NYE METODER

Innkalling til møte i Bestillerforum for nye metoder

Sted: **Heldigitalt møte (Teams)**

Tidspunkt: **Mandag 16.11.2026 kl. 10:00- 11:30**

Beslutningstakere

Helse Vest RHF v/ Leder i Bestillerforum, Fagdirektør Bjørn Egil Vikse
Helse Midt-Norge RHF v/ Fagdirektør Trude Basso
Helse Nord RHF v/ Fagdirektør Per Rønning
Helse Sør-Øst RHF v Fagdirektør Ulrich Spreng
Helsedirektoratet v/ Seniorrådgiver Ingvild Grendstad
Helsedirektoratet v/ Seniorrådgiver Tale Krogsæter Aarre

Andre deltakere

Folkehelseinstituttet v/ Fagdirektør Hilde Risstad
Direktoratet for medisinske produkter v/ Enhetsleder Elisabeth Bryn
Direktoratet for medisinske produkter v/ Seniorrådgiver Kirsti Hjelme
Direktoratet for medisinske produkter v/ fung. enhetsleder Carolin Hagen
Direktoratet for medisinske produkter v/ Spesialrådgiver Anette Grøvan
Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet v/ Fagdirektør Eva Friberg
Sykehusinnkjøp HF, v/ Fagsjef Christina Sivertsen
Helse Sør-Øst RHF, v/ Prosjektdirektør Ole Tjomsland
Helse Vest RHF v/ Rådgiver Rebecca Kongsvik
Helse Nord RHF v/ Seniorrådgiver André Engesland
Helse Midt-Norge RHF v/ Seniorrådgiver Ingvild Klevan
Brukerrepresentant Linda Haugland
Brukerrepresentant Faridah S. Nabaggala
Sekretariatet Nye metoder v/ Enhetsleder Ellen Nilsen
Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Barbra Schjoldager Frisvold
Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Helene Örthagen
Sekretariatet Nye metoder v/ Spesialrådgiver Karianne Mollan Tvedt
Sekretariatet Nye metoder v/ Medisinsk rådgiver Michael Vester

Saksliste

Velkommen v/leder av Bestillerforum for nye metoder, fagdirektør Bjørn Egil Vikse.

Saksnummer	Sakstittel	Type sak
Sak 150-26	Anmodning: ID2026_050 Teklistamab (Tecvayli) som monoterapi til behandling av pasienter med residiverende eller refraktær myelomatose, som har fått minst 1 tidligere behandling.	Til drøfting.
Sak 151-26	Anmodning: ID2026_057 Budesonid (Jorveza) til behandling av eosinofil øsofagitt (EoE) hos pediatriske pasienter i alderen 2 til 17 år.	Til drøfting.
Sak 152-26	Anmodning: ID2026_058 Upadacitinib (Rinvoq) i monoterapi eller i kombinasjon med metotreksat til behandling av aktiv polyartikulær juvenil idiopatisk artritt (pJIA; polyartritt som er reumatoid faktor-positiv eller negativ, og utvidet	Til drøfting.

	oligoartritt) hos pasienter fra 2 år og oppover, som har hatt utilstrekkelig respons på tidligere behandling med konvensjonelle syntetiske DMARDs (csDMARDs)	
Sak 153-26	Anmodning om revurdering: ID2020_059 Pemigatinib (Pemazyre) ionoterapi til behandling av voksne med lokalt avansert eller metastatisk kolangiokarsinom (gallegangskreft) med fibroblastvekstfaktor-reseptor 2 (FGFR2)-fusjon eller rearrangering, med progresjon etter minst én tidligere linje med systemisk behandling.	Til drøfting.
Sak 154-26	Forslag om vurdering av medisinsk utstyr: Kontinuerlig subkutan infusjon av hydrokortison i insulinpumpe hos pasienter med binyrebarksvikt. Orientering fra sekretariatet.	Til orientering.
Sak 155-26	Oppdrag: ID2022_103 og ID2023_041 Selperkatinib (Retsevmo) til skjoldbruskkjertelkreft. Innspill til endring av oppdrag fra leverandør.	Til drøfting.
Sak 156-26	Oppnevning av ny brukerrepresentant i Nye metoder.	Til orientering.
Sak 157-26	Eventuelt	

NYE METODER

Saksnummer 150-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2026_050 Teklistamab (Tecvayli) som monoterapi til behandling av pasienter med residiverende eller refraktær myelomatose, som har fått minst en tidligere behandling.

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er Johnson & Johnson.
- Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse. Legemidlet er tidligere vurdert og innført i Nye metoder til pasienter som har fått minst tre tidligere behandlinger, basert på en forenklet metodevurdering og lavere dosering enn det som fremgår i preparatomtalen (ID2022_113).
- Dagens behandling: Leverandør viser til isatuksimab i kombinasjon med karfilzomib og deksametason (ID2021_009) og Blenrep i kombinasjon med bortezomib og deksametason (ID2024_049).
- Pasientgrunnlag: Leverandøren estimerer at 200 pasienter er aktuelle for behandlingen.
- Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse i Norge: Q4 2026.
- Type helseøkonomisk analyse: Leverandør foreslår en kostnad-nytte-analyse. Eventuelt kan det være aktuelt med en forenklet vurdering (prisnotat).
- Forventet tidspunkt for levering av dokumentasjon til DMP: Q2 2027 (kostnad-nytte-analyse)

Innspill fra Sykehusinnkjøp HF:

- Sykehusinnkjøp HF har gitt tilbakemelding om at metoden ikke er egnet for tidlig faglig vurdering.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):

- Indikasjonen fikk positiv opinion i EMA (det europeiske legemiddelbyrået) 17. september 2026.
- Vurdering fra DMP:
    - MajesTEC-9-studien vurderes i utgangspunktet som egnet for en helseøkonomisk analyse. Det er imidlertid utfordringer knyttet til den eksterne validiteten av komparatorbehandlingene som er benyttet i studien, sett opp mot norsk klinisk praksis.
    - For å etablere relativ effekt av teklistamab mot relevante sammenligningsalternativer for norske pasienter, vil det være nødvendig med indirekte effektsammenligninger. På generelt grunnlag er slike sammenligninger forbundet med betydelig usikkerhet, økt risiko for systematiske skjevheter og mindre pålitelige effektestimater. Hvorvidt slike sammenligninger kan gi et tilstrekkelig robust grunnlag for helseøkonomiske analyser, vil måtte vurderes nærmere under metodevurderingen. Relevansen av slike analyser vil utfordres ytterligere av at noen av komparatorlegemidlene benyttes i annen dosering i norsk klinisk praksis enn den som er regulatorisk godkjent og studert i kliniske studier.
- Anbefaling fra DMP:
    - DMP mener det er nødvendig å belyse prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse med kostnad-nytte analyse.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: Ingen innspill.
- Helse Vest RHF: Ingen innspill.

Innspill fra fagmedisinsk forening:

- Norsk selskap for hematologi: 1 innspill.

Innspill fra Helsedirektoratet

Divisjon spesialisthelsetjenester og internasjonalt samarbeid: Per nå foreligger det ikke et nasjonalt handlingsprogram for myelomatose.

Divisjon helseøkonomi og personell: Finansieringsansvaret ble plassert hos RHF-ene 1.9.2022.

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.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av): ☒

Fyll ut dato for innsending av skjema: 31.08.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Johnson & Johnson Innovative Medicine
1.2 Navn kontaktperson	Nikolas Weise
1.3 Stilling kontaktperson	HEMAR
1.4 Telefon	+47 407 02 004
1.5 E-post	Nweise1@its.jnj.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*	Et nytt virkestoff ☐ En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon ☒ En ny styrke eller formulering ☐
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Tecvayli er indisert som monoterapi for behandling av voksne pasienter med residiverende eller refraktær multippelt myelom, som har mottatt minst én tidligere behandlingslinje.

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	Tecvayli
2.4 Generisk navn/virkestoff	teklistamab
2.5 ATC-kode	L01FX24
2.6 Administrasjonsform og styrke *Oppgi også forventet dosering og behandlingslengde* *Skriv kort*	Injeksjonsvæske, oppløsning 10mg/ml : 3ml (30 mg) 90 mg/ml: 1.7 ml (153 mg)
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. *Skriv kort*	Teklistamab er et bispesifikt antistoff som binder et protein som heter BCMA på overflaten av myelomatoseceller og CD3-proteinet på T-celler. Ved å binde begge proteiner vil dette føre til Tcelleaktivering som deretter vil drepe myelomatosecellene.

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*	Ja ☒ Nei ☐ ID-nummer: ID2022_113
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: ID2024_049 ID2021_009 ID2026_007 ID2024_048

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: -

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: 23.08.2022
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/SA/0000091193
	Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Q3 2026 Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Q4 2026
	Hvis metoden har MT: Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: -
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.*	Ja ☒ Nei ☐ Beskrivelse: The marketing authorisation holder is expected to provide comprehensive clinical data at a later stage.
4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?	Ja ☐ Nei ☒

4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA? *Hvis ja, fyll ut dato*	Ja ☐ Nei ☒ Dato for «orphan drug designation»: -

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: -
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*	Ja ☐ Nei ☒ Legemiddel og ID-nummer: -
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja ☒ Nei ☐ Kommentar: Teklistamab, elranatamab og linvoseltamab vil bli sammenlignet ved overlappende indikasjoner hos pasienter som har fått minst tre tidligere behandlinger (LIS 2607 ONKO).

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: Ulike tidspunkter for HTA.

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: -

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse	
9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren? *F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimerings analyse.* *Begrunn forslaget*	Metodevurdering med helseøkonomisk analyse (kostnads-nytte). Et forenklet løp (prisnotat, jf. ID2026_007) kan være aktuelt dersom det vurderes at det er tilstrekkelig sannsynlighetsovervekt for at innføring av Tecvayli vil oppfylle prioriteringskriteriene med dosering i tråd med forventet SPmC. Tecvayli har blitt midlertidig innført som monoterapi til voksne pasienter med residiverende og refraktær myelomatose som har mottatt minst tre tidligere behandlinger (ID2022_113). Innføringen var basert på en forenklet metodevurdering med vurdering av effekt og sikkerhet, uten helseøkonomisk analyse, og med MajesTEC-1 som sentralt datagrunnlag. Klinikere har gitt innspill på at doseringen vil være lavere ennn den som fremgår av gjeldende SPC. Den midlertige innføringen av Tecvayli i Norge var knyttet til en maksimaldosering basert på klinikerinnspill, som følges opp gjennom NIMMS-studien. References: Handlingsprogram myelomatose, versjon 1.3, Konkurransebestemmelser LIS 2607 Onkologi) (https://www.legeforeningen.no/contentassets/67fcd97b7ccb42699fa546aeb860bdbf/handlingsprogram-myelomatose-versjon-1.3.pdf)
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	ITT

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.*	H2H study. Additionally an ITC vs. relevant comparators according to Norwegian guidelines and clinical practice can inform the health economic analysis.
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	Uncertain.
9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF. *Tidspunkt må oppgis*	Kostnads-nytte analyse: ~Q2 2027

10 Sykdommen og eksisterende behandling

10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon *<u>Kort</u> beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser*	Multippelt myelom (myelomatose, benmargskreft) er en form for blodkreft som skyldes ukontrollert vekst av plasmaceller i benmargen. Plasmaceller er modne B-celler som er spesialisert for produksjon av antistoffer (immunglobuliner) som er en viktig del av kroppens immunforsvar mot bakterier og virus. Ved myelomatose vil ukontrollert vekst av en bestemt type plasmaceller fortrenge produksjon av andre immunglobuliner og celler i benmargen, inkludert røde blodceller, blodplater og hvite blodceller. Myelomcellene sprer seg vanligvis utover i benmargen i knoklene og danner mange små svulster (multiple myelomer) (6). De vanligste symptomene pasientene presenterer seg med er smerter i skjelett, anemi og nyresvikt. Svulstvevet fortrenger den normale benmargen og bryter ned benvev slik at det oppstår osteoporose og brudd. Nyrefunksjonen svekkes av proteinavleiringer som blokkerer nyrekanalene.

	Avhengig av hvor i behandlingsforløpet pasientene er, har de ofte betydelig nedsatt livskvalitet, med redusert fysisk funksjonsevne og smerter. Hyperkalsemi, nyresvikt og infeksjoner er de viktigste komplikasjonene forbundet med sykdommen. Nyresvikt og ukontrollerbare infeksjoner er de viktigste dødsårsakene. Reference: https://www.nyemetoder.no/4964e8/siteassets/documents/rapporter/id2021_009_isatuksimab_sarclisa_kombobeh_myelomatose---hurtig-metodevurdering---offentlig-versjon.pdf
10.2 Fagområde *Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden*	Velg fagområde fra menyen: Kreftsykdommer
10.3 Kreftområde *Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt*	Velg kreftområde fra menyen: Blod- beinmargs- og lymfekreft
10.4 Dagens behandling *Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse*	Høsten 2023 ble isatuksimab i kombinasjon med karfilzomib og deksametason godkjent for bruk hos pasienter som har mottatt minst en tidligere behandlingslinje (ID2021_009) med betydelig bruk til denne pasientgruppen. Vinteren 2025 ble Blenrep i kombinasjon med bortezomib og deksametason godkjent for bruk hos pasienter som har fått minst én tidligere behandling. Et inklusjonskriteriet i MajesTEC-9 var at alle pasienter måtte ha mottatt anti-CD38-rettet behandling. Relevante pasienter forventes derfor å være refraktære mot anti-CD38. IsaKd vil ikke være et aktuelt behandlingsvalg for disse pasientene. BlenVd, Kd og/eller PCd/PVd vil være aktuelle komparatorer. Carvykti (ID2024_048) har også nylig blitt innført i andrelinje. På grunn av begrenset slots vil Carvykti trolig ikke fortrenges – ettersom slotsene vil bli brukt til andre pasienter. Det er derfor usikker om Carvykti vil være en relevant komparator i praksis.
10.5 Prognose *Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse*	Myelomatose er en alvorlig sykdom hvor det per i dag ikke finnes kurativ behandling. Parallelt med at ny og bedre behandling har blitt tilgjengelig har prognosen for pasienter med myelomatose har blitt stadig bedre de siste årene: 5-års relativ overlevelse har økt fra

	under 40 % i 2002 til nesten 70 % i 2023 (1). Yngre pasienter har betydelig bedre prognose enn eldre pasienter. Referanse: https://www.nyemetoder.no/4a3175/contentassets/d2babf951d64481ea420553af92aa6ca/id2024_049_belantamaf-mafodotin_myelomatose-2.-linje-anmodning.-mottatt-09.08.2024.pdf
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Andrelinjebehandling for pasienter som ikke er refraktære mot anti-CD38.
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*	Ca. 200 pasienter får anti-CD38 rettet behandling i førstelinje. Progredierende pasiente kan være aktuelle for behandling med Tecvayli monotherapi. Kilde: https://www.nyemetoder.no/metoder/daratumumab-lenalidomid-og-deksametason-indikasjon-ii/

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier

	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID *Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke*	MajesTEC-9 NCT05572515 https://clinicaltrials.gov/study/NCT05572515	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.2 Studietype og -design	A Phase 3 Randomized Study Comparing Teclistamab	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	Monotherapy Versus Pomalidomide, Bortezomib, Dexamethasone (PVd) or Carfilzomib, Dexamethasone (Kd) in Participants With Relapsed or Refractory Multiple Myeloma Who Have Received 1 to 3 Prior Lines of Therapy, Including an Anti-CD38 Monoclonal Antibody and Lenalidomide		
11.3 Formål	The purpose of this study is to compare the efficacy of teclistamab with PVd/Kd in Part 1 and to further characterize safety and efficacy of an alternative dosing for teclistamab in Part 2 in participants with relapsed or refractory multiple myeloma.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.4 Populasjon *Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier*	Patients who have received 1 to 3 prior lines of antimyeloma therapy including a minimum of 2 consecutive cycles of an anti- cluster of differentiation 38 (CD38) monoclonal antibody at the approved dosing regimen in any prior line and 2 consecutive cycles of lenalidomide in any prior line.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	Exclusion criteria: Received any prior B cell maturation antigen (BCMA)-directed therapy		
11.5 Intervensjon (n) *Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet*	Teclistamab, subcutaneous, two step-up doses followed by 1.5 mg/kg weekly in cycle 1-2 3mg/kg Q2W in cycle 3-6 then 3mg/kg Q4W in cycle 7+	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.6 Komparator (n) *Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet*	Pomalidomide, Bortezomib and Dexamethasone (PVd) or Carfilzomib and Dexamethasone (Kd)	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.7 Endepunkter *Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling*	Primary endpoint: PFS (Part 1) Number of Participants Reporting Cytokine Release Syndrome (CRS) Cases by Severity (Part 2) Key secondary endpoints: Overall response, VGPR+, CR+ MRD-negativity PFS2	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	OS TTNT DoR HRQoL (EQ-5D-5L) AEs		
11.8 Relevante subgruppeanalyser *Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser*	-	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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*	17.3 months follow-up (median)	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.10 Tidsperspektiv resultater *Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt*	Ongoing	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.11 Publikasjoner *Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall.*	Teclistamab in Multiple Myeloma with One to Three Previous Lines of Therapy, 2026	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Ev. forventet tidspunkt for publikasjon	10.1056/NEJMoa2603870		

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? *Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt*	Ja ☐ Nei ☒ -
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja ☒ Nei ☐ MajesTec-3 MajesTec-4 MajesTec-7

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*	Ja ☐ Nei ☒
13.2 Er testen etablert i klinisk praksis? *Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?*	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	-

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)*	Ja ☐ Nei ☒ -
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? *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	Ja ☐ Nei ☒ -
14.3 Andre relevante opplysninger?	

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Direktoratet for medisinske produkter

Egnethetsvurdering	
ID-nummer	**ID2026_050**
Virkestoff (handelsnavn)	Teklistamab (Tecvayli)
Virkningsmekanisme	Teklistamab er et bispesifikt antistoff som binder et protein som heter BCMA på overflaten av myelomatoseceller og CD3-proteinet på T celler. Ved å binde begge proteiner vil dette føre til T-celleaktivering som deretter vil drepe myelomatosecellene.
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse for et kjent virkestoff. Indikasjonen fikk *positive opinion* av det Europeiske legemiddelbyrået (EMA) 17. september 2026[1].
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? ☐Ja ☒Nei
Bruksområde	Som monoterapi til behandling av pasienter med residiverende eller refraktær myelomatose, som har fått minst 1 tidligere behandling.
Forventet dosering	I studien som ligger til grunn for indikasjonsutvidelsen ble teklistamab administrert subkutant i to opptrappingsdoser, etterfulgt av 1,5 mg/kg ukentlig i syklus 1-2; 3 mg/kg annenhver uke i syklus 3-6; 3 mg/kg en gang hver fjerde uke fra syklus 7 og videre. Hver behandlingssyklus var 28 dager. Pasienter med en bekreftet veldig god partiell respons eller bedre kunne motta 3 mg/kg hver fjerde uke tidligere enn syklus 7.
Forslag	**Anmodning om vurdering**
Innsendt av	Johnson & Johnson Innovative Medicine
Bakgrunn	Myelomatose (benmargskreft, multippelt myelom) er en type kreft som skyldes ukontrollert vekst av antistoff-produserende B-celler (plasmaceller) i benmargen. Myelomatose er i de aller fleste tilfeller en inkurabel sykdom. Mange pasienter lever imidlertid lenge etter diagnose og vil i løpet av sykdomsforløpet motta flere etterfølgende behandlingslinjer. Behandlingslandskapet for myelomatose er i rask utvikling, med hyppig introduksjon av nye legemidler, kombinasjonsregimer og sekvenseringsstrategier. Dette gjør det krevende å fastslå plassering av nye behandlinger i behandlingsalgoritmen samt relevant komparator, særlig i studier som inkluderer pasienter med flere tidligere behandlingslinjer. Det anslås av leverandør og i klinikerinnspill til anmodningen at rundt 200 pasienter årlig kan være aktuelle for behandling i henhold til aktuell indikasjon. Indikasjonsutvidelsen er basert på en Fase 3, randomisert, kontrollert studie som sammenligner teklistamab monoterapi med behandlingsregimene pomalidomid, bortezomib, deksametason (PVd) eller karfilzomib, deksametason (Kd) i pasienter med relapsert eller refraktær myelomatose etter 1-3 tidligere behandlingslinjer som inkluderte et anti-CD38 monoklonalt antistoff og lenalidomid (MajesTEC-9, NCT05572515). Randomiseringen er stratifisert etter

[1] Tecvayli - opinion on variation to marketing authorisation | European Medicines Agency (EMA)

	utprøvers valg av PVd eller Kd, ISS sykdomsstadium ved screening, refraktærstatus mot anti-CD38 behandling og antall tidligere linjer (1 vs. 2 eller 3). Primærendepunktet i studien er progresjonsfri overlevelse (PFS). Totaloverlevelse (OS) og helserelatert livskvalitet er inkludert som sekundære utfallsmål. Teklistamab monoterapi er tidligere innført i senere behandlingslinjer med redusert doseringsfrekvens relativt til studiedata og anbefalinger i preparatomtale (ID2022_113). Det pågår en metodevurdering av teklistamab i kombinasjon med daratumumab til behandling av pasienter med residiverende eller refraktær myelomatose som har fått minst én tidligere behandling (ID2026_017).
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Den pivotale, randomiserte og kontrollerte MajesTEC-9-studien vurderes i utgangspunktet som egnet for en helseøkonomisk analyse. Det er imidlertid utfordringer knyttet til den eksterne validiteten av komparatorbehandlingene som er benyttet i studien, sett opp mot norsk klinisk praksis. Nasjonale faglige retningslinjer for behandling av myelomatose er vanligvis omtalt i Handlingsprogram for Maligne blodsykdommer fra Helsedirektoratet, men kapitlet om Myelomatose er p.t. avpublisert i påvente av nødvendige oppdateringer. Det foreligger et handlingsprogram publisert på legeforeningens nettsider, sist oppdatert i oktober 2026. Anbefalt behandling i andre behandlingslinje (og senere) avhenger av tidligere behandling og refraktæritet. For å etablere relativ effekt av teklistamab mot relevante sammenligningsalternativer for norske pasienter, vil det være nødvendig med indirekte effektsammenligninger. På generelt grunnlag er slike sammenligninger forbundet med betydelig usikkerhet, økt risiko for systematiske skjevheter og mindre pålitelige effektestimater. Hvorvidt slike sammenligninger kan gi et tilstrekkelig robust grunnlag for helseøkonomiske analyser, vil måtte vurderes nærmere under metodevurderingen. Relevansen av slike analyser vil utfordres ytterligere av at noen av komparatorlegemidlene benyttes i annen dosering i norsk klinisk praksis enn den som er regulatorisk godkjent og studert i kliniske studier. **P:** I tråd med endelig godkjent indikasjon **I:** Teklistamab brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtale. **C:** Dagens standardbehandling. Flere behandlingsregimer kan være aktuelle, herunder ulike trippelkombinasjoner og CAR-T behandling (cilta-cel). **O:** Overlevelse, helserelatert livskvalitet, ressursbruk
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse).

