NYE METODER

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.

Submitter acknowledges that the form will be published in full: ☒

Submission date: 26 October 2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	KalVista Pharmaceuticals Limited. Chiesi Pharma has recently acquired the company Kalvista (https://ir.kalvista.com/news-releases/news-release-details/chiesi-group-acquire-kalvista-pharmaceuticals-expanding-its/) and will now market the product Ekterly. Process to transfer market authorization holder is ongoing.
1.2 Navn kontaktperson	Jonas Lundkvist
1.3 Stilling kontaktperson	Value & Accss lead
1.4 Telefon	+46 767637992
1.5 E-post	j.lundkvist@chiesi.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	
1.7 Telefon og e-post	

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? *Kryss av for hva anmodningen gjelder*	New active substance ☒ Indication extension / new indication ☐ New strength or formulation ☐
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Symptomatisk behandling av akutte anfall av hereditært angioødem (HAE) hos voksne og ungdom fra 12 års alder

Completed draft based on cited sources. Submitter-specific and Norway-specific commercial fields remain to be completed.

Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk. *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.*	
2.3 Handelsnavn	Ekterly
2.4 Generisk navn/virkestoff	Sebetralstat
2.5 ATC-kode	B06AC08
2.6 Administrasjonsform og styrke *Oppgi også forventet dosering og behandlingslengde* *Skriv kort*	Oral administration. Ekterly 300 mg film-coated tablet. One 300 mg tablet at the earliest recognition of an attack. A second 300 mg dose may be taken 3 hours after the first dose if response is inadequate or symptoms worsen or recur. No more than two doses in 24 hours. Tablets may be taken with or without food. Treatment is on-demand for acute attacks. No restriction in duration of use
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. *Skriv kort*	Pharmacotherapeutic group: other haematological agents, drugs used in hereditary angioedema; plasma kallikrein inhibitor. Sebetralstat is a competitive, reversible inhibitor of plasma kallikrein. It inhibits cleavage of high-molecular-weight kininogen and reduces bradykinin generation, thereby limiting increased vascular permeability and progression of HAE attacks.

3 Historikk – virkestoff og indikasjon

3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere? *Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder*	Yes ☐ No ☒
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*	Yes ☒ No ☐ Icatibant (Firazyr and generics), ID2023_069, symptomatic treatment of acute HAE attacks in adults, adolescents and children >2 years with C1-esterase inhibitor deficiency.

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*	Yes ☐ No ☒

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*	Yes ☒ No ☐ Date of first marketing authorisation: 17 September 2025.
4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?	Yes ☐ No ☒
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: Yes ☒ No ☐ EMA procedure number: EMEA/H/C/006211/0000.
	Hvis metoden ikke har MT Not applicable; marketing authorisation has been granted.
	Hvis metoden har MT Date of marketing authorisation for the requested indication: 17 September 2025.
4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon? *Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.*	Yes ☐ No ☒
4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?	Yes ☐ No ☒
4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA? *Hvis ja, fyll ut dato*	Yes ☒ No ☐ Orphan designation date: 21 June 2022.

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"?	Yes ☐ No ☒

6 Sammenlignbarhet og anbud	
6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?	Yes ☒ No ☐ Other on-demand treatments for acute HAE attacks include icatibant (subcutaneous bradykinin B2 receptor antagonist), plasma-derived C1-inhibitor products and recombinant C1-inhibitor (intravenous). These treatments act at different points in the bradykinin pathway and are administered parenterally. Sebetralstat is an oral plasma kallikrein inhibitor and will therefore be an important addition and alternative to currently available parenteral treatments
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? *Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder*	Yes ☒ No ☐ ID2023_069 och Sykehusinkjop **2699a Hereditært angioødem**
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Yes ☒ No ☐ **2699a Hereditært angioødem**

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*	Yes ☐ No ☒ Introduction in Nordics will be done in different phases

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*	Yes ☐ No ☒

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*	A cost-utility analysis (cost per QALY) is proposed.
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	According to label
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.*	Primary clinical evidence: KONFIDENT, a phase 3 randomised, double-blind, placebo-controlled, three-way crossover trial (NCT05259917). Long-term and repeated-use evidence: KONFIDENT-S open-label extension (NCT05505916). No head-to-head trial versus active on-demand comparators is available, and comparison to other therapies must be compared indirectly using ITC if feasible.
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	To be estimated
9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF. *Tidspunkt må oppgis*	Q1 2027

10 Sykdommen og eksisterende behandling	
10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon *Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser*	Hereditary angioedema is a rare, chronic genetic disorder. In HAE types 1 and 2, deficiency or dysfunction of C1-inhibitor permits uncontrolled activation of the kallikrein-kinin system, excessive bradykinin generation, vasodilation and capillary leakage. Patients experience recurrent, unpredictable, non-pruritic subcutaneous or submucosal swelling, commonly affecting the extremities, abdomen, face, genitourinary tract, oropharynx or larynx. Attacks typically intensify over 12-36 hours and subside over 2-5 days; laryngeal attacks can be life-threatening.

