon til AP eller BC, eller død av enhver årsak). Totaloverlevelse (OS)** (tid fra randomiseringsdato til dato for død av enhver årsak). TTD (tid til seponering) grunnet selekterte årsaker** (tid fra datoen for første dose til dato for seponering grunnet manglende effekt, behandlingssvikt, sykdomsprogresjon, suboptimal respons eller død. Endring fra baseline I European Organization for the Research and Treatment of Cancer Quality of Life Questionnaire EORTC QLQ-C30 og EORTC QLQ-CML24 ved baseline, hver 4. uke fra uke 4 til uke 12, etter uke 24, uke 48, uke 96, ved behandlingsslutt (EOT) og deretter hver 4. uke frem til 12 uker etter EOT, vurdert i opptil omtrent 4,5 år. * Screening, uke 4, uke 12 og deretter hver 12. uke frem til behandlingsslutt (EOT), og ved EOT, vurdert i opptil omtrent 4,5 år.	
--	--	---	--

	på den internasjonale skalaen. **total oppfølging: 5 år ***uke 2 (0, 1, 2, 3, 4, 6, 8 og 12 t post dose)	**vurdert i omtrent 4,5 år.	
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.
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>	Oppfølgingstid 5 år	Oppfølgingstid 4,5 år	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Pågående: 3 årsdata; effekt, sikkerhet, PROs Q2 2026 4 årsdata; effekt sikkerhet, PROs Q2 2027 5 årsdata; effekt, sikkerhet, PROs Q4 2027	Pågående: 96 ukersdata Q4 2026 3 årsdata: Q4 2026 4 årsdata: Q4 2027	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i>	Asciminib in Newly Diagnosed Chronic Myeloid Leukemia New England Journal of Medicine Hochhaus et al, N Engl J Med 2024;391:885-898 96 ukersdata presentert på ASH 2024 (manuskript for peer-reviewed publikasjon innsendt). Planlagt innsending manuskript 5 årsdata: Q2 2028.	Resultater primæranalyse presentert på ASCO og EHA 2025. Planlagt innsendelse manuskript for peer-reviewed publikasjon (96 ukersdata): Q4 2026	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 ☐ Både ASC4FIRST og ASC4START er forlenget til en valgfri behandlingsfri remisjonsfase (TFR: treatment free remission). I denne fasen vil deltakere som oppfyller kravene om å seponere behandling i henhold til protokoll, få mulighet til dette. 1 y readout ASC4FIRST 2029, interim readout (30 pts) ASC4START 2027.
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja ☒ Nei ☐ -T315I-mutasjon (EMA-godkjenning søkt) -Pediatrisk Ph+ALL og KML -Kombinasjonsbehandlinger med ATP-konkurrerende TKler -Doseeskaleringsstudier

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 ☐ Tobias Gedde-Dahl, OUS Innsikt asciminib plass i 1L-behandlingsalgoritme
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>	Ja ☐ Nei ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HE	
14.3 Andre relevante opplysninger?	Referanser brukt i dette dokumentet: 1. Quintas-Cardama and Cortes, Blood 2009 Feb 19;113(8):1619-30. 2. Schoepfer et al, J Med Chem, 2018 Sep 27;61(18):8120-8135 3. Helsdirektoratet (2024). Maligne blodsykdommer- handlingsprogram. Kronisk myelogen leukemi (KML) - Helsedirektoratet 4. Upubliserte data hentet fra Svenska KML-registret, 2010-2025 5. Jabbour and Kantarjian, JAMA 2025 May 13;333(18):1618-1629. 6. Store Norske Leksikon (2025) kronisk myelogen leukemi – Store medisinske leksikon

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no