Versjonslogg*	
Dato	**Hva**
03.11.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP

*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se Legemiddelsøk.no. Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.

Innspill til Nye metoder fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2026-050

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Cilta-cel er førstevalget, men mange får ikke dette pga begrensninger. Bela-Vd er vår standard i resterende pasienter i 2.linje, og Bela-Pd er vår standard i 3.linje (etter Isa-Kd, som de fleste har hatt de siste årene). En kombinasjon av cilta-cel, Bela-Vd og Bela-Pd bør være komparator.
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Ja. Teklistamab er nok et bedre medikament enn cilta-cel, og har mindre farlige bivirkninger. Teklistamab vil ikke komme i tillegg. De fleste pasienter får allerede teklistamab, men i en senere linje. Så dette er en flytting av teklistamab frem i pasientforløpet. Teklistamab kommer til å bli standard behandling for de fleste pasienter i gruppen.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Jeg synes anslaget til firmaet på 200 pasienter i året virker fornuftig.

4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Det foreligger data som tilsier at en kortere behandlingstid, enn til progresjon, kan være like bra. Kommentar til søknaden, pkt 10.6. Her er det skrevet 2 feil. Dette er teksten: Andrelinjebehandling for pasienter som ikke er refraktære mot anti-CD38. Det er 2 feil, faktisk. 1) "Ikke" er feil, og er nok en glipp. Det skal være pasienter som "er" refraktære. 2) "Refraktære" er heller ikke riktig. Det skal være "eksponerte
5. For metoder som ikke er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Jeg driver kliniske studier med alle firmaer som har medikamenter i myelomatose. Jeg tar internasjonale oppdrag for alle firmaer som driver med myelomatose, vanligvis advisory boards og foredrag, men også oppdrag i komitéer som independent response committees og data safety monitoring committees.

7. Avsender av faglig innspill

Fagmedisinsk forening	Norsk selskap for hematologi
Navn, stilling og arbeidsplass	Fredrik Schjesvold, Leder Oslo myelomatosesenter, OUS
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒

Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

NYE METODER

Saksnummer 151-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2026_057 Budesonid (Jorveza) til behandling av eosinofil øsofagitt (EoE) hos pediatriske pasienter i alderen 2 til 17 år.

Historikk:
- Budesonid smeltetablett er tidligere vurdert og innført til de over 18 år (ID2019_011) og vedlikeholdsbehandling (ID2021_103).
- Firma anmoder nå om ny administreringsform (mikstur) og aldersutvidelse.

Kort om metoden fra anmodningen:
- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er Falk Pharma Nordiska AB.
- Administrasjonsform: mikstur.
- Firma foreslår å avgrense vurderingen til en begrenset undergruppe av pasienter til indikasjonen, det vil si pediatriske pasienter i alderen 2-11 år.
- Dagens behandling: protonpumpehemmere (PPI), topikale kortikosteroider, eliminasjonsdietter og ved behov endoskopisk dilatasjon.
- Plass i behandlingen: aktuell som andrelinjebehandling etter utilstrekkelig effekt av protonpumpehemmere (PPI).
- Pasientgrunnlag: Firmaet anslår at om lag 230 barn i alderen 2–11 år og om lag 430 barn i alderen 2–18 år har EoE i Norge. Kun en mindre andel forventes å være aktuelle for behandling med budesonid (Jorveza).
- Forventet tidspunkt for levering av dokumentasjon til DMP/Sykehusinnkjøp: januar 2027.
- Type helseøkonomisk analyse: Firma foreslår en forenklet metodevurdering. Forslaget innebærer en beregning av behandlingskostnadene ved bruk av budesonid (Jorveza) mikstur, suspensjon, samt en enkel analyse av budsjettkonsekvenser.

Tilbakemelding fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) og Sykehusinnkjøp HF:
- DMP og Sykehusinnkjøp HF har anbefalt at anmodningen behandles i Bestillerforum for nye metoder uten ytterligere forarbeid, da legemidlet tidligere er metodevurdert og innført til voksne.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra pasientorganisasjon: 1 innspill fra Mage tarmforbundet.

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.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av): ☒

Fyll ut dato for innsending av skjema: 16.01.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Falk Pharma Nordiska AB
1.2 Navn kontaktperson	Hanh Meszaros
1.3 Stilling kontaktperson	Head of Market Access, Nordics
1.4 Telefon	+4670 346 74 04
1.5 E-post	hanh.meszaros@falkpharma.se
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? *Kryss av for hva anmodningen gjelder*	Et nytt virkestoff ☐ En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon ☐ En ny styrke eller formulering ☒
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen? *Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.*	Jorveza 0,2 mg/ml mikstur, suspensjon er indisert til behandling av eosinofil øsofagitt (EoE) hos pediatriske pasienter i alderen 2 til 17 år. Falk Pharma Nordics

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.	propose the reimbursement to be restricted to a subpopulation of the EMA indication, for paediatric patients from age 2-11 years of age. The corticosteroid formulations currently available on the Norweigan market are used off label and not optimal for paediatric patients, especially those under 12 years of age. This highlights a significant medical need for a formulation tailored to address the unmet requirements in paediatric populations with EoE
2.3 Handelsnavn	Jorveza
2.4 Generisk navn/virkestoff	Budesonide
2.5 ATC-kode	A07EA06
2.6 Administrasjonsform og styrke *Oppgi også forventet dosering og behandlingslengde* *Skriv kort*	0.2 mg/mL oral suspension *Induction of remission* The usual duration of induction treatment is 12 weeks. For patients who are not appropriately responding within 12 weeks, the treatment can be extended to up to 24 weeks. *Children 2 to 11 years of age* The recommended daily dose is 1 mg budesonide to be administered as two separate doses per day: one dose of 2.5 mL suspension (corresponding to 0.5 mg budesonide) in the morning and one dose of 2.5 mL suspension (corresponding to 0.5 mg budesonide) in the evening. *Maintenance of remission* The duration of maintenance therapy is determined by the treating physician. *Children 2 to 11 years of age* The recommended daily dose is 0.5 mg budesonide to be administered as one dose of 2.5 mL suspension (corresponding to 0.5 mg budesonide) in the morning, depending on the individual clinical requirement of the patient. A maintenance dose of 0.5 mg budesonide twice daily is recommended for patients with a long-standing disease history and/or high extent of oesophageal inflammation in their acute disease state.

2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. *Skriv kort*	Pharmacotherapeutic group: Antidiarrheals, intestinal anti-inflammatory/anti-infective agents, corticosteroids acting locally. Mechanism of action: Budesonide (a locally acting corticosteroid) is a non-halogenated glucocorticosteroid, which acts primarily anti-inflammatory via binding to the glucocorticoid receptor. In the treatment of EoE with Jorveza, budesonide inhibits antigen-stimulated secretion of many pro-inflammatory signal molecules such as thymic stromal lymphopoeitin, interleukin-13 and eotaxin-3 in the oesophageal epithelium, which results in a significant reduction of the oesophageal eosinophilic inflammatory infiltrate. Budesonide offers a favourable benefit–risk profile because of its high first-pass hepatic metabolism and local action resulting in low systemic bioavailability and a reduced risk of corticosteroid-related adverse effects.

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*	Ja ☒ Nei ☐ ID-nummer: ID2019_011 ID2021_103
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: 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? *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: 8. januar 2018
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/X/0000257468
	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: 27.09.2022; EU/1/17/1254/012
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.*	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? *Hvis ja, fyll ut dato*	Ja ☒ Nei ☐ Dato for «orphan drug designation»: 05.08.2013

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	Ja ☐ Nei ☒ Kommentar:

tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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*	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: 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? *Hvis nei, begrunn kort*	Ja ☐ Nei ☒ Begrunnelse: The product is a new pharmaceutical form associated with a new strength intended for a paediatric indication.

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*	Jorveza 0.2 mg/ml oral suspension (OS) serves as an extension to Jorveza oral dispersed tablets (ODT), targeting the same disease but intended for a pediatric population. Falk Pharma Nordics propose simplified assessment (forenklet metodevurdering); instead of a full health economic analysis: consisting of estimation of the costs for treatment with Jorveza (budesonide) oral suspension and a simple budget

	impact analysis. This proposal aligns with the assessments conducted for Jorveza (budesonide) ODT (ID2021_103 and ID2019_011). Given the small patient population, minimal budget impact, and the substantial need for a child-appropriate formulation to improve quality of life for both children and their families, a streamlined assessment method is deemed most appropriate.
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Falk Pharma Nordics propose restricted reimbursement to a subpopulation aged 2–11 years. The currently available formulations on the Norwegian market—both topical steroids as inhaled suspension or aerosol—are unsuitable for paediatric use, especially those under 12 years of age. This highlights a significant medical need for a formulation tailored to address the unmet requirements in paediatric populations with EoE.
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.*	H2H
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	For the subpopulation of 2-11 years old, the projection estimates to peak in year 5 with stabilization at appro. 3 million NOK per year (based on estimated maks AIP) For the ITT-population (<18years), the budget impact peak in year 5 is estimated to be around 6 million NOK per year (based on estimated maks AIP)
9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF. *Tidspunkt må oppgis*	Januari 2027

10 Sykdommen og eksisterende behandling

10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon *Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser*	Eosinophilic oesophagitis (EoE) is a chronic, immune-mediated, antigen-triggered inflammatory disease of the oesophagus characterized by symptoms of oesophageal dysfunction and histologically by eosinophil-predominant inflammation (1). EoE persists throughout life, requiring ongoing management to maintain remission. If left untreated, persistent eosinophilic inflammation can lead to progressive tissue remodelling, including subepithelial fibrosis and oesophageal strictures. The disease can transition from an inflammatory to a fibrostenotic phenotype over time and this can translate into recurrent bolus obstruction, emergency endoscopy and, in fibrostenotic disease, oesophageal dilatation. This progression underscores the importance of early and effective anti-inflammatory treatment to prevent long-term complications (1). EoE significantly impacts quality of life. Children may experience failure to thrive, anxiety around eating, and social limitations due to dietary restrictions. Adolescents and adults report food impactions requiring emergency intervention and adapt their eating habits to cope with symptoms. Delayed diagnosis can further exacerbate emotional and physical burden due to the risk of complications and the chronic nature of the disease (1,2,3) Symptoms The clinical manifestations of EoE are age-dependent. The youngest children most often have symptoms reminiscent of gastroesophageal reflux—poor feeding and failure to thrive in infancy, followed by regurgitation, vomiting, and abdominal pain. In older children, the symptoms resemble those seen in adults. Adolescents typically present with dysphagia and food impaction. In adults, over 90% report dysphagia with solid foods, either intermittent or chronic, and up to 60% first seek medical care due to food becoming stuck in the esophagus. About one-fifth of adults also experience heartburn (1,2,3). Reference: 1. https://www.ema.europa.eu/en/documents/variation-report/jorveza-x-0000257468-epar-assessment-report_en.pdf

	2. https://tidsskriftet.no/2011/12/oversiktsartikkel/eosinofil-osofagitt 3. https://www.helsebiblioteket.no/innhold/retningslinjer/pediatri/generell-veileder-i-pediatri/5.mage-tarm-lever-og-ernaering/5.16-eosinofil-osofagitt
10.2 Fagområde *Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden*	Velg fagområde fra menyen: Mage- og tarmsykdommer
10.3 Kreftområde *Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt*	Velg kreftområde fra menyen: Velg et element.
10.4 Dagens behandling *Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse*	Norwegian EoE treatment options for pediatrics include proton pump inhibitors (PPI), topically applied corticosteroids, elemental and empirical six-food elimination diets and endoscopic dilation. 1. Treatment with PPIs are recommended as first line treatment. 2. If remission is not achieved through PPI therapy, topical corticosteroids or elemental and empirical six-food diets are both effective and safe treatment. After completing treatment with topical steroids, many patients will experience a recurrence of symptoms. 3. In cases of significant esophageal stricture, esophageal dilation may be necessary. The treatment can provide symptom relief when the disease has led to significant narrowing of the esophagus despite adequate treatment. Reference: 1.https://www.helsebiblioteket.no/innhold/retningslinjer/pediatri/generell-veileder-i-pediatri/5.mage-tarm-lever-og-ernaering/5.16-eosinofil-osofagitt 2.https://tidsskriftet.no/2011/12/oversiktsartikkel/eosinofil-osofagitt
10.5 Prognose *Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse*	Both reflux disease and EoE can coexist—the conditions are closely linked, and both have several characteristics that increase the likelihood of developing the other condition as well. An estimated

	proportion up to 50% of patients achieve symptomatic improvement with PPIs (1). Histological response with PPI observed in 30-68.6% of the children (EoE) (1,2). In cases of EoE, where PPIs have no effect, patients essentially have two options: topical steroids or diet. a. Current available topical steroid treatments in Norway are off-label for children, as their formulations are not specifically designed for paediatric use. Off-label oral corticosteroids in the form of compounded slurries or repurposed inhalers raise concerns about dosing errors and inconsistent treatment outcomes, palatability contributing to poor adherence and increased caregiver burden (3). Jorveza ODT is considered unsuitable for younger children due to the risk of swallowing and aspiration - the risk that the tablet enters the airway and lungs instead of the oesophagus during swallowing. A meta-analysis to evaluate the histologic and clinical effectiveness of the use of corticosteroids in pediatric patients with a diagnosis of EoE by Munoz-Osores et al, showed that histologic response was 49.25% in the corticosteroids group and 4.16% in the placebo group (risk ratio 11.05 [confidence interval 3.8-32.15]; P < .0001). Symptomatic response was 33.6% in the corticosteroids group and 21.8% in the control group (risk ratio 1.62 [confidence interval 0.94-2.79]; P =0.08) (4). It is widely recognised that many patients with EoE experience symptom recurrence following the cessation of topical steroid therapy (1). Maintenance treatment sustains remission and may prevent progressive tissue remodelling, including subepithelial fibrosis and oesophageal strictures. b. Although food antigens play a role in the pathogenesis of EoE, the disease is not a food allergy and should not be conflated with IgE-mediated food allergy (IgE-FA). EoE is a chronic, immune-mediated inflammatory disease of the oesophagus, driven predominantly by cell-mediated type 2 (Th2) immune responses, with delayed symptom onset and no reliable IgE-based diagnostic markers (5).

	Elemental and empirical six-food elimination diets are effective treatment option but are often difficult to maintain and associated with reduced quality of life for children and their caregivers. It has proven difficult to identify the specific foods that cause eosinophilic esophagitis. Mayerhofer C et al systematically assessed the efficacy of 4 major dietary treatment regimens in EoE. The overall rate of histologic remission was 53.8% (95% CI, 48.0%–59.6%), Diet regimen and patient age did not significantly affect rates of histologic remission. The overall rate of clinical response was 80.8% (95% CI, 72.3%–88.2%) (6). The efficacy results directly correlate with the type of diet (elemental, 6 food v, 4 food, 2 food vs. 1 food elimination diet). The stricter the approach the better efficacy but strict diet can be demanding for the patient and their caregivers and requires close follow-up with a registered dietitian to avoid malnutrition and ensure adequate caloric intake. Unmet Needs and Treatment Gaps: No medicinal product (topical corticosteroids) was authorized in the Norway specifically for pediatric EoE. Off-label use of inhaled corticosteroids in liquid or slurry form lacks regulatory oversight and standardization, raising concerns about safety, efficacy, and dosing accuracy (3). A recent (2024) web-based US survey has reported low adherence rates in adolescents of 11-17 years with EoE (37.1%) (7). There is a clear need for a pediatric formulation that ensures optimal esophageal delivery, is well tolerated, and offers predictable pharmacokinetics and therapeutic outcomes. Reference: 1. 5.16 Eosinofil øsofagitt - Helsebiblioteket: https://www.helsebiblioteket.no/innhold/retningslinjer/pediatri/generell-veileder-i-pediatri/5.mage-tarm-lever-og-ernaering/5.16-eosinofil-osofagitt 2. Gutiérrez-Junquera C, F.-F. S. (2016). High Prevalence of Response to Proton-pump Inhibitor Treatment in Children With Esophageal Eosinophilia. J Pediatr Gastroenterol Nutr, 62(5):704-10. doi: 10.1097/MPG.0000000000001019. PMID: 26513622.

	3. Amil-Dias, J et al. (2024). Diagnosis and management of eosinophilic esophagitis in children: An update from the European Society for Paediatric Gastroenterology, Hepatology and Nutrition (ESPGHAN). J Pediatr Gastroenterol Nutr , 79, 394–437. https://doi.org/10.1002/jpn3.12188. 4. Munoz-Osores E, M.-C. I.-L. (2020). Corticosteroids for Eosinophilic Esophagitis in Children: A Meta-analysis. Pediatrics., 146(5):e20200874. doi: 10.1542/peds.2020-0874. PMID: 33115796. 5. Burk, C.M., Shreffler, W.G., 2024. Triggers for eosinophilic esophagitis (EoE): The intersection of food allergy and EoE. J Allergy Clin Immunol 153, 1500–1509. https://doi.org/10.1016/j.jaci.2024.04.010 6. Mayerhofer C, K. A. (2023). Efficacy of Elimination Diets in Eosinophilic Esophagitis: A Systematic Review and Meta-analysis. Clin Gastroenterol Hepatol. , 21(9):2197-2210.e3. doi: 10.1016/j.cgh.2023.01.019. 7. Gold, B.D., Goodwin, B., Davis, K., Sweeney, C., Ziemiecki, R., Jiang, J., Fan, T., Boules, M., Chen, S.-T., Katzka, D.A., 2025. Satisfaction With and Adherence to Off-Label Corticosteroids in Adolescents and Adults With Eosinophilic Esophagitis: Results of a Web-Based Survey in the United States. Journal of Clinical Gastroenterology 59, 138. https://doi.org/10.1097/MCG.0000000000002006
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
10.7 Pasientgrunnlag *Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.*	The incidence appears to be between 0,1 and 0,5 per 100,000 in the pediatric population, but the figures vary widely (1).

Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen. ** Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives*	There are no available prevalence data for the pediatric population in Norway; however, based on figures from Sweden (2) and Denmark (3), the average prevalence is estimated at 35 per 100,000. Using this estimate, there are approximately 230 eligible patients aged 2–11 years, and around 430 eligible patients aged 2–18 years. Please note that only a small proportion of these patients are expected to actually receive treatment with Jorveza suspension (second line to PPIs). References: 1. https://www.helsebiblioteket.no/innhold/retningslinjer/pediatri/generell-veileder-i-pediatri/5.mage-tarm-lever-og-ernaering/5.16-eosinofil-osofagitt 2. Plate J, Söderbergh T, Bergqvist J, Lingblom C, Bergquist H, Larsson H. Eosinophilic esophagitis prevalence, incidence, and presenting features: a 22-year population-based observational study from southwest Sweden. Dis Esophagus. 2025 Jan 7;38(1):doae025. doi: 10.1093/dote/doae025. PMID: 38525937; PMCID: PMC11734667. 3. Allin KH, Poulsen G, Melgaard D, Frandsen LT, Jess T, Krarup AL. Eosinophilic oesophagitis in Denmark: Population-based incidence and prevalence in a nationwide study from 2008 to 2018. United European Gastroenterol J. 2022 Sep;10(7):640-650. doi: 10.1002/ueg2.12273. Epub 2022 Sep 15. PMID: 36106558; PMCID: PMC9486498.