10.2 Fagområde *Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden*	Rare diseases / Immunology and allergy.
10.3 Kreftområde *Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt*	Not applicable.
10.4 Dagens behandling *Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse*	Current on-demand treatment options are parenteral and include subcutaneous icatibant and intravenous C1-inhibitor replacement products, including plasma-derived and recombinant C1-inhibitor. International guidelines recommend treatment of all attacks as early as possible and ready access to at least two doses of effective on-demand medicine. In Norway, Ikatibant or Berinert/Cinryze is recommended, see Sykehusinkjop 2699a Hereditært angioødem
10.5 Prognose *Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse*	Attack frequency and severity vary substantially. Untreated attacks generally persist for several days. Laryngeal oedema can cause airway obstruction and death, and abdominal attacks may cause severe pain, vomiting, diarrhoea, hypotension and circulatory shock. Even between attacks, unpredictable disease and treatment burden can impair quality of life, education, work and social participation. Sources: Bork K, Anderson JT, Caballero T, et al. Assessment and management of disease burden and quality of life in patients with hereditary angioedema: a consensus report. Allergy Asthma Clin Immunol. 2021;17:40
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Ekterly is intended as an oral on-demand treatment taken at the earliest recognition of an acute HAE attack. It may be used by eligible patients who otherwise require parenteral on-demand therapy and thereby replace other on-demand treatments
10.7 Pasientgrunnlag *Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.* *Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.* ** Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives*	According to Oslo University Hospital, around 120 people with HAE have been registered in Norway. https://www.oslo-universitetssykehus.no/behandlinger/heriditart-angioodem-hae/ Estimated global prevalence is about 1 in 50,000 people

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier

	KONFIDENT; KVD900-301;	KONFIDENT-S; KVD900-302;	

11.1 Studie-ID *Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke*	NCT05259917; https://clinicaltrials.gov/study/NCT05259917	NCT05505916; https://clinicaltrials.gov/study/NCT05505916	
11.2 Studietype og -design	Phase 3, randomised, double-blind, placebo-controlled, multicentre, three-way crossover trial.	Ongoing phase 3, multicentre, open-label extension study.	
11.3 Formål	Evaluate efficacy and safety of two oral sebetralstat dose levels versus placebo for on-demand treatment of HAE attacks.	Evaluate long-term safety and effectiveness of sebetralstat for repeated on-demand treatment of HAE attacks.	
11.4 Populasjon *Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier*	Patients aged >=12 years with confirmed HAE type 1 or 2; at least two documented attacks in the preceding 3 months; stable permitted long-term prophylaxis allowed. Key exclusions included other chronic angioedema forms and clinically significant poor response to relevant HAE treatments.	Adults and adolescents aged >=12 years with confirmed HAE type 1 or 2 and at least two documented attacks in the preceding 3 months; rollover and de novo participants; stable permitted long-term prophylaxis allowed.	
11.5 Intervensjon (n) *Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet*	Sebetralstat 300 mg (n=87 treated attacks) and 600 mg (n=93 treated attacks); one or two oral doses per eligible attack, with optional second dose at least 3 hours later.	Oral sebetralstat; originally 600 mg per attack with optional second dose >=3 hours later.	
11.6 Komparator (n) *Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet*	Matching placebo (n=84 treated attacks); one or two oral doses per eligible attack.	No concurrent control group.	
11.7 Endepunkter *Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon,*	Primary: time to beginning of symptom relief on PGI-C within 12 hours. Key secondary: time to reduction in severity on PGI-S within 12 hours and time to complete attack resolution on PGI-S within 24 hours. Safety and	Primary: adverse events and laboratory/vital-sign safety outcomes over long-term use. Secondary: PGI-C time to beginning of symptom relief; PGI-S reduction in severity and complete attack resolution; conventional	

målemetode og ev. tidspunkt for måling	additional patient-reported endpoints were assessed.	rescue treatment use; AE-QoL.	
11.8 Relevante subgruppeanalyser *Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser*	Prespecified analyses by age, long-term prophylaxis use, attack location/severity, dose number and geographic region.	Planned analyses by sex, race, age, prophylaxis status, region, HAE type, attack location/severity, dose number and time to treatment.	
11.9 Oppfølgingstid *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*	Each participant treated up to three eligible attacks in the crossover design.	Planned treatment/observation for up to 2 years.	
11.10 Tidsperspektiv resultater *Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt*	Completed; results available and published.	Ongoing	
11.11 Publikasjoner *Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon*	Riedl MA et al. Oral Sebetralstat for On-Demand Treatment of Hereditary Angioedema Attacks. New England Journal of Medicine, 2024. ClinicalTrials.gov: NCT05259917.	Farkas H et al. Long-Term Safety and Effectiveness of Sebetralstat: Interim Analysis of KONFIDENT-S Open-label Extension. Journal of Allergy and Clinical Immunology: In Practice, 2025. ClinicalTrials.gov: NCT05505916. and Bernstein JA, et al. Sebetralstat for On-Demand Treatment of Mucosal Hereditary Angioedema Attacks in KONFIDENT-S. Clin Transl Allergy. 2025 Nov;15(11)	

12 Igangsatte og planlagte studier

12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon	Yes ☒ No ☐ KONFIDENT-S (NCT05505916) is an ongoing open-label extension

som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden? *Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt*	providing additional long-term and repeated-use safety and effectiveness data.
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Yes ☒ No ☐ A study involving children aged 2–11 years (KONFIDENT-KID (NCT06467084)) and NCT07654829 (Safety and Effectiveness of Sebetralstat (KVD900) for Short-Term Prophylaxis Before Procedures in People With Hereditary Angioedema (KONTROL))

13 Diagnostikk

13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør? *Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene*	Yes ☐ No ☒
13.2 Er testen etablert i klinisk praksis? *Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?*	Yes ☐ No ☐ Not applicable
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? *Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?* *(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)*	Yes ☐ No ☒
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?	Yes ☐ No ☒

Hvis ja, begrunn kort. *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?	

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no