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier

	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID *Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke*	BUU-5/EEA (PEDEOS-1) EudraCT number: 2017-003737-29	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.2 Studietype og -design	The PEDEOS-1 trial was a pivotal, Phase II/III, randomized 1:1:1 ratio to receive high-dose JOS (JOS-H), low-dose JOS (JOS-L), or matching placebo during the double-blind induction phase, placebo-controlled,	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	multicentre study. Randomisation was stratified by age, reflecting clinically meaningful differences in symptom presentation and dosing requirements across the paediatric age spectrum. Patients were stratified into two predefined age groups at baseline: • Stratum I: children 2 to 11 years • Stratum II: adolescents 12 to <18 years Screening period: up to 4 weeks, including endoscopy with oesophageal biopsies and confirmation of active EoE by a central pathologist. Double-blind (DB) induction phase: 12 weeks of treatment with JOS or placebo Open-label induction (OLI) phase (optional): 12 weeks of active JOS for all (JOS and placebo arms) eligible patients without adequate response during the DB phase. Open-label extension (OLE) phase (optional): 24 weeks of JOS in patients achieving histological and clinical response Tapering phase: 3 weeks of dose reduction		

	Follow-up phase: 4 weeks post-treatment safety follow-up		
11.3 Formål	The primary objective of the study was to prove superior efficacy of JOS compared to placebo in children and adolescents with EoE. Secondary objectives were to further assess efficacy and to study safety and tolerability.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.4 Populasjon *Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier*	PEDEOS-1 enrolled children and adolescents aged ≥2 to <18 years with a confirmed clinico-pathological diagnosis of active EoE according to established diagnostic criteria (clinical symptoms, histology and endoscopic features). Key inclusion criteria additionally included clinically relevant symptoms, assessed using age-appropriate patient- or caregiver-reported instruments. Patients were required to have disease severity warranting treatment with a swallowed topical corticosteroid.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	Key exclusions were alternative causes of oesophageal eosinophilia, clinically significant oesophageal complications, recent use of systemic immunosuppressive therapies, and changes to background EoE management during the double-blind phase.		
11.5 Intervensjon (n) *Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet*	During the double-blind induction phase, patients received one of the following regimens for 12 weeks: Age stratum I: children 2 to 11 years • High-dose JOS; 0,5mg budesonide (2,5 ml) in the morning and evening. • Low-dose JOS ; 0,5 mg budesonide (2,5ml) in the morning. Placebo in the evening (2,5ml). Age stratum II: Adolcents 12 to <18 years • High-dose JOS; 1 mg budesonide (5 ml) in the morning and evening. • Low-dose JOS ; 1 mg budesonide (5	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	ml) in the morning. Placebo in the evening (5ml). Dosing volumes and budesonide exposure were adapted according to age stratum, ensuring weight- and age-appropriate delivery while maintaining blinding across treatment arms.		
11.6 Komparator (n) *Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet*	Placebo was selected as the comparator because no medicinal product was approved for paediatric EoE at the time of study initiation. Placebo oral suspension for 12 weeks. Dosing of 2,5ml in the morning and 2,5ml in the evening.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.7 Endepunkter	Primary endpoint:	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling	The primary efficacy endpoint was assessed at Week 12 of the double-blind phase, combining histological remission and clinical response. Histological remission defined as a peak of <16 eos/mm² hpf at DB week 12 (Last Observation Carried Forward (LOCF)). Clinical response defined as ≥30% reduction in the total score of PEESS Version 2.0 For Stratum I: Age 2 to 11 years: parent-reported assessments For Stratum II: Age 12 to <18 years: patient-reported assessments Key secondary endpoint: 1. Rate of patients with histological remission: Defined as a peak of <16 eos/mm² hpf at DB week 12 (Last Observation Carried Forward [LOCF]) 2. Change in the peak eos/mm² hpf 3. Rate of patients with clinico-histological remission 4. Rate of patients with clinical remission 5. Rate of patients with clinical response at DB week 12 (LOCF) 6. Resolution of dysphagia symptoms		

11.8 Relevante subgruppeanalyser *Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser*	Subgroup analysis for patients in age stratum 1 (Age 2 to 11 years)	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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*	End of trial date 1 Aug 2023.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.10 Tidsperspektiv resultater *Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt*	Results published in EU Clinical trial register on the 5th April 2025.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.11 Publikasjoner *Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon*	PEDEOS-1 (BUU-5/EEA) study: EU Clinical trial register, Aug 2023 (EU-CTR, 2025) EudraCT Number: 2017-003737-29 Dr. Falk Pharma GmbH, 2026. JOS SmPC.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	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? *Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt*	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? *Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene*	Ja ☐ Nei ☒
13.2 Er testen etablert i klinisk praksis? *Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?*	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? *Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?*	Ja ☐ Nei ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)	
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? *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	Ja ☐ Nei ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
14.3 Andre relevante opplysninger?	Falk Pharma Nordics would like to schedule a pre-submission meeting with DMP secretariat to discuss the clinical evidence package and align on the assessment process ahead of our planned reimbursement application in January 2027. For the proposed subpopulation of 2-11 years old, the projection estimates to peak at year 5 at appro. 3 million NOK per year (based on estimated maks AIP). Given the small number of patients, minimal budget impact, and the high unmet need for a child-friendly formulation to improve the quality of life for children with EoE and their families, we believe that a streamlined assessment process is the most effective approach for assessing Jorveza 0.2mg/ml oral suspension (also consistent with previous assessment Jorveza ODT for adults) A meta-analysis by Muñoz-Osores et al. evaluating the histological and clinical effectiveness of corticosteroids in pediatric patients with EoE demonstrated a histological response rate of 49.3% in the corticosteroid-treated group compared with 4.2% in the placebo group (risk ratio 11.05; 95% CI 3.8-32.15; p<0.0001). Jorveza ODT are only approved for adults, the formulation requires specific administration techniques to ensure adequate mucosal contact time in the esophagus. The tablet must be retained in the oral cavity and allowed to dissolve completely before swallowing. Premature swallowing may reduce esophageal exposure and consequently decrease treatment effectiveness. Although there

	may be clinical experience with Jorveza ODT in some pediatric patients, younger children, particularly those below 12 years of age, may have limited ability to comply with these administration requirements. The phase II/III BUU-5 study evaluating Jorveza Oral Suspension (JOS) versus placebo in children and adolescents with EoE demonstrated a histological response rate of 88.5% in the treatment group compared with 0% in the placebo group ($p<0.0001$). In the key subgroup of children aged 2-11 years, the histological response rate was 91.7% versus 0% for placebo ($p<0.0001$; 98.75% CI: 71.74-100.00). Considering the efficacy demonstrated in BUU-5, together with the need for an age-appropriate formulation, we believe that Jorveza oralsSuspension could provide a valuable addition to the Norwegian treatment arseenal for pediatric EoE. It has the potential to address a significant unmet medical need and expand treatment options for children and families affected by this chronic disease. We would appreciate the opportunity to discuss the proposed submission strategy and assessment pathway with the DMP Secretariat and look forward to your guidance. 1. Munoz-Osores E, M.-C. I.-L. (2020). Corticosteroids for Eosinophilic Esophagitis in Children: A Meta-analysis. . Pediatrics., 146(5):e20200874. doi: 10.1542/peds.2020-0874. PMID: 33115796. 2. PEDEOS-1 (BUU-5/EEA) study: EU Clinical trial register, Aug 2023 (EU-CTR, 2025) EudraCT Number: 2017-003737-29

Nye metoder: Innspill til metoder, oppdrag og beslutninger

Bruk dette skjemaet for å gi innspill til metoder i Nye metoder uansett hvor de befinner seg i prosessen. Skjemaet skal for eksempel brukes hvis du har innspill til en metode i en anmodning eller et forslag som skal behandles i Bestillerforum for nye metoder. Det skal også brukes for innspill til oppdrag som er gitt av Bestillerforum, og for innspill til beslutninger som er tatt.

Det er generelt ønskelig at innspill kommer inn så tidlig som mulig i prosessen, gjerne før metoden behandles i Bestillerforum.

Utfylt skjema sendes til Sekretariatet for Nye metoder; nyemetoder@helse-sorost.no. Merk e-posten med "innspill" og ID-nummer.

Merk: **Punkt 1-3 og 11 skal fylles ut av alle.** Øvrige punkter fylles ut avhengig av hva innspillet gjelder.

Jeg er klar over at skjemaet kan bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av): ☒

Har du informasjon du mener ikke kan offentliggjøres, ta kontakt med sekretariatet før innsending**.**

Jeg har fylt ut punkt 11 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av): ☒

1.Hvilken metode gjelder innspillet?	
ID-nummer*:	ID2026_057
Metodens navn:	Budesonid (Jorveza) mikstur, til behandling av eosinofil øsofagitt (EoE) hos barn og ungdom fra 2 til 17 år

*ID-nummer finner du på metodesiden på nyemetoder.no og har formen ID2024_XXX.

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Mads Johansson
Eventuell organisasjonstilhørighet/arbeidsplass/firma	Mage-tarmforbundet
Kontaktinformasjon - e-post og telefon	mads.johansson@magetarm.no / 97 95 61 16

3. Innspill til metode, oppdrag, eller beslutning (besvares av alle)
Skriv kort og oppsummer gjerne hovedpoenget.

Innspill fra Mage-tarmforbundet vedrørende budesonid (Jorveza) ved eosinofil øsofagitt hos barn og ungdom (ID2026_057)

Mage-tarmforbundet representerer mennesker som lever med mage-tarmsykdommer over hele landet, også barn og unge med eosinofil øsofagitt og familiene deres. Vi ønsker med dette å bidra med et pasientperspektiv i forbindelse med anmodningen om budesonid (Jorveza) som mikstur til barn og ungdom med eosinofil øsofagitt.

Vi kommenterer ikke prisnivå eller kommersielle forhold, men ønsker å belyse hva mangelen på godkjent og alderstilpasset behandling betyr for barna og familiene som lever med sykdommen.

Eosinofil øsofagitt rammer hverdagen og måltidene

Eosinofil øsofagitt er en kronisk betennelsessykdom i spiserøret. Hos barn kan sykdommen gi oppkast, magesmerter, svelgevansker, matvegring og problemer med vekst og trivsel [1]. Eldre barn og ungdom kan oppleve at maten setter seg fast i spiserøret, noe som kan være skremmende og i verste fall kreve akutt behandling [1].

Når det å spise gir ubehag eller smerter, er det grunn til å tro at sykdommen også kan prege måltidene og hverdagen, både hjemme, i barnehagen, på skolen og i sosiale sammenhenger der mat er en naturlig del. Vi kan også se for oss at mange foreldre bekymrer seg for om barnet får i seg nok mat.

Barn har i dag ikke tilgang til en godkjent behandling i en form de kan bruke

Lokalt virkende kortikosteroider er en sentral behandling ved eosinofil øsofagitt. Budesonid som smeltetablett er godkjent og innført for voksne i Norge (ID2019_011 og ID2021_103) [3], men er ikke godkjent for barn. Tabletten skal løses opp i munnen før den svelges, og det kan være vanskelig for barn. For barn og ungdom fra 2 til 17 år er budesonid godkjent i EU som mikstur [4], men miksturen er ifølge anmodningen ikke markedsført i Norge.

Ifølge fagartikler får barn med eosinofil øsofagitt i dag kortisonmedisiner som ikke er godkjent for denne bruken, for eksempel flutikason som sprayes i munnen og svelges, eller budesonid som blandes til en tyktflytende væske [1, 2]. Fra et pasient- og pårørendeperspektiv kan dette gi usikkerhet om dosering, utfordringer med smak og etterlevelse og en ekstra belastning for foreldrene.

En godkjent mikstur med dokumentert effekt og fast dosering vil gi barna en legemiddelform tilpasset dem, med tydeligere veiledning om dosering og bruk, og større trygghet for familiene.

Barn bør ha samme tilgang til dokumentert behandling som voksne

Når budesonid allerede er innført som behandling for voksne med eosinofil øsofagitt, er det vanskelig for familiene å forstå hvorfor barn skal være henvist til løsninger utenfor godkjent bruk. Vi mener barn og unge bør ha tilgang til en godkjent og alderstilpasset legemiddelform av den samme behandlingen.

God sykdomskontroll tidlig kan forebygge senskader

Ifølge fagartikler kan tidlig behandling forebygge komplikasjoner som innsnevringer og fastsittende mat i spiserøret [1]. For barn med et langt liv med sykdommen foran seg er det derfor særlig viktig med effektiv behandling som de klarer å bruke over tid.

Effektiv medisinsk behandling kan også være et viktig alternativ for barn og familier der eliminasjonsdietter er krevende å gjennomføre.

Rask vurdering for hele aldersgruppen

Vi støtter at budesonid mikstur får en rask vurdering for hele aldersgruppen den er godkjent for, 2 til 17 år. Vi registrerer at leverandøren foreslår at refusjonen avgrenses til barn fra 2 til 11 år. Siden smeltetabletten bare er godkjent for voksne, har heller ikke ungdom fra 12 til 17 år et godkjent alternativ i dag. Vi ber derfor om at også denne gruppen tas med i vurderingen, men det bør ikke forsinke behandlingen av saken for de yngste barna.

Pasientperspektivet bør tillegges vekt

Pasientgruppen er liten, og behovet er tydelig. Mage-tarmforbundet støtter derfor at saken håndteres raskt, og ber om at barnas behov for en godkjent, trygg og alderstilpasset behandling, og hensynet til likebehandling med voksne pasienter, tillegges vekt når Bestillerforum skal behandle saken.

Kilder

[1] Holme Ø, Tjora E, Aabakken L. Eosinofil øsofagitt. Tidsskr Nor Legeforen 2011; 131: 2470–4. https://tidsskriftet.no/2011/12/oversiktsartikkel/eosinofil-osofagitt

[2] Simeoli R, Lava SAG, Di Deo A, mfl. Pharmacokinetic Evaluation of Oral Viscous Budesonide in Paediatric Patients with Eosinophilic Oesophagitis in Repaired Oesophageal Atresia. Pharmaceutics 2024; 16(7): 872. https://doi.org/10.3390/pharmaceutics16070872

[3] Direktoratet for medisinske produkter. Egnethetsvurdering ID2026_010 Dupixent (dupilumab) ved eosinofil øsofagitt, 15.04.2026 (sak 062-26 i Bestillerforum for nye metoder). https://www.nyemetoder.no/49941e/contentassets/ebca8c2932444783a30e0a88380d2607/sak-062-26.-ev---id2026_010---dupilumab-dupixent----eoe.pdf

[4] European Medicines Agency (EMA). Jorveza (budesonid) – EPAR, preparatomtale og godkjent indikasjon. https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/jorveza

Mer detaljert informasjon og innspill til PICO*

*PICO er et verktøy for å formulere presise problemstillinger i metodevurderingsarbeid. PICO er en forkortelse for Population/Problem – Intervention – Comparison – Outcome. PICO brukes til å presisere hvilken populasjon/problem som skal studeres, hvilke(t) tiltak (metode/behandling) som skal vurderes, hvilket tiltak det er naturlig å sammenligne med, og hvilke utfall/endepunkter det å er relevant å måle/vurdere. PICO er viktig for planlegging og gjennomføring av en metodevurdering.

4. Kjenner du til om metoden er i bruk i Norge i dag?

Er metoden i bruk utenom kliniske studier i dag (kryss av hvis ja): ☐
Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
Hvor er eventuelt metoden i bruk: Vi er ikke kjent med at budesonid mikstur er i bruk i Norge i dag. Legemiddelformen er godkjent i EU, men er ifølge anmodningen ikke markedsført i Norge. Budesonid smeltetablett (Jorveza) er innført for voksne.

5. Hvilken pasientgruppe i den norske spesialisthelsetjenesten er metoden aktuell for? (PICO)

Beskriv kortfattet: Barn og ungdom fra 2 til 17 år med eosinofil øsofagitt, særlig de som ikke har tilstrekkelig effekt av protonpumpehemmere (syrehemmende medisin) [3]. Smeltetabletten er bare godkjent for voksne, så hele aldersgruppen mangler i dag tilgang til en godkjent behandling i en form de kan bruke.

6. Er du kjent med behandlingsalternativer til denne metoden og hvordan disse fungerer for pasientgruppen i dag? (PICO)

Beskriv kortfattet: Protonpumpehemmere (syrehemmende medisin) er vanligvis det første som prøves. Ifølge Direktoratet for medisinske produkter får 30–40 prosent av pasientene kontroll over betennelsen med dette, men mange trenger annen behandling [3]. Kortisonmedisiner som ikke er godkjent for denne bruken hos barn, for eksempel flutikason som sprayes i munnen og svelges, eller budesonid som blandes til en tyktflytende væske, brukes i dag [1, 2]. Eliminasjonsdietter og utvidelse av spiserøret er også aktuelt for noen. Dagens løsninger kan oppleves som usikre og belastende, særlig når det gjelder dosering, smak og etterlevelse.

7. Har du innspill til hva som vil være viktig for pasienter som er aktuelle for behandling med metoden? (PICO)

Hva kan oppfattes som en fordel for pasienter og brukere med denne metoden sammenlignet med aktuelle alternativer? Hvilke endepunkter/resultater av behandlingen er det aktuelt å måle? Beskriv kortfattet: Se utfyllende beskrivelse i punkt 3. For barn og familier er det særlig viktig med:
– symptomkontroll og mulighet til å spise normalt, uten smerter, oppkast eller frykt for at maten setter seg fast
– normal vekst, ernæring og trivsel
– færre endoskopier, utvidelser av spiserøret og akutte hendelser
– en legemiddelform med god smak og enkel, sikker dosering som barnet klarer å bruke over tid
– mindre behov for strenge eliminasjonsdietter
– livskvalitet for barnet og familien, og mulighet til å delta i barnehage, skole og sosiale aktiviteter

8. Spesielt for medisinsk utstyr (besvares av leverandør): CE-merking

Foreligger det CE-merking for bruksområdet som beskrives i metoden? I så fall angi type og tidspunkt:Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

9. Spesielt for legemidler (besvares av leverandør): Markedsføringstillatelse (MT)
Har legemiddelet MT for indikasjonen som omfattes av metoden? Angi i så fall tidspunkt eller ventet tidspunkt for MT: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

10. Andre kommentarer
Mage-tarmforbundet bidrar gjerne med ytterligere pasient- og pårørendeperspektiv i det videre arbeidet med saken.

11. Interesser og eventuelle interessekonflikter Beskriv dine relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).
Beskriv kortfattet: Mage-tarmforbundet mottar begrenset støtte fra flere legemiddelselskaper, blant annet gjennom annonser i medlemsbladet og støtte til arrangementer. CSL Vifor (Vifor Pharma Nordiska AB), som har representert Dr. Falk Pharma og markedsført Jorveza i Norden, har hatt annonser i medlemsbladet, men har ikke gitt støtte til arrangementer. Støtten er ikke knyttet til denne saken, og innspillet er utarbeidet av Mage-tarmforbundet på selvstendig grunnlag.

NYE METODER

Saksnummer 152-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning: ID2026_058 Upadacitinib (Rinvoq) i monoterapi eller i kombinasjon med metotreksat til behandling av aktiv polyartikulær juvenil idiopatisk artritt (pJIA; polyartritt som er reumatoid faktor-positiv eller negativ, og utvidet oligoartritt) hos pasienter fra 2 år og oppover, som har hatt utilstrekkelig respons på tidligere behandling med konvensjonelle syntetiske DMARDs (csDMARDs)

Kort om metoden fra anmodningen:

- Den som anmoder om vurdering av legemidlet er AbbVie.
- Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse samt en ny formulering og styrke. Nye metoder har tidligere behandlet flere metoder med det aktuelle virkestoffet.
- Leverandøren er kjent med at flere andre legemidler er vurdert i Nye metoder for samme indikasjon, herunder legemidlene i ID2021_052, ID2018_102 og ID2024_035.
- Leverandøren vurderer at det finnes andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og/eller tilsvarende effekt for den aktuelle indikasjonen. Det finnes en annen JAK-hemmer tofacitinib (Xeljanz) og tillegg finnes det biologiske DMARDs som TNF-hemmere (f.eks. adalimumab) og IL-6-hemmere (f.eks. tocilizumab) som brukes i samme behandlingslinje.
- Leverandøren vurderer at legemidlet i anmodningen er sammenlignbart med legemidler som allerede er innført i Nye metoder for samme indikasjon, herunder legemidlene i metodene ID2021_052 og ID2018_102. Leverandør vurderer også at upadacitinib er sammenlignbart med andre relevante avanserte behandlingsalternativer som benyttes i samme behandlingslinje ved pJIA, herunder TNF-hemmere som adalimumab og etanercept.
- Kommentar til anbud: Legemiddelet vil være aktuelt for LIS-anbudet for TNF-BIO.
- Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse i Norge: September 2026
- Type helseøkonomisk analyse: Foreslår et prisnotat. Begrunner dette med at upadacitinib vurderes opp mot etablerte behandlingsalternativer i samme behandlingslinje ved pJIA, særlig tofacitinib og andre relevante avanserte behandlingsalternativer, og at tilgjengelig dokumentasjon kan danne grunnlag for en vurdering av relativ effekt og sikkerhet.

Tilbakemelding fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) og Sykehusinnkjøp HF:

- DMP og Sykehusinnkjøp HF har anbefalt at anmodningen behandles i Bestillerforum for nye metoder uten ytterligere forarbeid, da andre legemidler med tilsvarende virkningsmekanisme allerede er innført.

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.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av): ☒

Fyll ut dato for innsending av skjema: 07.09.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	AbbVie
1.2 Navn kontaktperson	George Keel
1.3 Stilling kontaktperson	HTA/HEOR Manager
1.4 Telefon	+46 (0)76 696 30 62
1.5 E-post	george.keel@abbvie.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*	Et nytt virkestoff ☐ En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon ☒ En ny styrke eller formulering ☒
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Norsk: Upadacitinib er indisert for behandling av aktiv polyartikulær juvenil idiopatisk artritt (pJIA; polyartritt som er reumatoid faktor-positiv eller negativ, og utvidet oligoartritt) hos pasienter fra 2 år og oppover, som har

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.*	hatt utilstrekkelig respons på tidligere behandling med konvensjonelle syntetiske DMARDs (csDMARDs). Upadacitinib kan brukes som monoterapi eller i kombinasjon med metotreksat (MTX). English: Upadacitinib is indicated for the treatment of active polyarticular juvenile idiopathic arthritis (pJIA; rheumatoid factor positive or negative polyarthritis and extended oligoarthritis) in patients 2 years of age and older, who have responded inadequately to previous therapy with conventional synthetic DMARDs (csDMARDs). Upadacitinib may be used as monotherapy or in combination with MTX.
2.3 Handelsnavn	Rinvoq
2.4 Generisk navn/virkestoff	Upadacitinib
2.5 ATC-kode	L04AF03
2.6 Administrasjonsform og styrke *Oppgi også forventet dosering og behandlingslengde* *Skriv kort*	Peroral administrasjon. 1. Mikstur, oppløsning: 1 mg/ml (vektbasert dosering to ganger daglig for pasienter under 30 kg; for pasienter ≥30 kg kan mikstur benyttes i dose 6 mg to ganger daglig). 2. Depottablett: 15 mg (én gang daglig for pasienter ≥30 kg).
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. *Skriv kort*	Farmakoterapeutisk gruppe: Janus kinase (JAK) hemmer. Virkningsmekanisme: Selektiv JAK1-hemming, reduserer cytokin-signalering via JAK-STAT pathway.

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*	Ja ☒ Nei ☐ ID-nummer: ID2019_098, ID2025_003, ID2020_081, ID2022_134, ID2020_080, ID2022_136, ID2021_085, ID2022_044
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: ID2021_052, ID2018_102, ID2024_035

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: TLV (Sweden). Underlag för beslut om subvention – Nyansökan: Xeljanz (tofacitinib). Diarienummer: 2934/2021; nämndmöte: 24 mars 2022. URL: https://www.tlv.se/download/18.6eea78fc17f96db5902cf541/1648627785949/bes220324_xeljanz_2934-2021_underlag.pdf Medicinrådet. Vurdering af ibrugtagning af biosimilært adalimumab i dermatologien, gastroenterologien og reumatologien. Dokumentnummer: 24889. Godkendelsesdato: 16. august 2018. Version: 1.0. URL: https://medicinraadet.dk/media/svab0lxx/medicinraadets-vurdering-af-ibrugtagning-af-biosimilaer-adalimumab-version-10_adlegacy.pdf

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: 16.12.2019
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: EU/1/19/1404/001–011 **Hvis metoden ikke har MT**: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): 23. juli 2026 Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): 14. september 2026

	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? *Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.*	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? *Hvis ja, fyll ut dato*	Ja ☐ Nei ☒ Dato for «orphan drug designation»: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.

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: Det finnes en annen JAK-hemmer som er innført for pJIA, tofacitinib (Xeljanz). I tillegg finnes det biologiske DMARDs som TNF-hemmere (f.eks. adalimumab) og IL-6-hemmere (f.eks. tocilizumab) som brukes i samme behandlingslinje. Det foreligger indirekte sammenlignende evidens basert på SELECT-YOUTH-studien og tilhørende matching-justerte indirekte sammenligninger mot publiserte studier av tofacitinib og tocilizumab. Resultatene gir et relevant grunnlag for vurderingen av relativ effekt og sikkerhet, men bør tolkes i lys av de metodiske forutsetningene og begrensningene ved indirekte sammenligninger.
6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et	Ja ☒ Nei ☐

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*	Legemiddel og ID-nummer: Xeljanz (tofacitinib): ID2021_052 RoActemra (tocilizumab): ID2018_102 Leverandør vurderer også at upadacitinib er sammenlignbart med andre relevante avanserte behandlingsalternativer som benyttes i samme behandlingslinje ved pJIA, herunder TNF-hemmere som adalimumab og etanercept.
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja ☒ Nei ☐ Kommentar: Ja, legemiddelet vil være aktuelt for LIS-anbudet for TNF-BIO (Legemidler til behandling av immunologiske sykdommer), under terapiområdet for Revmatologi / Juvenil idiopatisk artritt (JIA), ikke systemisk type.

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: Ikke aktuell for JNHB, da saken vurderes best håndtert i ordinær nasjonal prosess i Norge.

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*	*Vi foreslår en forenklet metodevurdering i form av et prisnotat. Dette begrunnes med at upadacitinib vurderes opp mot etablerte behandlingsalternativer i samme behandlingslinje ved pJIA, særlig tofacitinib og andre relevante avanserte behandlingsalternativer, og at tilgjengelig dokumentasjon kan danne grunnlag for en vurdering av relativ effekt og sikkerhet i denne rammen.*

9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	*Pasientpopulasjonen vil tilsvare den forventede godkjente indikasjonen fra EMA for pJIA. Dette omfatter barn og ungdom (fra 2 års alder og eldre) med aktiv polyartikulær juvenil idiopatisk artritt (pJIA) som har hatt utilstrekkelig respons på tidligere behandling med konvensjonelle syntetiske DMARDs (csDMARDs), eller som ikke tåler slik behandling.*
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.*	Siden anmodningen gjelder en pediatrisk populasjon (pJIA), vil dokumentasjonen primært basere seg på direkte kliniske data fra SELECT-YOUTH-studien (NCT03725007), som undersøker farmakokinetikk, sikkerhet, tolerabilitet og effekt av upadacitinib hos barn og ungdom med pJIA. Dokumentasjonen vil også omfatte den kliniske pakken som ligger til grunn for EMA-godkjenningen, inkludert PK/PD-modellering for dosering hos barn og, der det er relevant, ekstrapolering av effektdata fra voksenpopulasjoner. I tillegg vil tilgjengelige indirekte behandlingssammenligninger (ITC/NMA), herunder matching-justerte indirekte sammenligninger mot tofacitinib og tocilizumab, bli lagt frem for å belyse relativ effekt og sikkerhet. Samlet kan dokumentasjonen danne grunnlag for den foreslåtte forenklede metodevurderingen i form av et prisnotat.
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	V*i forventer begrenset budsjettpåvirkning for sykehusene. Oppstart og eventuell overgang til upadacitinib antas i hovedsak å skje innenfor eksisterende behandlings- og anbudsrammer, og delvis erstatte bruk av andre relevante behandlinger.*
9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF. *Tidspunkt må oppgis*	September 2026. Dokumentasjon forventes levert i forbindelse med innsending av anmodningen og/eller etter oppdrag fra Bestillerforum. Supplerende dokumentasjon, inkludert endelig oppdatert SmPC/EPAR for pJIA-indikasjonen, ettersendes når tilgjengelig.

10 Sykdommen og eksisterende behandling

10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon *<u>Kort</u> beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser*	*Juvenil idiopatisk artritt (JIA) er den vanligste kroniske revmatiske sykdommen hos barn, karakterisert ved kronisk leddbetennelse av ukjent årsak med debut før 16 års alder. Polyartikulær JIA (pJIA) er en undergruppe av JIA der fem eller flere ledd er affisert i løpet av de første seks månedene av sykdommen.*

	Patofysiologisk er pJIA en autoimmun/autoinflammatorisk tilstand der immunsystemet feilaktig angriper kroppens egne leddhinner (synovialhinnen), noe som fører til inflammasjon, hevelse og økt produksjon av leddvæske. Flere cytokiner, inkludert TNF-alfa og ulike interleukiner, spiller en sentral rolle i denne inflammatoriske kaskaden, og signaleringen skjer ofte via JAK-STAT-veien. *Klinisk presentasjon og symptombilde inkluderer smerter, hevelse, varme og varig stivhet (særlig morgenstivhet) i flere ledd. Sykdommen kan påvirke både store og små ledd (f.eks. knær, ankler, håndledd, fingre og kjeveledd). Uten tilstrekkelig behandling kan den kroniske betennelsen føre til irreversibel brusk- og beinskade, feilstillinger, vekstforstyrrelser og betydelig nedsatt fysisk funksjon og livskvalitet.*
10.2 Fagområde *Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden*	Velg fagområde fra menyen: Muskel-, skjelett- og bindevevssykdommer
10.3 Kreftområde *Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt*	Velg kreftområde fra menyen: Velg et element.
10.4 Dagens behandling *Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse*	*Nåværende standardbehandling for barn med polyartikulær juvenil idiopatisk artritt (pJIA) følger retningslinjene til Norsk Revmatologisk Forening (NRF). Førstelinjebehandling er konvensjonelle syntetiske DMARDs (csDMARDs), primært metotreksat. Ved utilstrekkelig effekt eller intoleranse mot csDMARDs, trappes behandlingen opp til biologiske DMARDs (bDMARDs), oftest TNF-hemmere (som adalimumab eller etanercept), eller IL-6-hemmere (som tocilizumab). I senere tid har også en JAK-hemmer (tsDMARD), tofacitinib (Xeljanz), blitt innført som et alternativ i denne behandlingslinjen.* *Referanse: Norsk barnelegeforening (2023). Generell veileder i pediatri: 4,2 Juvenil idiopatisk artritt (JIA). Helsebiblioteket. Tilgjengelig fra: https://www.helsebiblioteket.no/innhold/retningslinjer/pediatri/generell-veileder-i-pediatri/4.revmatologi-ortopedi-skjelett-og-skalle/4.2-juvenil-idiopatisk-artritt-jia*

10.5 Prognose *Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse*	*Med moderne «treat-to-target»-strategi og tidlig innsatt biologisk/målrettet behandling er prognosen for barn med pJIA generelt god, og mange oppnår remisjon. Imidlertid er det en betydelig andel pasienter som enten ikke oppnår adekvat sykdomskontroll, mister effekten over tid, eller opplever uakseptable bivirkninger (inkludert utfordringer med injeksjonssmerter og sprøyteskrekk ved bruk av bDMARDs). Ubehandlet eller dårlig kontrollert pJIA kan føre til varig leddskade, vekstforstyrrelser, kroniske smerter og betydelig redusert livskvalitet. Det er derfor et udekket medisinsk behov for flere behandlingsalternativer, spesielt perorale (tablett/mikstur) alternativer for barn.*
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	*Upadacitinib (Rinvoq) vil posisjoneres i samme behandlingslinje som andre JAK-hemmere (tsDMARDs) og biologiske DMARDs. Det vil bli brukt som behandling for barn og ungdom (fra 2 års alder og eldre) med aktiv pJIA som har hatt utilstrekkelig respons på, eller ikke tolererer, tidligere behandling med csDMARDs. Legemiddelet vil utgjøre et viktig peroralt behandlingsalternativ for denne pasientgruppen.*
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*	I Norge er insidensen av juvenil idiopatisk artritt (JIA) anslått til ca. 12,5–25,9 per 100 000 barn per år, og prevalensen til ca. 86–148 per 100 000 barn. For polyartikulær JIA (pJIA) er prevalensen estimert til 6,3 per 100 000 barn og insidensen til 1,6 per 100 000 barn (1-3). Data fra Norsk Pasientregister (NPR) for 2024 viser at adalimumab og etanercept er de mest brukte biologiske behandlingene ved JIA hos pediatriske pasienter under 18 år. Blant de ikke-TNF-baserte behandlingene representerer RoActemra det største relevante pasientgrunnlaget og vurderes derfor å være den mest sannsynlige hovedkilden til switch etter TNFi. Resterende opptak forventes å komme fra øvrige ikke-TNF-alternativer (4).

	Antallet pasienter som forventes behandlet med Rinvoq vurderes derfor å være lavt, og anslås til 3–5 pasienter per år. *Referanser:* 1. *Hestetun SV, Rudsari HK, Jaholkowski P, Shadrin A, Haftorn KL, Andersen S, et al. Incidence and Genetic Risk of Juvenile Idiopathic Arthritis in Norway by Latitude. Arthritis Rheumatol. 2025 Apr;77(4):458–67. doi:10.1002/art.43040 PubMed PMID: 39431377; PubMed Central PMCID: PMC11936499.* 2. *Berit F, Odd V. Epidemiologien ved juvenil idiopatisk artritt og andre artritter i barnealderen. Norsk Epidemiologi. 2008 Jan 1;18. doi:10.5324/nje.v18i1.84* 3. *Thierry S, Fautrel B, Lemelle I, Guillemin F. Prevalence and incidence of juvenile idiopathic arthritis: A systematic review. Joint Bone Spine. 2014 Mar 1;81(2):112–7. doi:10.1016/j.jbspin.2013.09.003* 4. *Norsk Pasientregister (NPR), 2024. AbbVie Data on File.*

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier

	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID *Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke*	*SELECT-YOUTH NCT03725007 Lenke: https://clinicaltrials.gov/study/NCT03725007*	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.2 Studietype og -design	*Fase 1, åpen (open-label), multisenterstudie bestående av to deler: Del 1 (farmakokinetisk (PK) evaluering) og Del 2 (langtidsoppfølging/extension).*	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11.3 Formål	Å evaluere farmakokinetikk (PK), sikkerhet, tolerabilitet og effekt av upadacitinib (vektbasert dosering av mikstur eller depottablett) hos barn og ungdom med aktiv polyartikulær juvenil idiopatisk artritt (pJIA).	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.4 Populasjon *Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier*	*Barn og ungdom i alderen 2 til <18 år med aktiv pJIA (minst 5 aktive ledd), som tidligere har hatt utilstrekkelig effekt av, eller intoleranse mot, minst ett biologisk DMARD (bDMARD) eller konvensjonelt syntetisk DMARD (csDMARD).*	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.5 Intervensjon (n) *Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet*	*Upadacitinib (Rinvoq) administreres oralt med en vektbasert dosering for å oppnå tilsvarende eksponering (AUC) som hos voksne med revmatoid artritt. Foreslått doseringsregime er:* • *10 til <20 kg: 3 mg (3 ml mikstur) to ganger daglig.* • *20 til <30 kg: 4 mg (4 ml mikstur) to ganger daglig.* • *≥30 kg: 6 mg (6 ml mikstur) to ganger daglig, ELLER 15 mg (én depottablett) én gang daglig.* *Behandlingen i den pågående forlengelsesfasen*	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	(SELECT-YOUTH) varer i opptil 156 uker.		
11.6 Komparator (n) *Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet*	*Ingen komparator. Dette er en åpen (open-label) enarmet studie for evaluering av PK, sikkerhet og effekt i en pediatrisk populasjon, med ekstrapolering av effekt fra voksenstudier.*	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.7 Endepunkter *Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling*	*Endepunkter for Del 1 (Farmakokinetikk):* • *Farmakokinetiske parametere (bl.a. AUC og Cmax) av opptil 3 doser upadacitinib for å bekrefte vektbasert dosering.* *Endepunkter for Del 2 (Sikkerhet og Effekt):* • *Sikkerhet: Forekomst av behandlingsutløste uønskede hendelser (TEAEs) og alvorlige uønskede hendelser (SAEs).*	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	• *Sammensatte effektmål: Andel pasienter som oppnår JIA ACR 30/50/70/90/100 -respons, samt andel som oppnår klinisk remisjon eller lav sykdomsaktivitet målt ved JADAS-27 (CRP).* • *Individuelle kjernevariabler (Core Set Parameters): En dring fra baseline i funksjonsnivå (CHAQ), antall aktive ledd, samt legens og foreldrenes globale vurdering av sykdomsaktivitet .* *(Merk: Effektendepunkter måles primært ved uke 12, med kontinuerlig oppfølging i forlengelsesfasen opptil 156 uker).*		
11.8 Relevante subgruppeanalyser *Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser*	*Studien inneholder subgruppeanalyser av effektdata (f.eks. JIA ACR-respons) stratifisert etter pasientenes tidligere behandlingshistorikk*	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	(hvorvidt de har tidligere eksponering for biologiske DMARDs eller ikke). I tillegg er farmakokinetikk (PK) og sikkerhet analysert i subgrupper (kohorter) basert på alder og vekt for å validere de ulike doseringsformene (mikstur og depottablett).		
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*	*Den planlagte samlede oppfølgingstiden for forlengelsesfasen av studien er opptil 156 uker. For vurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter (DMP) forventes data fra interimsanalyser med minimum 12 ukers til 48 ukers oppfølgingstid å være tilgjengelige.*	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.10 Tidsperspektiv resultater *Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt*	*Pågående studie. Et datakutt fra april 2023 (interimsanalyse) er allerede tilgjengelig og presentert. Ytterligere og mer modne datakutt fra langtidsoppfølgingen (f.eks. opptil uke 156) vil bli tilgjengelige etter hvert som studien skrider frem mot forventet avslutning i 2027.*	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.11 Publikasjoner	*Publiserte interimsdata (EULAR 2023 abstract og*	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon	*nylig publisert fulltekstartikkel):* • *Brunner, H. I., et al. (2024). Pharmacokinetics, Efficacy, and Safety of Upadacitinib in Pediatric Patients with Polyarticular-Course Juvenile Idiopathic Arthritis: An Interim Analysis of an Open-label Phase 1 Trial. Pediatric Rheumatology.* *Resultater fra den videre oppfølgingen vil publiseres fortløpende frem mot studiens avslutning.*		

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? *Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt*	Ja ☒ Nei ☐ *Ja. Det pågår en langsiktig forlengelsesstudie (open-label extension) kalt SELECT-YOUTH. Denne studien evaluerer langtidssikkerhet, tolerabilitet og effekt av upadacitinib hos barn og ungdom (fra 2 til under 18 år) med polyartikulær juvenil idiopatisk artritt (pJIA) i opptil 156 uker. Endelige resultater fra langtidsoppfølgingen forventes fortløpende, med antatt primær ferdigstillelse rundt 2026/2027.*
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja ☒ Nei ☐ Ja. Upadacitinib (Rinvoq) er et etablert legemiddel med et svært omfattende klinisk utviklingsprogram. Det pågår fase 3-studier for flere andre

	immunmedierte og inflammatoriske sykdommer. Blant de pågående og planlagte indikasjonene internasjonalt finner man blant annet systemisk lupus erythematosus (SLE), hidradenitis suppurativa (HS), vitiligo, alopecia areata og Takayasus arteritt. Det gjennomføres også studier på systemisk JIA (sJIA).

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*	Ja ☐ Nei ☒
13.2 Er testen etablert i klinisk praksis? *Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?*	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? *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)*	Ja ☐ Nei ☐ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
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?	Ja ☐ Nei ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

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?	*Videre vurderer vi at en forenklet metodevurdering i form av et prisnotat kan være relevant å vurdere for denne indikasjonen, gitt forventet plassering i behandlingslinjen og tilgjengelige sammenligningsalternativer. Budsjettmessige konsekvenser antas å være begrensede og innenfor etablerte rammer.*

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no

Saksnummer 153-26 Oppsummering fra sekretariatet

Anmodning om revurdering: ID2020_059 Pemigatinib (Pemazyre) i monoterapi til behandling av voksne med lokalt avansert eller metastatisk kolangiokarsinom (gallegangskreft) med fibroblastvekstfaktor-reseptor 2 (FGFR2)-fusjon eller rearrangering, med progresjon etter minst én tidligere linje med systemisk behandling.

Tidligere saksbehandling:
- Det er tidligere gjennomført en forenklet metodevurdering etter at Bestillerforum for nye metoder (31.05.2021) vurderte at en nytte-kostnad-analyse var ønskelig, men at tilgjengelige effektdata ikke var tilstrekkelige for en slik analyse.
- Besluttet ikke innført (12.12.2022): Det er begrenset tilgjengelig dokumentasjon og prisen på legemidlet er høy.
- Leverandøren anmodet også om revurdering i 2025. Bestillerforum for nye metoder vurderte da at en ny metodevurdering i liten grad ville tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker.

Kort om metoden fra anmodningen om revurdering:
- Leverandøren opplyser at kunnskapsgrunnlaget for pemigatinib (Pemazyre) er vesentlig utvidet siden forrige vurdering. Det nye dokumentasjonsgrunnlaget skal omfatte nye prospektivt innsamlede data fra FIGHT-302-studien, integrerte analyser av tidligere behandlede pasienter, supplerende kliniske data, real world-data samt lengre oppfølging av sikkerhet.
- Leverandøren mener den nye dokumentasjonen gir et bredere og mer modent kunnskapsgrunnlag, og at sentrale usikkerheter fra den tidligere vurderingen kan belyses bedre.
- Leverandøren opplyser at siden den gjennomførte metodevurderingen har durvalumab i kombinasjon med gemcitabin og cisplatin blitt innført som førstelinjebehandling. Som følge av dette vil en andel av pasientene som nå er aktuelle for behandling med pemigatinib tidligere ha mottatt dette i førstelinje.
- Leverandøren opplyser at komparatorsituasjonen i hovedsak er uendret siden forrige metodevurdering. Videre viser leverandøren til at norsk klinisk praksis skal ha utviklet seg siden den opprinnelige vurderingen, blant annet gjennom økt bruk av molekylær diagnostikk og biomarkørstyrt behandling.
- Leverandøren foreslår en ny forenklet vurdering.
- Leverandøren estimerer at de kan levere dokumentasjon til DMP i september 2026.

Egnethetsvurdering fra Direktoratet for medisinske produkter (DMP) (vedlagt):
- Vurdering: Les den i sin helhet i den vedlagte egnethetsvurderingen.
- Anbefaling: Anbefaler at videre saksgang diskuteres på Bestillerforum.

Innspill – innspillene er vedlagt

Innspill fra fagmiljøer innhentet av RHF-ene:

- Helse Midt-Norge RHF: Ingen innspill.
- Helse Nord RHF: Ingen innspill.
- Helse Sør-Øst RHF: 1 innspill.
- Helse Vest RHF: 1 innspill.

NYE METODER

Anmodning om revurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker en revurdering av en legemiddelindikasjon som tidligere er metodevurdert og har en beslutning i Nye metoder, skal anmode om revurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfylt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

En anmodning om revurdering skal gjelde samme indikasjon som den opprinnelige metodevurderingen. Hvis anmodningen gjelder en annen indikasjon, eller en undergruppe, så skal «Anmodningsskjema for vurdering av legemiddel» benyttes.

Dersom det ikke foreligger nye kliniske data, kun ny pris eller forslag om en alternativ prisavtale, er det ikke nødvendig å anmode om revurdering. Ta da direkte kontakt med Sykehusinnkjøp[1].

Nye metoder vurderer på bakgrunn av anmodningen om det er grunnlag for å gi et oppdrag om en ny metodevurdering. Anmodningen må begrunnes.

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.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av): ☒

Dato for innsending av skjema: 24.08.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Incyte Biosciences Nordic AB
1.2 Navn kontaktperson	Fredrik Neij
1.3 Stilling kontaktperson	Nordic Market Access Director
1.4 Telefon	+46 70 915 49 53
1.5 E-post	fneij@incyte.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	-
1.7 Telefon og e-post	-

[1] E-post til Sykehusinnkjøp HF: nyelegemidler@sykehusinnkjop.no

2 Informasjon om metoden	
2.1 ID-nummer i Nye metoder	ID2020_059
2.2 Virkestoff	Pemigatinib
2.3 Handelsnavn	Pemazyre
2.4 Indikasjon *En anmodning om revurdering skal gjelde samme indikasjon som den opprinnelige metodevurderingen. Hvis anmodningen gjelder en annen populasjon eller en undergruppe, så skal «Anmodningsskjema for vurdering av legemiddel» benyttes (se nyemetoder.no).*	Pemazyre monotherapy is indicated for the treatment of adults with locally advanced or metastatic cholangiocarcinoma with a fibroblast growth factor receptor 2 (FGFR2) fusion or rearrangement that have progressed after at least one prior line of systemic therapy.
2.5 Gjeldende beslutning fra Beslutningsforum for nye metoder *Oppgi dato for beslutning*	The current national decision from Beslutningsforum for Nye Metoder dates from 12 December 2022 and concluded that pemigatinib (Pemazyre) should not be introduced for the approved indication. In November 2024, Incyte submitted a reassessment request supported by additional clinical evidence. The request was considered by Bestillerforum for Nye Metoder on 10 February 2025, which decided not to commission a new method assessment. Consequently, the 12 December 2022 decision remains the current national decision.

3 Informasjon om eksisterende metodevurdering og grunnleggende forutsetninger for revurdering	
3.1 Klinisk praksis *Er beskrivelsen av norsk klinisk praksis i den opprinnelige metodevurderingen fortsatt gjeldende, herunder komparator, forutgående behandling osv.?* *Kommenter kort.*	The description of Norwegian clinical practice remains broadly applicable to the population considered in the original assessment, namely adults with locally advanced or metastatic cholangiocarcinoma harbouring an FGFR2 fusion or rearrangement whose disease has progressed following at least one prior line of systemic therapy. Since the original assessment, durvalumab in combination with gemcitabine and cisplatin has been introduced as a first-line treatment option for patients with advanced biliary tract cancer. Consequently, a proportion of patients receiving pemigatinib in current clinical practice will previously have received chemoimmunotherapy in the first-line setting. The clinical position of pemigatinib remains unchanged. There is still no established targeted treatment alternative for

	patients with FGFR2 fusion- or rearrangement-positive cholangiocarcinoma following progression on prior systemic therapy. For patients considered suitable for further treatment, fluoropyrimidine-based chemotherapy regimens such as FOLFOX or FOLFIRI may be used, whereas best supportive care remains relevant for patients who are not candidates for additional systemic therapy. Molecular diagnostics have become increasingly integrated into routine clinical practice. Current Norwegian guidance recommends molecular profiling, preferably using next-generation sequencing (NGS), in patients with advanced biliary tract cancer who are candidates for systemic treatment. This facilitates identification of patients with FGFR2 fusions or rearrangements and supports the use of precision medicines in molecularly defined subgroups. Accordingly, the present reassessment concerns the same clinical treatment setting as the original assessment. While first-line management has evolved through the introduction of chemoimmunotherapy and broader use of molecular profiling, patients with FGFR2 fusion- or rearrangement-positive cholangiocarcinoma who progress after systemic therapy continue to represent a population with substantial unmet need and limited treatment alternatives. Pemigatinib therefore retains the same clinical role as a targeted treatment option for this molecularly defined patient group
3.2 Nye data for bruken av legemiddelet til aktuell indikasjon *Beskriv kort hvorfor det er grunnlag for en ny metodevurdering av legemiddelet. Beskriv tilgjengelige nye data for legemiddelet.*	Since the original assessment, the evidence base for pemigatinib in previously treated cholangiocarcinoma with FGFR2 fusion or rearrangement has expanded substantially and now includes new prospective clinical data directly relevant to the approved treatment setting. The most important new evidence is derived from the phase III FIGHT-302 study. Although FIGHT-302 was designed as a randomized first-line trial, patients randomized to gemcitabine/cisplatin were eligible to cross over to pemigatinib following disease progression. This resulted in a prospectively collected second-line crossover population of 42 patients treated with pemigatinib within the framework of a randomized clinical trial. In this crossover population, objective response rate was 38.1%, median progression-free survival was 8.1 months and median duration of response was 6.2 months. These outcomes are highly consistent with the final results from FIGHT-202, the pivotal phase II study that formed the basis of the original assessment. The replication of treatment outcomes in an independent prospectively collected dataset strengthens confidence in the reproducibility and generalisability of pemigatinib benefit in the approved treatment setting.

	Additional integrated analyses combining FIGHT-202 and the FIGHT-302 crossover population further support the consistency of clinical outcomes across studies. In the integrated previously treated population (N=150), objective response rate was 37.3%, median progression-free survival was 7.5 months, and median overall survival was 17.5 months. These analyses increase the available evidence base and reduce uncertainty associated with small individual datasets. The evidence base has also expanded through supportive clinical and real-world evidence. A French and Italian real-world analysis including 72 patients with FGFR2-positive cholangiocarcinoma treated with pemigatinib in routine clinical practice reported outcomes consistent with those observed in the clinical trials, including an objective response rate of 45.8%, median progression-free survival of 8.7 months and median overall survival of 17.1 months. Additional real-world evidence from the United States supports the relevance of clinical trial outcomes in routine practice. The safety database has also increased substantially through continued clinical development and integrated regulatory analyses. No new safety concerns have been identified, and the overall safety profile remains consistent with the currently approved product information. Taken together, the evidence base is no longer limited to the single-arm FIGHT-202 study that formed the basis of the original Norwegian assessment. It now includes prospectively collected second-line data from the phase III FIGHT-302 study, larger integrated analyses, additional clinical evidence, real-world evidence and expanded safety follow-up. Collectively, these data directly address key uncertainties identified in the original assessment and provide a materially broader and more robust evidence base for pemigatinib in the same previously assessed indication.
3.3 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren? *Type metodevurdering* *Begrunn kort*	Incyte proposes a simplified reassessment (forenklet metodevurdering/revurdering). A new cost-utility analysis is not proposed as part of the reassessment request. The original assessment was conducted as a simplified assessment of efficacy, safety and costs. Since that assessment, the evidence base for pemigatinib has expanded substantially and now includes prospectively collected second-line data from the FIGHT-302 crossover population, integrated analyses across previously treated patients, supportive clinical evidence, real-world evidence and expanded safety follow-up. These data directly relate to the previously assessed indication and provide a materially

	broader and more mature evidence base than was available at the time of the original assessment. The primary purpose of the reassessment should therefore be to evaluate the impact of this expanded clinical evidence on the overall assessment of clinical benefit and uncertainty. The available evidence demonstrates consistent clinical activity across multiple independent datasets, including prospective clinical trial populations and routine clinical practice, and provides more mature information on response, duration of response, progression-free survival, overall survival, treatment duration and safety. The requested reassessment concerns the same patient population, treatment setting and decision problem as the original evaluation and could therefore be informed through an updated review of the available clinical evidence together with current estimates of patient numbers, treatment duration, drug costs and budget impact. Incyte therefore considers a simplified reassessment to be the most proportionate and decision-relevant approach for evaluating the new evidence available for pemigatinib in adults with locally advanced or metastatic FGFR2 fusion- or rearrangement-positive cholangiocarcinoma following prior systemic therapy. The updated evidence directly addresses key uncertainties identified in the original assessment and provides a stronger basis for reassessing the benefit, uncertainty and economic consequences of treatment in Norway.
3.4 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter *Tidspunkt må oppgis*	September 2026. Incyte expects to submit updated documentation to DMP in September 2026, should Bestillerforum decide to commission a reassessment.
3.5 Nye data for komparator *Beskriv eventuelle nye data for komparator*	No new randomized comparator data has been identified specifically for patients with previously treated FGFR2-positive cholangiocarcinoma. The comparator situation therefore remains broadly unchanged from the original Norwegian assessment. For patients fit enough for further cytotoxic therapy after first-line treatment, combination chemotherapy remains the main active treatment alternative. For patients unsuitable for further chemotherapy, active symptom control/best supportive care remains clinically relevant. The available second-line chemotherapy evidence, including FOLFOX from ABC-06, remains based on an unselected biliary tract cancer

	population and not specifically on patients with FGFR2 fusion or rearrangement. The main new evidence in this request is therefore not new comparator evidence, but new evidence for pemigatinib in the approved treatment setting. In particular, the FIGHT-302 crossover population provides prospectively collected data for pemigatinib used after progression on gemcitabine plus cisplatin and is addressed under the section on new data for the medicinal product. Real-world evidence also confirms that chemotherapy-based regimens remain relevant in treatment sequencing. In the US claims analysis, the most common baseline regimens before pemigatinib included gemcitabine plus cisplatin, FOLFOX and gemcitabine plus cisplatin plus immunotherapy. These data are descriptive and should not be interpreted as comparative efficacy data.
3.6 Øvrige forhold *Beskriv eventuelle andre forhold som er endret siden forrige metodevurdering*	Several relevant conditions have changed since the original Norwegian assessment. Norwegian clinical practice has moved further towards molecular profiling and biomarker-guided treatment selection in biliary tract cancer. Current Norwegian guidance recommends molecular profiling of tumour tissue, preferably using next-generation sequencing (NGS), for patients with inoperable or advanced biliary tract cancer who are candidates for systemic treatment. This facilitates identification of patients with actionable molecular alterations, including FGFR2 fusions or rearrangements, and supports the clinical relevance of targeted treatment approaches in molecularly defined subgroups. The first-line treatment landscape has evolved. Durvalumab in combination with gemcitabine and cisplatin has been introduced in Norway as first-line treatment for adults with inoperable or metastatic biliary tract cancer. As a result, patients eligible for pemigatinib in current clinical practice will increasingly have received chemoimmunotherapy before progression. This development changes the prior treatment context but does not remove the need for effective treatment options after progression on systemic therapy. The clinical relevance of FGFR2-positive cholangiocarcinoma as a distinct molecular subgroup has

	become more prominent. FGFR2 fusions or rearrangements define a small patient population for whom FGFR-targeted treatment is biologically and clinically relevant. However, no FGFR-targeted therapy has been introduced in the Norwegian specialist healthcare service for this population. The practical consequences of the current access situation have become increasingly visible since the original assessment. Individual Norwegian patients have sought access to Pemazyre outside the publicly funded healthcare system. This illustrates the continuing unmet medical need in this very small molecularly defined population and the consequences of the absence of an introduced FGFR-targeted treatment option in Norway. The issue has also been the subject of repeated dialogue between Incyte, Nye Metoder, Beslutningsforum and Sykehusinnkjøp, including discussions on reassessment, price offers, alternative agreement models and temporary introduction. Taken together, these developments support reassessment. Since the original assessment, Norwegian oncology practice has moved further towards molecular diagnostics and precision medicine, while patients with FGFR2 fusion- or rearrangement-positive cholangiocarcinoma continue to lack access to an introduced FGFR-targeted treatment option within the public specialist healthcare service. The current request therefore concerns a treatment whose clinical relevance has increased in the evolving precision-oncology context and whose reassessment is supported by newly available evidence in the previously assessed indication.

4 Relevansen av nye data

4.1 Beskriv hvordan de nye dataene kan bidra til at prioriteringskriteriene kan bli oppfylt. *Redegjør for de nye dataene sammenlignet med de opprinnelige resultatene som lå til grunn for gjeldende beslutning i Beslutningsforum.*	The evidence base for pemigatinib in adults with locally advanced or metastatic cholangiocarcinoma harbouring an FGFR2 fusion or rearrangement, with progression after at least one prior line of systemic therapy, has expanded substantially since the original assessment. The original assessment was conducted as a simplified method assessment of efficacy, safety and costs. At that time, the evidence base was primarily derived from FIGHT-202, a single-arm phase II study in previously treated patients. The Norwegian process identified uncertainty related to the study design, the absence of robust comparative data and uncertainty regarding survival benefit, which affected the ability to establish cost-effectiveness. Since then, the evidence base has become broader, more mature and more directly relevant to the previously assessed

	indication. The key new evidence consists of prospectively collected second-line data from the FIGHT-302 crossover population, final mature FIGHT-202 data, integrated analyses of previously treated patients, supportive clinical evidence, real-world evidence from routine clinical practice and an expanded safety database. The most important new evidence is the FIGHT-302 crossover population. FIGHT-302 was a randomized phase III study of pemigatinib versus gemcitabine plus cisplatin in previously untreated patients with advanced cholangiocarcinoma harbouring FGFR2 fusion or rearrangement. Although the randomized first-line comparison is not the basis for this reassessment request, patients in the gemcitabine/cisplatin arm were eligible to cross over to pemigatinib following disease progression. This generated a prospectively collected second-line pemigatinib population within the framework of a phase III clinical trial. In the FIGHT-302 crossover population, 42 patients received pemigatinib after progression on gemcitabine/cisplatin. Objective response rate was 38.1%, median progression-free survival was 8.08 months and median duration of response was 6.21 months. These outcomes are consistent with final FIGHT-202 results in previously treated cholangiocarcinoma with FGFR2 fusion or rearrangement, where objective response rate was 37.0%, median progression-free survival was 7.03 months, median duration of response was 9.13 months and median overall survival was 17.48 months. The consistency between FIGHT-202 and the FIGHT-302 crossover population is highly relevant to the current reassessment. It demonstrates that the clinical activity observed in FIGHT-202 has been reproduced in an independent, prospectively collected second-line dataset. This directly addresses an important source of uncertainty in the original assessment: whether the treatment outcomes observed in a single-arm phase II study were reproducible in a further clinical dataset relevant to the approved treatment setting. Integrated analyses of the previously treated cholangiocarcinoma population provide additional support for the stability of the efficacy estimates. In the integrated population combining FIGHT-202 and the FIGHT-302 crossover population (N=150), objective response rate was 37.3%, median progression-free survival was 7.52 months, median duration of response was 7.49 months and median overall survival was 17.48 months. These results are consistent with the individual studies and provide a broader basis for assessing clinical benefit, treatment duration and uncertainty in the approved indication.

Real-world evidence further supports the external validity of the clinical trial findings. In a combined French and Italian observational dataset including 72 patients with FGFR2-positive cholangiocarcinoma treated with pemigatinib in routine clinical practice, objective response rate was 45.8%, median progression-free survival was 8.7 months and median overall survival was 17.1 months. These descriptive real-world data are not intended to establish comparative effect, but they support the consistency of pemigatinib outcomes across clinical trials and routine practice.

The safety evidence base has also expanded since the original assessment. The available evidence remains consistent with the known safety profile of pemigatinib, and no new safety concerns have been identified in the updated evidence package. The expanded safety data provide a more mature basis for assessing adverse events, dose modification, treatment interruption, discontinuation and expected resource use in Norwegian clinical practice.

The new evidence is relevant to the Norwegian prioritisation criteria in the following ways.

Prioritisation criterion	**Relevance of the new evidence**
Benefit	The updated evidence supports clinically meaningful and reproducible pemigatinib activity in the previously assessed indication. Response, duration of response, progression-free survival and overall survival outcomes are consistent across FIGHT-202, the FIGHT-302 crossover population, integrated analyses and real-world evidence. This provides a stronger and more mature basis for assessing treatment benefit than was available at the time of the original decision.
Resource use	The updated evidence provides more mature information on treatment duration, progression-free survival, overall survival, dose modification, discontinuation, safety and real-world use. These data can support an updated simplified assessment of expected drug costs, healthcare resource use and budget impact in Norway.
Severity	The relevant population remains a very small molecularly defined subgroup of patients with advanced cholangiocarcinoma. The FIGHT-302 programme illustrates the rarity of this population, as more than 4,500 patients were prescreened to randomize 167 patients with FGFR2-rearranged cholangiocarcinoma. The current Norwegian access situation also demonstrates that patients in this subgroup continue to lack an introduced FGFR-targeted treatment option within the public specialist healthcare service.

The table below summarises how the new evidence addresses key uncertainties from the original Norwegian assessment.

Original uncertainty in the Norwegian assessment	New available evidence	Decision relevance
Evidence was mainly based on FIGHT-202, a single-arm phase II study, and relative effect could not be established	Prospectively collected second-line pemigatinib data from the FIGHT-302 crossover population	Demonstrates reproducibility of pemigatinib activity in an independent dataset directly relevant to the approved treatment setting.
Time-to-event outcomes were uncertain due to limited data maturity	Final FIGHT-202 data, FIGHT-302 crossover data and integrated analyses of previously treated patients	Provides a broader and more mature basis for assessing progression-free survival, overall survival, duration of response, treatment duration and uncertainty.
Clinical benefit was based on a limited dataset	FIGHT-202, FIGHT-302 crossover, integrated previously treated population, supportive clinical evidence and real-world evidence	Provides a substantially broader totality of evidence for assessing clinical benefit and uncertainty.
Generalisability to routine clinical practice was uncertain	Real-world evidence from European routine clinical practice and additional real-world evidence from the US	Supports consistency of outcomes beyond the clinical trial setting.
Safety evidence was limited by exposure and population size	Expanded clinical and regulatory safety evidence	Provides a more mature basis for assessing safety, tolerability and resource implications.

Incyte considers that the updated evidence directly addresses the key evidence limitations that informed the original Norwegian decision. The clinical benefit observed in FIGHT-202 has now been reproduced in a prospectively collected second-line population from FIGHT-302 and is supported by integrated analyses and real-world evidence. The totality of evidence provides a materially stronger basis for reassessing pemigatinib in the same previously evaluated indication and supports a new simplified assessment under the Norwegian prioritisation criteria.

Direktoratet for medisinske produkter

Egnethetsvurdering	
ID-nummer	**ID2020_059**
Virkestoff (handelsnavn)	Pemigatinib (Pemazyre)
Virkningsmekanisme	Pemigatinib er en kinasehemmer av FGFR1, 2 og 3, som hemmer FGFR-fosforylering og -signalering og reduserer levedyktigheten av celler som uttrykker FGFR-genetiske endringer, inkludert punkt-mutasjoner, amplifikasjoner og fusjoner eller rearrangeringer. FGFR2-fusjoner/rearrangeringer er sterke onkogene drivere og er de vanligste FGFR-endringene som forekommer, nesten utelukkende, i 10–16 % av tilfellene av intrahepatisk kolangiokarsinom (CCA).
Regulatorisk status	Legemiddelet fikk betinget markedsføringstillatelse (MT) i Europa for aktuell indikasjon (26.03.2021). Resultater fra en bekreftende fase-III-studie (FIGHT-302), som sammenlikner pemigatinib med gemcitabin i kombinasjon med cisplatin i førstelinje til pasienter med inoperabelt eller metastatisk kolangiokarsinom med FGFR2-endringer, var forventet innsendt innen utgangen av 2026. FIGHT-302-studien er imidlertid prematurt avsluttet. EU-kommisjonen har (02.07.2025) utstedt en forlengelse av den betingede markedsføringstillatelsen, og det er gitt nye forpliktelser til MT-innehaver om å skaffe til veie ytterligere data på effekt og sikkerhet av legemiddelet (bl.a. fra en ny bekreftende enarmet fase II-studie hos voksne pasienter med inoperabelt eller metastatisk kolangiokarsinom med FGFR2-endringer som ikke har hatt effekt av tidligere behandling, forventet innen utgangen av 2031[1].
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? ☐Ja ☒Nei
Bruksområde	Pemazyre som monoterapi er indisert til behandling av voksne med lokalt avansert eller metastatisk kolangiokarsinom med fibroblast-vekstfaktor-reseptor 2 (FGFR2)-fusjon eller rearrangering, med progresjon etter minst én tidligere linje med systemisk behandling.
Forventet dosering	Administreres peroralt (tabletter). Den anbefalte dosen er 13,5 mg pemigatinib tatt én gang daglig i 14 dager etterfulgt av 7 dager med behandlingspause. Behandlingen bør fortsette så lenge pasienten ikke viser tegn på sykdomsprogresjon eller uakseptabel toksisitet.
Forslag	**Anmodning om revurdering**
Innsendt av	Incyte Biosciences Nordic AB
Bakgrunn	Legemiddelverket (nå DMP) har tidligere metodevurdert pemigatinib til aktuell indikasjon. Beslutningsforum har flere ganger besluttet å ikke innføre metoden i norske sykehus, sist 12.12.2022, fordi det ikke var tilbudt en pris som sto i rimelig forhold til dokumentert nytte. På tidspunktet for metodevurderingen forelå ikke tilstrekkelige kliniske data til å kunne etablere relativ effekt mot dagens behandling. Dette var bl.a. knyttet til at den kliniske studien som lå til grunn for MT var en fase II-studie uten kontrollarm i biomarkør-positiv (FGFR+) populasjon

[1] Pemazyre : EPAR - Procedural steps taken and scientific information after authorisation (R/0019). Tilgjengelig fra: Pemazyre, INN-pemigatinib

	(FIGHT-202). For vurdering av relativ effekt hadde Incyte sendt inn en ekstern kontrollarm der data på FGFR2-status manglet. Det naturlige sykdomsforløpet for pasienter med FGFR2-endringer var på tidspunktet for metodevurderingen ikke godt dokumentert, men begrensede data fra retrospektive studier indikerte at FGFR+ status kunne være forbundet med et mer indolent sykdomsforløp og en fordelaktig prognose. Kontrollarmen ble derfor ansett å ha begrenset relevans for studiepopulasjonen, og den indirekte sammenlikningen ble ikke videre vurdert. I tillegg var oppfølgingstiden for tid-til-hendelse-endepunktene relativt kort, med en høy andel tidlig sensurering. Incyte har tidligere (november 2024) ønsket en revurdering av metoden på bakgrunn av oppdaterte data fra den pivotale FIGHT-202-studien, virkelighetsdata på pemigatinib i målpopulasjonen fra to retrospektive kohortstudier (PEMI-BIL og PEMI-REAL) og en post-hoc-analyse av en fase III-studie i pasienter med intrahepatisk kolangio-karsinom (BILCAP 2023) der prognosen ved ulike onkogene drivermutasjoner ble undersøkt (inkludert FGFR). På bakgrunn av dette, utarbeidet DMP en egnethetsvurdering (28.01.2025) der det ble vurdert at det ikke var vesentlig endret grunnlag for å belyse nytten av behandlingen sammenliknet med dagens behandlingsalternativer. DMP vurderte at opplysningene som Incyte viste til, sannsynligvis ikke var tilstrekkelige til å endre gjeldende beslutning, gitt prisnivået leverandøren har valgt for Pemazyre. Bestillerforum for nye metoder ga ikke oppdrag om en ny metodevurdering (10.02.2025). Incyte har på nytt anmodet om en revurdering av metoden, nå på bakgrunn av tilgjengelige data fra den prematurt avsluttede fase III-studien FIGHT-302. Den premature avslutningen av FIGHT-302-studien er begrunnet i endrede anbefalinger/retningslinjer for førstelinjebehandling av pasienter med kolangiokarsinom, som har gjort det vanskelig å rekruttere pasienter til studien[2] [3] [4]. I tillegg viser Incyte til det samme datagrunnlaget som også ble vurdert i forbindelse med DMPs egnethetsvurdering fra januar 2025 (som beskrevet over), men for oversiktens skyld gjentas resultatene også her. **Data fra FIGHT-302, populasjon med behandlingsbytte**: Denne studien var primært designet for å sammenlikne pemigatinib versus kombinasjonen gemcitabin/cisplatin i førstelinje til pasienter med inoperabelt eller metastatisk kolangiokarsinom med FGFR2-rearrageringer. Pasienter i gemcitabin/cisplatin-armen hadde imidlertid mulighet til å få behandling med pemigatinib ved sykdomsprogresjon, og det er denne populasjonen (n=42) som danner dokumentasjonsgrunnlaget for andrelinjebehandling med pemigatinib i FIGHT-302-studien. I populasjonen med behandlingsbytte var total responsrate (ORR) 38 % (16/42 pasienter, hvorav én pasient med komplett respons) (37 % i FIGHT-202-studien ved endelig datakutt), median

[2] FIGHT-302: NCT03656536

[3] Bekaii-Saab, T.S. et al. Pemigatinib for Unresectable or Metastatic Cholangiocarcinoma With Fibroblast Growth Factor Receptor-2 Rearrangement: Results From the Phase III FIGHT-302 Trial. J Clin Oncol. 2026 Aug 10;44(23):2187-2197. doi: 10.1200/JCO-26-00788. Epub 2026 Jun 1. https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/42223137/).

[4] Durvalumab (Imfinzi) i kombinasjon med gemcitabin og cisplatin er innført til førstelinje-behandling av voksne med inoperabel eller metastatisk galleveiskreft (se ID2022_116).

	progresjonsfri overlevelse (PFS) var 8,1 måneder og median varighet av respons var 6,2 måneder (95 % KI: 4,2 – 12,5). Data fra pasienter i crossover-populasjonen (n=42) er videre slått sammen med data fra relevant pasientpopulasjon i FIGHT-202-studien (n=108). Incyte opplyser at i denne sammenslåtte pasientpopulasjonen (n=150) var ORR på 37,3 %, median PFS var 7,5 måneder og median OS var 17,5 måneder (median OS er samme som i FIGHT-202-studien ved endelig datakutt). Det kan imidlertid bemerkes at de to studiene (FIGHT-202 og FIGHT-302) benyttet ulike doseringsregimer [5], noe som gjør at dataene ikke nødvendigvis er direkte sammenliknbare. **Retrospektive observasjonsstudier (PEMI-BIL og PEMI-REAL)** To retrospektive observasjonsstudier fra Frankrike og Italia undersøkte effekt og sikkerhet av pemigatinib i 2+ linje ved behandling av lokalavansert eller metastatisk FGFR2+ kolangiokarsinom (n=72). Pasientpopulasjonen i de to studiene var noe bredere enn i FIGHT-202-studien. Blant annet hadde færre pasienter ECOG 0 (38 % vs. 42 %), en større andel av pasientene var kvinner (76 % vs. 61 %) og flere pasienter hadde metastatisk sykdom (96 % vs. 82 %). Ved data-kutt (april 2023) var ORR 45,8 % (mot 37 % i FIGHT-202), median responsvarighet var 7 måneder (95 % KI: 5,8 – 9,3 måneder) (mot 9 måneder i FIGHT-202), median PFS var 8,7 måneder (95 % KI: 7,3 - 11,8 måneder) (mot 7 måneder i FIGHT-202) og median OS var 17,1 måneder (mot 17,5 måneder i FIGHT-202). Fravær av sentralisert, blindet vurdering av responser kan ha ledet til en overestimering av ORR og PFS. En eksplorativ analyse sammenliknet pasienter som fikk pemigatinib i andrelinje (n=43) med pasienter som fikk kjemoterapi i andrelinje (n=21) og deretter pemigatinib i en senere linje. I denne analysen ble det observert en PFS-fordel for pemigatinib (median PFS 8,6 måneder, 95 % KI: 6,6 måneder - ikke estimerbar) sammenliknet med 3,4 måneder (95 % KI: 1,8 – 8,3 måneder). Disse resultatene er sammenliknbare med post-hoc analyser fra FIGHT-202-studien, der det ble observert en PFS på 7,0 respektive 4,2 måneder for pasienter behandlet med pemigatinib i andrelinje vs. senere behandlingslinje.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Tilgjengelige data fra FIGHT-302-studien (som andrelinjebehandling) støtter opp under de oppdaterte/endelige resultatene fra FIGHT-202-studien. Videre bekrefter resultatene fra de to retrospektive observasjonsstudiene at antitumor-aktiviteten av pemigatinib dokumentert i FIGHT-202-studien også kan observeres i en bredere pasientpopulasjon behandlet i klinisk praksis. DMP vurderer imidlertid at det fortsatt foreligger begrensede, tilgjengelige studiedata for pemigatinib i aktuell pasientpopulasjon (inkl. behandlingslinje), og hverken FIGHT-202- eller FIGHT-302-studien, eller dataene fra de to retrospektive kohortstudiene er egnet for å etablere relativ effekt av pemigatinib som andrelinjebehandling. Dette primært på grunn av det ikke-sammenliknende studiedesignet, der samtlige pasienter ble behandlet med pemigatinib. Heller ikke den

[5] I FIGHT-202: pemigatinib 13,5 mg én gang daglig i 14 dager etterfulgt av 7 dager med behandlingspause (21-dagers sykluser). I FIGHT-302: pemigatinib 13,5 mg daglig på kontinuerlig basis (dvs. uten behandlingspause). Det er doseringsregimet fra FIGHT-202-studien som er anbefalt i henhold til preparatomtalen.

	eksplorative analysen som sammenliknet pemigatinib mot kjemoterapi i andrelinje vil gi valide estimater på relativ effekt, dette begrunnet i det begrensede pasientantallet, manglende randomisering av pasienter til de to ulike behandlingsregimene, fravær av blindet evaluering av responser og samtidig innrullering til førstelinje i FIGHT-302 studien ved de aktuelle studiesentrene. Selv om grunnlaget for å vurdere relativ effekt av pemigatinib i aktuell indikasjon (som andrelinjebehandling) ikke er vesentlig endret, foreligger det nå data fra den tidlige avsluttede FIGHT-302-studien som indikerer bedre effekt enn kjemoterapi (gemcitabin+cisplatin) i første behandlingslinje[6]. Blant 167 pasienter randomisert 1:1 til pemigatinib eller kjemoterapi før tidlig terminering av studien, var median progresjonsfri overlevelse 8,3 måneder i pemigatinib-armen mot 6,8 måneder i kjemoterapi-armen (hazard ratio 0,58 [95% KI: 0,39-0,87]. Objektiv responsrate var 47 % vs. 15 % og median responsvarighet var 14,2 vs. 6,3 måneder. Median totaloverlevelse var omtrent lik i de to gruppene (24,4 vs. 25 måneder). Data for totaloverlevelse konfunderes av at behandlingsbytte fra kjemoterapi til pemigatinib var tillatt ved dokumentert sykdomsprogresjon. 58 % av pasientene randomisert til kjemoterapi oppfylte kriteriene for behandlingsbytte og byttet over til pemigatinib. Ytterligere 23 % mottok FGFR2-hemmer som påfølgende behandling. Selv om data som foreligger for relativ effekt gjelder pasienter i en tidligere behandlingslinje, mener DMP at det bidrar til å opplyse saken. Prognosen for pasienter med metastatisk kolangiokarsinom er dårlig, med kort forventet levetid. Behandlingsmulighetene i metastatisk setting er begrenset, og innspill fra fageksperter til anmodningen peker på kjemoterapi eller placebo som relevante sammenligningsalternativ i andre behandlingslinje.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP anbefaler at videre saksgang diskuteres på Bestillerforum.

Versjonslogg*

Dato	Hva
03.11.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP

*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se Legemiddelsøk.no. Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.

[6] Pemigatinib for Unresectable or Metastatic Cholangiocarcinoma With Fibroblast Growth Factor Receptor-2 Rearrangement: Results From the Phase III FIGHT-302 Trial - PubMed

HELSE SØR-ØST

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

Nye metoder ID2020_059

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Som komparator i en metodevurdering kan forstås (1) hvilken etablert behandling 2L pemigatinib vil kunne erstatte i en klinisk kontekst dersom pemigatinib innføres, eller (2) hvilken annen godkjent/innført metode for andrelinjes behandling som effekt av 2L pemigatinib for CCA kan sammenlignes med. Ad 1: Det er ingen etablert andrelinjes tumorrettet behandling etter GemCisDurva for kolangiokarsinom med FGFR2 genfusjon eller rearrangering. 2L FOLFOX eller FOLFIRI vil ofte forsøkes, men responsratene er lave, og data er hovedsakelig etter 1L GemCis, uten durvalumab, og fra uselekterte populasjoner uavhengig av FGFR2-status (f.eks. ABC06-studien). Responsraten er da 5(-10)% etter tidligere GemCis, og det samme ser ut til å gjelde dersom durvalumab også er blitt gitt sammen med GemCis i første linje. Ad 2: Pemigatinib er ikke innført på annen indikasjon, og ingen annen 2L biomarkør-rettet behandling er innført for kolangiokarsinom. Det er dermed ingen god komparator for denne metodevurderingen. Gelleveiskreft er en sjelden sykdom, og FGFR2-genfusjoner/-rearrangeringer er sjeldne i alle typer kreft. Beste komparatorer for behandling innført av NyeMetoder/Beslutningsforum vil være enkorafenib+cetuksimab (BEACON) for CRC, samt trastuzumab + kjemoterapi (ToGA) ved ventrikkelcancer. Har forsøkt å sammenstille data for slike sammenligninger i følgende tabell.

Studie / behandling	Populasjon og behandlingslinje	Komparator	ORR	Median PFS	Median OS	PMID
FIGHT-202 – pemigatinib	CCA med **FGFR2-fusjon/rearrangering**, tidligere behandlet; nesten utelukkende iCCA	Ingen	**37,00 %**	**7,0 mnd**	**17,5 mnd**	38838500
FIGHT-302 crossover – pemigatinib	FGFR2-rearrangert CCA; **2L etter GemCis**	Ingen samtidig kontrollarm etter crossover	**38,1 % (16/42)**	**8,1 mnd**	**Ikke separat rapportert**	42223137
2L FOLFOX – pooled benchmark	Uselektert avansert BTC etter **GemCis**	Ingen felles kontrollarm	**10,42 %**	**3,03 mnd**	**6,43 mnd**	41648028
ABC-06 – FOLFOX + ASC	Uselektert avansert BTC etter progresjon på **GemCis**	**Active symptom control (ASC) alene**	**5 %**; ASC: ikke rapportert	**4,0 mnd**; ASC: ikke rapportert	**6,2 vs 5,3 mnd**, HR **0,69**	33798493
2L irinotekan/5-FU – pooled benchmark	Uselektert metastatisk BTC etter **platinum/gemcitabin**; hovedsakelig FOLFIRI-/irinotekan+5-FU-baserte regimer	Ingen felles kontrollarm	**9,10 %**	**2,7 mnd**	**6,8 mnd**	38902137
Randomisert fase II – mFOLFIRI	Avansert BTC etter **GemCis**	mFOLFOX	**4,0 % vs 5,9 %***	**2,1 vs 2,8 mnd**	**5,7 vs 6,3 mnd**	34303267
BEACON CRC – enkorafenib + cetuksimab	**BRAF V600E** mCRC etter 1–2 tidligere regimer	Cetuksimab + **irinotekan eller FOLFIRI**	**19,5 % vs 1,8 %**	**4,3 vs 1,5 mnd**, HR **0,44**	**9,3 vs 5,9 mnd**, HR **0,61**	33503393
ToGA – trastuzumab + kjemoterapi	HER2-positiv avansert ventrikkel-/GEJ-adenokarsinom, **1L**	Cisplatin + capecitabin eller 5-FU	**47 % vs 35 %**	**6,7 vs 5,5 mnd**, HR **0,71**	**13,8 vs 11,1 mnd**, HR **0,74**	20728210

* ORR i den randomiserte mFOLFIRI-vs-mFOLFOX-studien er oppgitt blant de 101 response-evaluerbare pasientene, ikke hele ITT-populasjonen.

2. Plass i norsk klinisk praksis

- Er det klinisk behov for metoden?

- Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling?

Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden

Ja, det er definitivt behov for metoden. Også i de få tilfellene vi har hatt pasienter som f.eks. i privat regi har mottatt FGFR2-rettet behandling, så har vi sett at de har hatt god nytte av det. Og publiserte retrospektive data bekrefter også vårt subjektive inntrykk (basert på få pasienter) og de dataene jeg har oppsummert i ovenstående tabell. Blant våre pasienter med kjent FGFR2-genfusjon har vi sjelden sett sykdomskontroll med tumorrettet behandling etter progresjon på GemCisDurva, og det er svært ønskelig med en potent behandlingsmulighet for disse pasientene i andre linje ved svikt på GemCis(Durva).

Pemigatinib vil komme inn som en ny linjes behandling og erstatte nåværende FOLFOX/FOLFIRI i andre linje. Men noen pasienter vil likevel kunne få FOLFOX/FOLFIRI i tredje linje (etter pemigatinib), ved god toleranse for tidligere systembehandling og bevart funksjonsnivå.

har/får i forhold til dagens alternativer.	Metoden er helt sentral for disse få pasientene som har FGFR2-genfusjon/rearrangering ved galleveiskreft. I noen tilfeller (dersom det er lokalavansert sykdom, uten ekstrahepatisk spredning), vil behandlingen i beste fall kunne muliggjøre nedgradering til kurativ behandling (kirurgi). Pasientene er generelt yngre enn pasienter uten FGFR2-genfusjon, og det er hjerteskjærende å ikke kunne tilby potent behandling som i beste fall kurerer pasienten når slik behandling finnes.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Kreftregisteret har ikke presise tall for hvor mange pasienter som årlig får inoperabel galleveiskreft, og vi har inntil nylig ikke testet rutinemessig for FGFR2-genfusjoner pasienter med påvist galleveiskreft. Et forsiktig estimat vil være 10-20 pasienter i Norge årlig.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Behandlingen med FGFR2 ser ut til å være relativt godt tolerert.
5. For metoder som ikke er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Jeg har jevnlig møtt representanter for industrien bl.a. under konferanser og via epost, inklusivt vært møteleder og holdt faglige innlegg innenfor behandling av ulike typer mage-tarm-kreft (galleveiskreft, leverkreft, kolorektalkreft, øsofaguskreft, ventrikkelkreft) for flere selskaper, mot honorar som i alle disse tilfellene har gått direkte til arbeidsgiver. Jeg har også opptrådt i rolle som nordisk rådgiver innenfor temaene galleveiskreft, pankreaskreft, «cross-border trials», samt deltatt i et internasjonalt ekspertgruppemøte om diagnose og behandling av galleveiskreft. Alle honorarer for medgått tid er blitt gitt direkte til arbeidsgiver. To av disse møtene har vært som rådgiver for Incyte, innenfor henholdsvis temaene «Nordisk rådgiver CCA» (mai-24) og «Nordisk rådgiver cross border trials» (okt-24), med honorar henholdsvis NOK 25.753 og NOK 29.432, som i begge tilfeller gikk til arbeidsgiver. Jeg har ikke hatt noen personlig fordel av kontakt med legemiddelindustrien.

7. Avsender av faglig innspill	
Sykehus	Oslo Universitetssykehus
Avdeling	Avdeling for kreftbehandling
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Arne Westgaard (overlege)
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

Innspill til Nye metoder fra ansatte i spesialisthelsetjenesten

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode - fyll ut ID-nummer (ID2025_xxx)

ID2020_059 Pemigatinib (Pemazyre) Monoterapi til behandling av voksne med lokalt avansert eller metastatisk kolangiokarsinom (gallegangskreft) med fibroblastvekstfaktor-reseptor 2 (FGFR2)-fusjon eller rearrangering, med progresjon etter minst én tidligere linje med systemisk behandling.

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ - Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? - Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Kombinasjonskjemoterapi med tillegg av immunterapi i form av Gemcitabine, Cisplatin og Durvalumab vil være første valg hos pasienter som kan tåle det, men Gemcitabine-Capecitabine, Gemcitabine-Oxaliplatin eller ev. Oxaliplatin-5FU (FLOX) er også etablerte behandlingsalternativer i 1. linje ved lokalavansert eller metastatisk gallegangskreft. I praksis vil man hos behandlingsmotiverte pasienter i god funksjonsklasse og allmenntilstand også vurdere 2. linjes cellegiftbehandling, men det foreligger ikke dokumentert effekt mht forlenget overlevelse (OS) ved kjemoterapibehandling utover 1. linje, og det anbefales derfor ikke på generelt grunnlag. På bakgrunn av dette vil placebo være en akseptabel komparator i 2. linje og senere.
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling	Kreft i galleblære- og galleganger er en sjelden kreftform med dårlig prognose og få effektive behandlingsmuligheter i lokalavansert og metastatisk setting. På bakgrunn av dette vil nye

(i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	behandlingsmetoder med selv små forbedringer i overlevelse være meningsfulle for pasientgruppen. Dersom overnevnte metode godkjennes vil den kunne komme inn som et godt alternativ til eventuell kjemoterapi i 2. linje hos de pasientene som har FGFR2- fusjon eller rearrangering i kreftcellene. Metoden vil foretrekkes fremfor dagens mulige 2. linjes behandlinger, men det kan ikke utelukkes at disse da forskyves til 3. linje dersom pasienten er i vedvarende god funksjonsklasse ved progresjon på omsøkte medikament.
3. Pasientpopulasjonen i Norge - Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Det er ca 320 pasienter per år i Norge som får galleblære- eller gallegangskreft. Det finnes flere undergrupper av gallegangskreft (intrahepatiske, hilære- og distale ekstrahepatiske). Den aktuelle metoden er kun aktuell for pasienter med FGFR2-fusjon eller rearrangering i svulstvevet. Disse endringene er mest vanlig i intrahepatiske cholangiocarcinomer og finnes hos ca 10-20 % av disse. Ref. Angerilli V et al., Pathologica. 2023. Kirurgi er eneste kurative behandlingsmodalitet og under 1/3 er aktuelle for operasjon. Blant dem som opereres med kurativt siktemål er det kun 20-45% 5-årsoverlevelse slik at opp mot 90 % av pasientene i diagnosegruppen vil måtte vurderes for palliativ og livsforlengende behandling i sykdomsforløpet. Basert på alder og ev. komorbiditet ved diagnostetidspunktet vil likevel antall pasienter aktuelle for systemisk tumorrettet behandling være relativt lavt, og antallet vil være enda lavere i en 2. linjes setting.
4. Andre forhold - Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Pemigatinib fikk «FDA Approval» 17.04.20 Innføring av metoden vil fordre tilgang til molekylærpatologiske analyser.
5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) - Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	NA

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gis innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).

Ingen økonomiske interesser, men Kreftklinikken, HUS, planlegger å delta i studien «INCB054828-214 A Phase 2, Single-Arm, Open-Label, Multicenter Study to Evaluate the Efficacy and Safety of Pemigatinib in Participants With Advanced/Metastatic or Surgically Unresectable Cholangiocarcinoma with FGFR2 Fusion or Rearrangements After at Least One Prior Line of Systemic Therapy (FIGHT-214)» der pasienter med cholangiocarcinom med FGFR2- fusjoner vil få tilbud om behandling med aktuelle leggemiddel (Pemigatinib) i 2. linje. Ut vil være lokal hovedutprøver i den studien. Jeg har også tidligere vært lokal hovedutprøver for 2 andre legemiddelstudier i regi av samme firma, men med annet medikament (INCMGA00012/Retifanlimab) og diagnose (ca ani) (POD1UM-202 og POD1UM-303). Ellers har jeg for noen år siden vært behandlingsansvarlig for en pasient som fikk tilgang til behandling med Pemigatinib betalt av legemiddlefirmaet som ledd i en form for «compassionate use» program.

7. Avsender av faglig innspill

Sykehus	Haukeland Universitetssjukehus
Avdeling	Kreftklinikken
Representert ved: Fagperson (navn og stilling)	Inger Marie Løes, Overlege PhD
Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av):	☒
Jeg har fylt ut hele punkt 6 «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):	☒

NYE METODER

Saksnummer: 154-26

Til:	Beslutningsforum for nye metoder
Fra:	Sekretariatet for Nye metoder
Dato:	04.11.2026

Forslag om vurdering av medisinsk utstyr: Kontinuerlig subkutan infusjon av hydrokortison i insulinpumpe hos pasienter med binyrebarksvikt. Administrativt avvist.

Hva saken omhandler i korte trekk

Nye metoder har mottatt et forslag om vurdering av metoden "*kontinuerlig subkutan infusjon av hydrydrokortison i insulinpumpe hos pasienter med binyrebarksvikt".* Forslaget er sendt inn fra en kliniker ved Sykehuset Levanger på vegne av norske endokrinologer.

Det er vurdert at metoden ikke oppfyller seleksjonskriteriene. Bestillerforum orienteres om at forslaget er administrativt avvist.

Bakgrunn for saken

I mai 2026 ble det innført en ny prosess for vurdering av medisinsk utstyr i Nye metoder hvor det er utarbeidet seleksjonskriterier som tydeliggjør hvilke metoder av typen medisinsk utstyr som spesialisthelsetjenesten har behov for å gjøre mer grundige vurderinger av.

Saksfremstilling

Nye metoder har vurdert forslaget opp mot seleksjonskriteriene for medisinsk utstyr i Nye metoder. Seleksjonskriteriene benyttes blant annet for å vurdere om en metode egner seg for en nasjonal metodevurdering og beslutning. For spesialisthelsetjenesten er det viktig å få metodevurdert de metodene som utgjør en prioriteringsutfordring eller som kan medføre betydelige besparelser, og dermed bør ha en nasjonal beslutning om innføring.

Forslaget gjelder bruk av insulinpumpe til et annet formål enn det CE-merkingen omfatter. Nye metoder har vurdert at saken i hovedsak gjelder bruk av medisinsk utstyr utenfor godkjent bruksområde. Dette innebærer at vurderingen i praksis dreier seg om regelverk og pasientsikkerhet, og ikke om prioritering mellom metoder slik Nye metoder er innrettet for å vurdere.

Etter innspill fra Sykehusinnkjøp og Direktoratet for medisinske produkter, og dialog med leder av Bestillerforum, ble det konkludert med at forslaget avvises administrativt uten videre behandling i Nye metoder. Forslagsstiller er orientert om at saken ikke vil behandles videre i Nye metoder.

Forslag til beslutning

Bestillerforum for Nye metoder tar saken til orientering.

Vedlegg

1. Forslagsskjema

Forslag om vurdering eller revurdering av medisinsk utstyr og diagnostiske tester i Nye metoder

Skjema for forslagsstiller

Dette skjemaet gjelder forslag til vurdering av medisinsk utstyr som finansieres gjennom spesialisthelsetjenesten.

Utstyr som oppfyller seleksjonskriteriene bør vurderes av Nye metoder, men utstyr som ikke oppfyller alle kriteriene kan også foreslås. Nye metoder vil i begge tilfeller vurdere om det skal gjennomføres en nasjonal metodevurdering. Les mer her: Medisinsk utstyr - Nye metoder

Nye metoder bruker definisjon på medisinsk utstyr (medical device) fra EU-forordning om medisinsk utstyr (Medical Device Regulation, MDR) artikkel 2 (1). Se definisjon.

Fagpersoner, organisasjoner og andre kan foreslå at medisinsk utstyr og diagnostiske tester skal vurderes i en nasjonal metodevurdering. En metodevurdering er en kunnskapsoppsummering som vanligvis vurderer klinisk effekt og sikkerhet, samt økonomiske konsekvenser. Organisatoriske, etiske og miljømessige forhold kan også inngå i vurderingen når det er relevant. For å gjennomføre en metodevurdering er det en forutsetning at det finnes dokumentasjon fra forskning. Bestillerforum for nye metoder tar stilling til om det skal gis et oppdrag om vurdering på bakgrunn av innsendte forslag.

Utfylt forslagsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no.

- Del 1-3, med unntak av de lyseblå feltene, skal fylles ut av forslagsstiller.
- Alle lyseblå felt i del 2 og del 4 fylles ut av klinikere i validerings- og innspillprosessen med mindre annet er spesifisert i kommentarfeltet. Feltene skal altså ikke fylles ut av forslagsstiller.

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no, og det er ikke anledning til å sende med vedlegg. Det er viktig at forslaget ikke inneholder helseopplysninger om enkeltpersoner. Forslaget skal heller ikke inneholde andre taushetsbelagte opplysninger som for eksempel avtalepriser.

Innhold – sjekk av opplysninger
Samtlige punkter må krysses av:

- Forslagsstiller er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet: ☒
- Forslagsstiller har ikke inkludert taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel helseopplysninger om enkeltpersoner eller avtalepriser: ☒
- Forslagsstiller har fylt ut punkt 1.2 nedenfor: «Interesser og eventuelle interessekonflikter»: ☒

Fyll ut dato for innsending av skjema: 21.09.2026

Mer informasjon om systemet for Nye metoder, finnes på nettsiden nyemetoder.no.

Innhold i forslagsskjemaet

Del 1: Kontaktinformasjon, interessekonflikter og opplysninger om det medisinske utstyret.
Del 2: Seleksjonskriterier.
Del 3: Utfyllende informasjon og vurderingsspørsmål.
Del 4: Innspill til foreslått metode

Del 1: Kontaktinformasjon, interessekonflikter og opplysninger om det medisinske utstyret.

1.1: Kontaktopplysninger forslagsstiller

1.1.1 Navn	Katarzyna Parfieniuk
1.1.2 Representasjon *Hvem sendes forslaget inn på vegne av?* *Oppgi arbeidssted, sykehusavdeling, organisasjon, pasientforening e.l. dersom aktuelt*	Søknad sendes på vegne av norske endokrinologer HNT , Barneavdelingen Sykehuset Levanger overlege
1.1.3 Telefonnummer	7409 8192; 46210286
1.1.4 E-postadresse	Katarzyna.parfieniuk@hnt.no

1.2: Interesser og evt. interessekonflikter

Beskriv forslagstillers relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som foreslås metodevurdert. Eksempler: Forslagsstiller har økonomiske interesser i saken. Forslagsstiller har eller har hatt oppdrag i forbindelse med, eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.

Ingen interessekonflikter

1.3: **Kort** om metoden som foreslås

1.3.1 Forslag til tittel *Utstyr ved behandling/diagnostikk av indikasjon/pasientgruppe*	Kontinuerlig subkutan infusjon av hydrydrokortison i insulinpumpe hos pasienter med binyrebarksvikt
1.3.2 Tiltenkt bruk av utstyret: *Beskriv ytterligere hvis dette ikke kommer frem i tittel over*	insulinpumpe
1.3.3 Hvis forslaget gjelder en ny vurdering av en metode som tidligere er vurdert i Nye metoder – fyll ut ID-nr.	Revurdering ☐ av ID-nummer: nei
1.3.4 Om metoden – kort beskrivelse av det medisinske utstyret: *Beskriv også om utstyret er til* • *individuell bruk av én person, men kan gjenbrukes av andre personer, f.eks. blodtrykksmåler.* • *bruk av én person, én gang (f.eks. implantater, pacemaker)*	Individuell bruk av en person som har binyrebarksvikt hydrokortison tilførsel i insulinpumpe; ikke behov for moderne insulinpumpe, ikke behov for cloose loop pumpe eller IQ kontroll, nok med gammel insulinpumpe

• *bruk for flere personer og stasjonert på sykehus (f.eks. CT-maskin) – «felles medisinsk utstyr»*	
1.3.5 Er utstyret ment for bruk i hjemmet?	☒ Ja ☐ Nei
1.3.6 Er utstyret tiltenkt selvadministrasjon?	☒ Ja ☐ Nei Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.3.7 Skal utstyret kun benyttes av helsepersonell?	☒ Ja ☐ Nei Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Del 2: Seleksjonskriterier

Alle punkter besvares uavhengig av om svaret er ja eller nei.

Seleksjonskriteriene skal understøtte de overordnede prioriteringskriteriene i helsesektoren (nytte, ressurs og alvorlighet), og er:

Kriterium	Ja/nei	Fyll inn kort begrunnelse
A: Er utstyret innenfor spesialisthelsetjenestens finansieringsansvar? *Vurder om initiering, evaluering og avslutning av behandlingen (der det medisinske utstyret brukes) styres av lege i spesialisthelsetjenesten. Denne definisjonen følger kriterium om plassering av finansieringsansvar for medisinsk forbruksmateriell i blåreseptforskriften § 1c andre ledd.*	☒ Ja ☐ Nei	Behandling med pumpe må vurderes av endokrinolog hos individuell pasienten med binyrebarksvikt. Pumpe må søkes av spesialist i endokrinologi og godkjennes av regional REB; opplæring i pumpe må ordnes i Endokrinologiskpoliklinikk av kvalifisert personell med god kunnskap om pumpe; oppføling av behandling, kontroll av sykdom og forbruk av pumpe må skje regelmessig i Endokinologiskpoliklinikk
☐ **Kriterium A oppfylt** *Kommentarer ved validering: [vil initiering, evaluering og avslutning av behandlingen med det aktuelle medisinske utstyret gjøres av lege i spesialisthelsetjenesten?]*		
B: Er utstyret CE-merket? *(Bokstav i parentes gjelder IVD-klassifisering)*	☒ Ja ☐ Nei	Kryss av dersom du kjenner til risikoklassen til utstyret: ☐ klasse I (IVD klasse A) ☐ klasse IIa (IVD-klasse B) ☐ klasse IIb (IVD-klasse C) ☐ klasse III (IVD-klasse D)
☐ **Kriterium B oppfylt** *Kommentarer ved validering (sjekkes av sekretariatet eller DMP):*		
C: Gir utstyret en mernytte på pasientutfall sammenlignet med nåværende behandling eller utredning i Norge? Begrunn. *(Mernytte defineres som økt (forventet) helsegevinst, altså forlenget liv og /eller forbedret livskvalitet. Det er ikke ment utstyr med små inkrementelle forbedringer til eksisterende utstyr som ikke gir en vesentlig endring i klinisk effekt. Eksempelvis ny modell av suturer eller hofteproteser, eller utstyr med samme virkningsmekanisme/prinsipp som eksisterende utstyr)*	☒ Ja ☐ Nei	Pasienter med binyrebarksvikt behandles vanligvis med konvensjonell oral glikokortikoider, men den behandlingen gir ofte flere problemer for dem. Alle pasienter behandles med hydrokortison i pumpe rapporterte en enorm forbedring i livskvalitet, så vel som energinivå, reduksjon i hodepine, morgenstrøtthet, konsentrasjon, utholdenhet og skole- og arbeidsprestasjoner. Ingen problemer med adherensen/compliance. Pumpe er den eneste tilgjengelige metoden for å etterligne den normale kortisols døgnrytme. Behandlingen er

			effektiv både klinisk og økonomisk og forbedrer livskvaliteten. Behandlingsendringen fra konvensjonell oral hydrokortison til hydrokortison p pumpe resulterte i en redusert daglig dose glukokortikoider og et redusert antall sykehusinnleggelser. Pasientene rapporterte gjenvinning av energi, oppnåelse av bedre sykdomskontroll og bedre håndtering av binyrebarkkrise.
☐ **Kriterium C oppfylt** *Kommentarer ved validering: [mernytte defineres som økt (forventet) helsegevinst, altså forlenget liv og/eller forbedret livskvalitet]*			
D: Andre aspekter. Hvis svaret er ja på <u>minst ett</u> av følgende punkter (1 til 3) er D oppfylt.	**D1. Kostnader:** Innebærer innføring av utstyret betydelige kostnader for spesialisthelsetjenesten? Terskel for «ja»: til sammen over 50 mill. kroner ved utløp av år 3. ***<u>Beskriv følgende dersom du har kjennskap til:</u>*** •***Investeringskostnad:*** *Dette inkluderer kostnader for anskaffelse av nødvendig utstyr, teknologi og infrastruktur for å implementere utstyret.* •***Kostnader knyttet til bruk av utstyret:*** *Dette omfatter driftskostnader, forbruksvarer og andre løpende utgifter knyttet til daglig bruk av utstyret.* •***Kostnader i form av serviceavtaler****: Dette inkluderer kostnader for vedlikehold, oppgraderinger og teknisk støtte som er nødvendig for å sikre at utstyret fungerer optimalt over tid.*	☐ Ja ☒ Nei	Bruk av insulinpumpe i subtitusjonsbehandling hos pasienter med binyrebarksvikt kan være mer kostbar enn peroral konvensjonell substitusjon if utstyr, forbruksmateriell til pumpe. Men i langsikt er det bedre økonomisk for samfunnet fordi hydrokortison substitusjon i pumpe forårsaker at: -de har bedre kontroll over sykdom, bedre livskvalitet, utholdenhet og skole- og arbeidsprestasjoner, mindre fravær fra skole, arbeid (pasienter selv og foreldrene til pasienter) -tydelig redusert av besøk for ØH og tydelig redusert behov og hyppighet av innleggelse på sykehuset og betydelig mindre risiko til å få Addison krise (faller kostnader if liggedøgn på sykehuset som er betydelig dyr) -faller fravær fra skole, jobb, det hindrer ufortrygghet, tiden på AVP, sykemelding, behov for pleiepengerattet Pasienter brukes pumpe som eksisterer allerede på norske markedet, de er insulinpumper; det er behov for gamle pumpe, ikke moderne med IQ kontroll eller close loop

	•***Avhendingskostnader:*** *Kostnader forbundet med avhending av utstyret når det ikke lenger er i bruk, inkludert eventuell resirkulering eller sikker destruksjon.* •***Livstidskostnader:*** *Dette refererer til de totale kostnadene knyttet til utstyret over dens forventede levetid.* *Det er ment totale kostnader, ikke merkostnader sammenlignet med eksisterende alternativ(er).*		Kostander i form av serviceavtaler er inkludert i LiS anbud Avhendingskostnader: samme som hos diabetiker behandles med pumpe Pasienter med binyrebarksvikt rapporteres å ha redusert livskvalitet og en dobling av total dødelighet til tross for oral glukokortikoider substitusjon. Alle data, studier og gene erfaring tyder at de som behandles med hydrokortison sc i pumpe får betydelig kontroll over binyrebarksvikten sin og er i stand til å forbedre livskvaliteten sin betraktelig. De rapporterer at de klarer å reintegrere seg tilbake i samfunnet, komme tilbake til studiene, fortsette karrieren sin og, viktigst av alt, få et bedre familieliv.
	☐ **Kriterium D1 oppfylt** *Kommentarer ved validering: [Virker anslag for kostnader realistisk? Er alle kostnader oppgitt (investeringskostnad, kostnader knyttet til bruk, serviceavtaler, avhendingskostnader, livstidskostnader)?]*		
	D2. Konsekvenser for helsepersonellressurser: Har utstyret potensielt stor betydning for bruk av helsepersonellressurser, helsepersonells tidsbruk, eller potensiell oppgaveglidning? **Begrunn.** *(Begrunn hvorfor utstyret har potensielt stor betydning for bruk av helsepersonell. Dette kan være både mer eller mindre bruk av helsepersonell, og eventuell oppgaveglidning f.eks. fra lege til sykepleier, og sykepleier til hjelpepleier. Uavhengig av om svaret er ja eller nei bør konsekvenser for helsepersonell beskrives hvis mulig)*	☒ Ja ☐ Nei	God substitusjonsbehandling med hydrokortison i pumpe forårsaker bra kontroll over sykdom og det faller: -behov for tett oppfølging, hyppige kontroller på Endokrinologipoliklinikk -behov for akutt besøk pga Addison kriser, samtidig behov for akutt innleggelser på sykehus Pasienter er mer selvstyring , kan behandle stress situasjoner bedre og fortere med sc hydrokortison

	☐ **Kriterium D2 oppfylt** *Kommentarer ved validering: [Er anslåtte konsekvenser for helsepersonellressurser realistiske?]*		
	D3. Organisatoriske konsekvenser: Har utstyret potensielt store organisatoriske konsekvenser? *(Beskriv eventuelle organisatoriske konsekvenser av å innføre utstyret. F.eks. samlokalisering, nasjonalt senter, høyspesialiserte tilbud, endring fra sykehus- til hjemmebehandling. Uavhengig av om svaret er ja eller nei bør organisatoriske konsekvenser beskrives hvis mulig).*	☐ Ja ☒ Nei	Det er allerede satt i helsesystemet pga pumpe brukes til insulin lenge, det
	☐ **Kriterium D3 oppfylt** *Kommentarer ved validering: [Er anslåtte organisatoriske konsekvenser realistiske?]*		

Del 3: Utfyllende informasjon om det medisinske utstyret og vurderingsspørsmål (problemstilling)

Svar kort og presist.

Informasjon om PICO

PICO er et sentralt begrep i metodevurderinger, og opplysningene som innhentes her kan relateres til dette. PICO står for:

- P = pasientgruppe (populasjon)
- I = intervensjon (det aktuelle tiltaket)
- C = komparator (det man sammenligner med - typisk dagens standardbehandling)
- O = utfall / endepunkter (det man ønsker å måle)

PICO gir metodevurderingen en ramme ved å definere og avgrense hva som skal vurderes.

3.1: Foreslå hva som bør være hovedproblemstilling(er) for metodevurderingen, samt eventuelle underproblemstillinger, ved å angi PICO.

3.1.1 Pasientgruppe (P)	Binyrebarksvikt
3.1.2 Intervensjon (I)	Subkutant hydrokortison tilførsel i pumpe
3.1.3 Sammenligning (Comparator) (C)	Konvensjonell, standard peroral behandling med glukokortikoid tabletter
3.1.4 Utfallsmål (Outcome) (O)	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst. Å gjenskape den normale døgnrytmen for kortisolsekresjon, normal kortisol døgnprofil, hos pasienter med CAH: tilstrekkelig hemning av 17OHprogesteron og androstendion (binyrebarkandrogener) Normal urviklign hos barn: høyde, vekt, høydetilvekst, blodtryk, normal pubertal utvikling; unngå underbehandling og overbehandling QoL (livskvalitet)
3.1.5 Eventuelle kommentarer til PICO:	kontinuerlig subkutan hydrokortisoninfusjon via insulinpumpe: -et verdifullt terapeutisk alternativ for barn med binyrebarksvikt -særlig for barn med kronisk hormonell ubalanse eller/og i tilfeller av dårlig etterlevelse av konvensjonell behandling som øker risikoen for akutt krise

	-kan løse problemene forbundet med konvensjonell oral substitusjonsterapi som er: •glukokortikoid substitusjon kvantitativt etterfyller binyrehormonene, gjenoppretter den ikke den unormale kortisolbiorytmen . Oral terapi etterligner dårlig den normale døgnrytmen av kortisol. Derfor er det ofte vanskelig å holde bra klinisk og hormonell kontroll over sykdommen •met er svært vanlig i klinisk praksis at pasienter klager over **morgentretthet, hodepine, kvalme** under konvensjonell behandling •Mange faktorer som påvirker glukokortikoider virkning: gastrointestinale faktorer som påvirker oral absorbsjon, hepatisk metabolisme og forskjellig, individuell farmakokinetikk av glukokortikoider hos hvert barnet •Vanskelig å behandle stress situasjoner •Problemer med adherensen •Overbehandling eller underbehandling: Overbehandling fører til vektøkning, dårlig lineal vekst, nedsatt beintetthet, økt kardiovaskulær risiko, metabolske og psykososiale komplikasjoner Underbehandling kan føre til trøtthet, øker risiko for Addison krise, dårlig prestering på jobb, skole *hos barn med CAH: tidlig puberteten (adrenarke/pubarke), akselerert høydehastighet, avansert skjelettalder og kortvoksthet, virilisering hos jenter, amenore, TART (testicular adrenal rest tumor) hos gutter hypogonadisme, hos begge kjønn infertilitet, nedsatt libido -muliggjør justerbar glukokortikoid tilførsel nøyaktig og kan etterligne et mer fysiologisk kortisolmønster sammenlignet med per oral behandling

	-en av den viktigste fordelen: lett å sette ekstra bolus doser ved stress som tas opp og fungerer umiddelbart

3.2: Utfyllende informasjon om metoden

3.2.1 Dersom du kjenner til at utstyret har CE-merke for andre indikasjoner, nevn disse her.	Pumpe brukes til insulinbehandling hos pasienter med diabetes mellitus
3.2.2 Alvorlig sykdom *Beskriv alvorlighetsgraden av tilstanden/sykdommen som utstyret er ment for.*	Ja: binyrebarksvikt er det som en kronisk endokrinologisk sykdom med høy morbiditet, og med et konstant iboende potensial for akutt, livstruende mortalitet dersom den ikke substitueres adekvat. **Dårlig behandlet eller utilstrekkelig substituert binyrebarksvikt er en kritisk og potensielt fatal tilstand.** Binyrebarken produserer hormoner som er absolutte forutsetninger for liv, og en suboptimal behandling (for lave doser over tid, manglende stressdosering eller dårlig etterlevelse) setter pasienten i en konstant sårbar situasjon. Her er de sentrale medisinsk-faglige årsakene til hvorfor mangelfull behandling er så alvorlig: 1. Permanent risiko for akutt binyrebarkkrise (Adrenal krise) Dette er den mest umiddelbare og livstruende konsekvensen. Hvis en pasient går på for lave vedlikeholdsdoser, eller ikke har fått tilstrekkelig opplæring i å øke dosen under fysisk stress (som ved infeksjoner, feber, oppkast, traumer eller kirurgi), faller kroppens stressberedskap til null. - sirkulatorisk kollaps: Uten nok kortisol mister blodkarene evnen til å respondere på kroppens egne trykkøkende hormoner. Dette fører til et refraktært (behandlingsresistent) hypovolemisk og vaskulært sjokk.

	- høy dødelighet: En ubehandlet eller forsinket behandlet addisonkrise fører raskt til multiorgansvikt og død. 2. Kronisk metabolsk og elektrolyttmessig ustabilitet Ved dårlig regulert substitusjon (spesielt ved primær binyrebarksvikt hvor også aldosteronproduksjonen svikter) klarer ikke nyrene å opprettholde kroppens salt- og væskebalanse. - alvorlig hyponatremi og hyperkalemi: Natriumtap og kaliumopphopning i blodet fører til kronisk dehydrering, lavt blodvolum og i verste fall livstruende hjerterytmeforstyrrelser (arytmier). - suboptimal glukoseregulering: Kortisol er et glukokortikoid som stimulerer leverens produksjon av sukker. For lite kortisol fører til gjentatte episoder med alvorlig hypoglykemi (lavt blodsukker), noe som kan gi hjernepåvirkning, kramper og bevissthetstap. 3.Akkumulert morbiditet og redusert livskvalitet Pasienter som er undersubstituert (ikke behandlet tilstrekkelig) lever i en tilstand av konstant energimangel og systemsvekkelse. - dårlig utvikling hos barn - kronisk asteni og muskelatrofi: Pasienten opplever invalidiserende tretthet, muskelsvakhet og uttalt utmattelse som ikke bedres av hvile. -gastrointestinal dysfunksjon: kronisk kvalme, anoreksi (appetittløshet) og vekttap fører til feilernæring og generell fysisk svekkelse (kakeksi). 4. CAH - underbehandling Hos barn med CAH: tidlig puberteten (adrenarke/pubarke), akselerert høydehastighet, avansert skjelettalder og kortvoksthet som fører til kortvoksthet, virilisering hos jenter, menstruasjonsforstyrrelser bl.annet amenore,

	TART (testicular adrenal rest tumor) hos gutter, hypogonadisme, infertilitet, nedsatt libido, problemer med seksuell livet 5. Den vanskelige balansegangen (over- versus underbehandling) "Dårlig behandlet" kan også innebære at pasienten over tid får *for høye* doser med glukokortikoider for å unngå kriser. Dette er også alvorlig og medfører langtidskomplikasjoner som: - iatrogent Cushings syndrom: Sentral fedme, tynn hud, og muskelsvinn. - osteoporose: Sterkt økt risiko for spontanfrakturer i skjelettet. - kardiovaskulær sykdom og diabetes: Økt risiko for hypertensjon (høyt blodtrykk) og insulinresistens. **Oppsummering:** Binyrebarksvikt har et svært smalt terapeutisk vindu. Dårlig behandling betyr at pasienten enten utsettes for snikende langtidsbivirkninger av for høye doser, eller – mer akutt – lever med en konstant risiko for akutt sirkulatorisk kollaps og død ved den minste fysiske påkjenning.
3.2.3 Potensielle kostnadsbesparelser *Beskriv om utstyret kan være kostnadsbesparende for helsetjenesten. Samfunnsøkonomiske virkninger skal som hovedregel ikke med.*	Det synker antall sykehusinnleggelser og legebesøk på grunn av manglende kontroll over sykdommen og akutte komplikasjoner i form av akutt mild, moderat eller alvorlig Addison krise)
3.2.4 Gi en kort beskrivelse av dagens tilbud. *Hvilken/hvilke metoder brukes nå?* *Vil utstyret komme i tillegg til eksisterende metoder?* *Erstatter utstyret, helt eller delvis, eksisterende metoder som potensielt kan fases ut?*	Pasienter med binyrebarksvikt behandles tradisjonelt med intermitterende doser av orale glukokortikoider. Det mangler imidlertid enighet om orale doseringsregimer, med stor variasjon i dose, tidspunkt og hyppighet av oral glukokortikoidsbehandling VI har tilgengelig i Norge perorale medisiner: kortidsvirkende glukokortikoider (hydrokortison, kortison acetat), langtidsvirkende hydrokortison med modifisert frisetting av hydrokortison, også syntetiske langtidsvirende glukokortikoider.

	Det han vi også Solu Corteff : hydrokortison væske til pumpe behandling og den brukes som nødsprøyte intramuskulær og intravenøs. 1) kortidsvirkende glukokortikoider Brukes i elementær substitusjon og som ekstra, øyeblikkelig hjelp behandling. Hydrokortison eller kortisonacetat er vanligvis første valg hos barn grunnet kort virkningstid og lav potens (liten veksthemmende virkning). Det tas svært raskt opp i blodet og når maksimal konsentrasjon etter ca. 1 time (den er best når du trenger rask effekt f.eks. ved stress eller sykdom)., og virker gjennomsnittlig fra 2 til 4 timer, max 6 er best kroppen (det relateres av individuell omgjøring av medisinen hos enkel pasienten) 2) langtidsvirkende hydrokortison med modifisert frisetting av hydrokortison Plenadren til voksne og ungdommer som er ferdig med høydetilvekst, vanligvis tas i 1 morgens dosen for å gi dekning ut over dagen Chronocort (Efmody) til voksne og barn ≥12 år , fordelt på 2 doser, 2/3-3/4 del av dosen om kvelden, resten om morgenen; I motsetning til vanlige tabletter som virker raskt, er Efmody designet for å tas om kvelden. Den frigjør virkestoffet gradvis slik at kortisolnivået er på sitt høyeste tidlig om morgenen, akkurat slik det er hos friske mennesker. Medisinen er spesielt effektiv for pasienter med medfødt binyrebarkhyperplasi (CAH). Ved å gi bedre dekning om natten, demper den overproduksjonen av binyrebarks androgener (17OH progesteron, androstendion) mer effektivt enn standardbehandling. Bedre kontroll over vekt, blodtrykk og glukosemetabolisme. 3) langtidsvirkende syntetiske glukokortikoider Kan brukes hos voksne og ungdommer som er ferdige med puberteten og høydetilvekstprosessen (prednisolon, dexamethason) hvis de ikke kommer i mål med vanlig behandling , fordeles på 2 doser med 12 timers intervall.
3.2.5 Kjenner du til om utstyret er omtalt i nasjonale faglige retningslinjer eller	☒ Ja ☐ Nei Angi eventuelt hvilke og kommenter behov for endringer: insulinpumpe brukes for behandling av diabetes mellitus- det er etablert veileder for

handlingsprogrammer utarbeidet av Helsedirektoratet?	behandling med pumpe; if sc hydrokortison substitusjon i pumpe: skal publiseres oppdatert retningslinie for binyrebarksvikt behandling hos barn i høst 2026 hvor pumpe behandling er beskrevet (utgave finnes hos forfatter)
3.2.6 Kan utstyret få konsekvenser for andre grupper enn aktuell pasientgruppe? F.eks. pårørende? Beskriv.	Ja, subkutant hydrokortison i pumpe hos barn med binyrebarksvikt har stor betydning for foreldre (u.t.har brukt pumpe hos barn i løpet av siste 6 år): - en langt mer stabil, trygg og naturlig hverdag for barnet - barn kan være svært utfordrende å medisinere med faste tabletter eller granulat flere ganger om dagen, spesielt i barnehage- og skolehverdagen, erfaringer viser at kontinuerlig pumpebehandling gir **betydelig bedre livskvalitet** for både barnet og familien. -bedre håndtering av stress situasjoner med pumpe, kan brukes sykeprofil i noen timer uten risiko at barnet glemmer å ta tablett -forsviner problemer at tablett glemmes eller gis ikke av assistent, eller gis for sent (som kan ha også konsekvenser i form av utvikling av mild Addison krise eller kronisk trøtthet) - reduseres risiko for binyrekrise ved oppkast og omgangssyke eller andre stress situasjoner Dette er foreldrenes største frykt. Hvis et barn med binyrebarksvikt får omgangssyke med oppkast, vil de ikke klare å ta opp tablettene i tarmen. Foreldrene må da umiddelbart sette en nød-injeksjon med hydrokortison i lårmuskelen og reise til sykehus. Siden pumpen leverer medisinen subkutant, er opptaket helt uavhengig av mage-tarm-systemet. Foreldre kan enkelt justere opp dosen på pumpen ("stressdosering") ved feber eller infeksjoner, uten å måtte tvinge i barnet tabletter eller ty til sprøyter i akutte situasjoner
3.2.7 Har utstyret potensielt viktige konsekvenser angående rettferdighet, eller etiske, juridiske, miljø-/klimamessige konsekvenser (f.eks. utslipp, bruk av kunstig intelligens), eller sosiale konsekvenser? Beskriv.	Som ved diabetes mellitus

3.2.8 Hva er forventet klinisk effekt av utstyret?	Subkutant hydrokortison i pumpe etterligner mye mer fysiologisk kortisol sekresjon samelikende med konvensjonell peroralt substitusjon som er vikitg for pasienter,. Derfor er det: -mulig å bruke lavere døgn dosen til hydrokortison -betydelig forbedring i generell velvære, trivsel, normal utvikling, pubertet -bedre livskvalitet, mestring av sykdommer, stress situasjoner (bedre tilpassing av stress doser) -færre episoder med akutte Addison kriser -mulig å få optimal klinisk og hormonkontroll, beholde bra utvikling hos barn/ungdommer if høyde, vekt, puberteten, unngå over- og underbehandling og slg konsekvenser av disse -bra adherensen -bedre mestring av sykdommen, særlig ved stress, infeksjoner eller hvis de får forvarsel om mulig krise
3.2.9 Kjenner du til uønskede hendelser og bivirkninger (sikkerhet) knyttet til bruken av utstyret?	Som hos pasienter med diabetes mellitus behandles med pumpe: pumpesvikt, infeksjon i stikksteder, knekk i nål. Det forutsetter god opplæring av utstyret.

3.3 Implementering og bruk	
3.3.1 Kjenner du til om utstyret er tatt i bruk?	**JA:** Ja, utstyret er tatt i bruk i klinisk praksis. Ved følgende sykehus: i hele Norge hos diabetiker, if hydrokortison i pumpe: hos barn brukes av u.t. over 6 år på Levanger Sykehuset, også Haukeland Sykehuset i Bergen; det brukes hydrokortison i pumpe hos voksne i hele Norge ☐ Ja, utstyret er tatt i bruk innen forskning/utprøving. Ved følgende sykehus: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst. ☐ Nei
3.3.2 Gi en kort beskrivelse av hvordan helsepersonell kan læres opp i bruk av utstyret, og pasient/bruker i de tilfeller det er relevant.	Ikke behov for opplæring av helsepersonell fordi utstyr tsv insulinpumpe er kjent og brukes i Norge lenge, det er diabetesteamet som involveres i opplæring av pumpebruk, også hos pasienter med binyrebarksvikt

3.3.3 Eventuelle kommentarer til bruken av utstyret:	U.t. har brukt hydrokortison substitusjon i insulinpumpe hos pasienter i løpet av siste 6 år (samt mange voksne endokrinologer i Norge), pumpe behandling er veldig viktig og god alternativ som bør brukes hos vanskelig pasienter med binyrebarksvikt. Det har ikke noen spesielle kommet problemer med utstyr hos pasienter substueres med hydrokortison i pumpe, mye faktisk mindre enn hos diabetiker.
3.3.4 Oppgi eventuelle lignende utstyr (sammenlignbare) for samme indikasjon. Oppgi navn på leverandører.	-

3.4 Stråling og strålerisiko

3.4.1 Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)? *Beskriv eventuelt stråling mht. ioniserende/ikke-ioniserende, eventuelt type strålekilde, utstyr, og stråleeksponering.*	☐ Ja ☒ Nei Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
3.4.2 Har metoden påvirkning på strålerisiko (på pasient/personell-nivå eller på populasjonsnivå)? *Beskriv påvirkning på strålerisiko.*	☐ Ja ☒ Nei Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

3.5 Dokumentasjon og øvrig informasjon

3.5.1 Oppgi referanser til dokumentasjon om utstyrets effekt og sikkerhet (eks. tidligere metodevurderinger) dersom du har kjennskap til dette. *Opptil 10 sentrale referanser.* ***Ikke send vedlegg.***	Hanna Dis Margeirsdottir, Katarzyna Parfieniuk og Karianne Tøsse, Binyrebarksvikt, Pediatri veileder, oppdatring skal publiseres høsten 2026 (utgave finnes hos forfatter), Helsebilibliotek Björnsdottir S., Øksnes M., Isaksson M., Methlie P., Nilsen R. M., Hustad S., Kämpe O., Hulting A.-L., Husebye E. S., Løvås K., Nyström T., and Bensing S., Circadian hormone profiles and insulin sensitivity in patients with Addison's disease: A comparison of continuous subcutaneous hydrocortisone infusion with conventional glucocorticoid replacement therapy, Clinical Endocrinology. (2015) 83, no. 1, 28–35, 2-s2.084932194005, https://doi.org/10.1111/cen.12670, 25400085.

	Hindmarsh P. C., The child with difficult to control Congenital Adrenal Hyperplasia: Is there a place for continuous subcutaneous hydrocortisone therapy, Clinical Endocrinology. (2014) 81, no. 1, 15–18, 2-s2.0-84902553400, https://doi.org/10.1111/cen.12453, 24655023. Hindmarsh P. et al Fourteen years' experience of hydrocortisone pump therapy for cortisol replacement in adrenal insufficiency Endocrine Abstracts (2018) 58 OC5.4 | DOI: 10.1530/endoabs.58.OC5.4 BSPED2018 Oral Communications Oral Communications 5 Nella A. A et al A phase 2 study of continuous subcutaneous hydrocortisone infusion in adults with congenital adrenal hyperplasia, The Journal of Clinical Endocrinology & Metabolism. (2016) 101, no. 12, 4690–4698, 2-s2.0-85003601785, https://doi.org/10.1210/jc.2016-1916, 27680873. Aikaterini A Nella et all "A Phase 2 Study of Continuous Subcutaneous Hydrocortisone Infusion in Adults With Congenital Adrenal Hyperplasia" J Clin Endocrinol Metab. 2016 Sep 28;101(12):4690–4698. doi: 10.1210/jc.2016-1916 Khalil A, Ahmed F, Alzohaili O. Insulin pump for adrenal insufficiency, a novel approach to the use of insulin pumps to deliver corticosteroids in patients with poor cortisol absorption. Presented at: American Association of Clinical Endocrinologists 28th Annual Scientific & Clinical Congress; April 24-28, 2019; Los Angeles, CA. Lee J. et all "Continuous Subcutaneous Hydrocortisone Infusion in Adrenal Insufficiency: Practical Experience in 33 Subjects" Endocrine Practice, Volume 31, Issue 8, August 2025, Pages 987-994 Sasigarn A. BowdenPediatric Adrenal Insufficiency: Diagnosis, Management, and New Therapies

	International Journal of Pediatrics November 2018 https://doi.org/10.1155/2018/1739831 Mortensen M.L et al Patients with Hypocortisolism Treated with Continuous Subcutaneous Hydrocortisone Infusion (CSHI): An Option for Poorly Controlled Patients Int J Endocrinol 2023 Mar 20;2023:5315059. doi: 10.1155/2023/5315059
3.5.2 Hvis seleksjonskriteriene (A–D) ikke er oppfylt, gi en begrunnelse for hvorfor utstyret bør vurderes på nasjonalt nivå.	Pumpe er allerede i brukt
3.5.3 Oppgi eventuell supplerende relevant informasjon (inntil 300 ord):	Binyresvikt er en sykdom som utvikler seg fra ulike fysiologiske prosesser. Det er en tilstand der binyrene ikke produserer tilstrekkelige mengder viktige hormoner, spesielt kortisol. Dette krever spesiell oppmerksomhet og systematisk, livslang behandling. Riktig behandling lar personer med binyresvikt leve aktive liv, men det krever både daglig erstatningsterapi og evnen til å justere doseringer og håndtere behandling i stressende situasjoner. Til tross for tilgjengeligheten av konvensjonell behandling med orale glikokortikoider, responder ikke noen pasienter på peroralt substitutjon, og oppnår noen pasienter ikke optimal sykdomskontroll, noe som fører til nedsatt livskvalitet, økende mortalitet, dårlig utvikling, og hverdags livet. Det er særlig pasiener som: har rask metabolisme av kortisol der tilstrekkelig kontroll ikke kan oppnås med konvensjonell erstatning, selv ved 4–5 ganger daglig dosering; de med alvorlig mageirritasjon fra glukokortikoider; de som opplever livstruende tilstander fordi de ikke tar medisinene sine regelmessig, som planlagt; også barn som har varierende aktiviteter daglig, helsetilstand, humør, utvikler seg rask og ofte ikke vil ta tabletter. Derfor er det behov for en alternativ behandlingsmetode. Insulinpumper, som vanligvis brukes til å behandle pasienter med diabetes, kan brukes til å levere hydrokortison og kan gi symptomkontroll, forhindre binyrebarkkrise og redusere nødvendig kortisol døgndose.Pumpen er veldig godt alternativ for dem som opplever ekstremt redusert livskvalitet på grunn av manglende evne til å oppnå et akseptabelt suksessnivå med oral kortisolerstatning. Pumpen sikrer 100 % absorpsjon fordi medisinen går rett fra

	fettet inn i venen. Det er en stor fordel i stress situasjoner –hydrokortison sc fungerer umiddelbart. Stress bolus doser kan settes før planlagt aktivitetter, i fleksible og forskjellige mengde (lave, store, midlertidig basal dose +100% ved aktiviteter), alltid settes en ekstra profil for sykedager. Det merkes mye bedre mestring av sykdommer, pasienter eller foreldre klarer å forebygge Addison krise ved varsel symptomer med fort ekstra doser fra pumpe (bolus dosen). U.t. er 30 år erfarende spesialist i pediatri og barneendokrinologi med spesielt interesse i binyrebarksvikt hos barn, også 6 år erfaring med sc hydrokortison substitusjon i pumpe hos disse pasientene. Alle infromasjoner som skkrives i søknad er ikke bare fra litteratur med også fra mine egne praksis og erfaring. Alle barn som bruker pumpe g deres foreldrene mener at livet er forandret seg, takknemlig for denne intervensjonen og de fleste foretrekker å forbli på pumpeterapien. Søknad sendes fordi mange leger i Norge har vanskeligheter for å skaffe pumpe, mangel på kunnskap og forståelse fra fagdirektørenes og REBs side som krever nasjonal godkjenning av metoden.

Del 4: Innspill til forslått metode (fra fagmiljøer)

Nye metoder innhenter innspill fra fagmiljøer i helseforetakene og fra Legeforeningens fagmedisinske foreninger for å hjelpe Bestillerforum for nye metoder med å prioritere hvilke metoder det skal gjøres nasjonale metodevurderinger på og hvilken type metodevurdering det er mest hensiktsmessig å gi oppdrag om.

Innspillet blir lagt ved sakspapirene til Bestillerforum som blir publisert på nyemetoder.no. Husk derfor å ikke inkludere taushetsbelagte opplysninger, som for eksempel avtalepriser eller informasjon som kan spores til enkeltpasienter. Husk å fylle ut hele spørsmål 6 og 7.

Det er behov for korte og konsise innspill fra avdelinger/fagmiljøer.

Metode – fyll ut ID-nummer (ID2026_xxx)

Spørsmål	Faglige innspill
1. Dagens behandling – alternativ -Hva er etablert behandling for pasientgruppen i dag? -Hva bør være komparator i en eventuell metodevurdering? Skriv kort, referer gjerne til ID-nummer hvis det er en metode i Nye metoder.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
2. Plass i norsk klinisk praksis - Er det klinisk behov for metoden? - Vil legemiddelet/det medisinske utstyret i metoden bli brukt i stedet for annen behandling (i så fall hvilken) eller vil det komme i tillegg til dagens behandling? Skriv kort om hvor sentral rolle du anser at den foreslåtte metoden har/får i forhold til dagens alternativer.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
3. Pasientpopulasjonen i Norge -Har du kommentarer til pasientpopulasjonen som kan være aktuell for metoden (avgrensning, størrelse)?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
4. Andre forhold -Er det andre forhold du mener det er relevant at Bestillerforum er kjent med?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

5. For metoder som <u>ikke</u> er legemidler (medisinsk utstyr/prosedyrer) -Er du kjent med om det finnes leverandører av tilsvarende metoder/utstyr?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

6. Interesser og eventuelle interessekonflikter Beskriv relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som det gir innspill på (for eksempel: økonomiske interesser i saken, oppdrag eller andre bindinger).
Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

7. Avsender av faglig innspill	
Sykehus	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
Avdeling	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
Representert ved: fagperson (navn, stilling, fagmiljø)	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
☐ Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no (kryss av)	
☐ Jeg har fylt ut hele punkt 6 «interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av)	

NYE METODER

Saksnummer: 155-26

Til:	Bestillerforum for nye metoder
Fra:	Sekretariatet for Nye metoder
Dato:	06.11.2026

Oppdrag: ID2022_103 og ID2023_041 Selperkatinib (Retsevmo) til skjoldbruskkjertelkreft. Innspill til endring av oppdrag fra leverandør. Til drøfting.

Hva saken omhandler i korte trekk

Saken gjelder to metoder med legemiddelet selperkatinib (Retsevmo). Bestillerforum for nye metoder ga i møtet 24.08.2026 to oppdrag om revurdering basert på forslag fra fagmiljøet. Nå har leverandør sendt inn innspill om endring av oppdragene.

Saksfremstilling

Saken gjelder følgende to metoder:

- ID2022_103 Selperkatinib (Retsevmo) til førstelinjebehandling av voksne og ungdom fra 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft.
- ID2023_041 Selperkatinib (Retsevmo) til førstelinjebehandling av voksne og ungdom fra 12 år med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft

I begge sakene ble det i henholdsvis 2022 og 2023 gitt oppdrag om metodevurdering som senere ble avbestilt fordi leverandør ikke leverte dokumentasjon. Sakene ble sist behandlet i Bestillerforum 24. august 2026 etter at det kom to forslag om revurdering fra fagmiljøet (se sak 107-26 og 108-26). Bestillerforum ga i begge sakene oppdrag om metodevurdering uten en helseøkonomisk analyse, med et tilhørende prisnotat.

Leverandøren, Eli Lilly, sendte 29.10.2026 inn to innspill til oppdragene, utformet som anmodninger om revurdering, der de viser til oppdragene som er gitt og foreslår at oppdragene endres til kun prisnotat.

Direktoratet for medisinske produkter har vist til at egnethetsvurderingene som foreligger fra møtet i Bestillerforum 24. august fortsatt er relevante som grunnlag for vurdering av innspillene.

Til drøfting

Bestillerforum bes om å drøfte innspillene.

Vedlegg

- Vedlegg 1. ID2022_103 Selperkatinib (Retsevmo) - innspill til endring av oppdrag fra leverandør (mottatt 29.10.2026)
- Vedlegg 2. ID2022_103 Selperkatinib (Retsevmo) - egnethetsvurdering fra DMP (utarbeidet til Bestillerforum i august 2026)
- Vedlegg 3. ID2023_041 Selperkatinib (Retsevmo) - innspill til endring av oppdrag fra leverandør (mottatt 29.10.2026)
- Vedlegg 4. ID2023_041 Selperkatinib (Retsevmo) - egnethetsvurdering fra DMP (utarbeidet til Bestillerforum i august 2026)

NYE METODER

Anmodning om revurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker en revurdering av en legemiddelindikasjon som tidligere er metodevurdert og har en beslutning i Nye metoder, skal anmode om revurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfylt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

En anmodning om revurdering skal gjelde samme indikasjon som den opprinnelige metodevurderingen. Hvis anmodningen gjelder en annen indikasjon, eller en undergruppe, så skal «Anmodningsskjema for vurdering av legemiddel» benyttes.

Dersom det ikke foreligger nye kliniske data, kun ny pris eller forslag om en alternativ prisavtale, er det ikke nødvendig å anmode om revurdering. Ta da direkte kontakt med Sykehusinnkjøp[1].

Nye metoder vurderer på bakgrunn av anmodningen om det er grunnlag for å gi et oppdrag om en ny metodevurdering. Anmodningen må begrunnes.

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.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av): ☒

Dato for innsending av skjema: 29.10.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Eli Lilly Norge AS
1.2 Navn kontaktperson	Ashkan Kourdalipour
1.3 Stilling kontaktperson	Sr. PRA Manager
1.4 Telefon	93268940
1.5 E-post	ashkan.kourdalipour@lilly.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Ikke aktuelt
1.7 Telefon og e-post	Ikke aktuelt

[1] E-post til Sykehusinnkjøp HF: nyelegemidler@sykehusinnkjop.no

2 Informasjon om metoden	
2.1 ID-nummer i Nye metoder	ID2022_103
2.2 Virkestoff	Selperkatinib
2.3 Handelsnavn	Retsevmo
2.4 Indikasjon *En anmodning om revurdering skal gjelde samme indikasjon som den opprinnelige metodevurderingen. Hvis anmodningen gjelder en annen populasjon eller en undergruppe, så skal «Anmodningsskjema for vurdering av legemiddel» benyttes (se nyemetoder.no).*	Retsevmo som monoterapi er indisert til behandling av voksne og ungdom fra 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft (MTC). Anmodningen gjelder bruk i førstelinje (kinasehemmer-naive pasienter), som er det bruksområdet forslaget om revurdering fra klinisk fagmiljø (mottatt 08.05.2026) omfatter.
2.5 Gjeldende beslutning fra Beslutningsforum for nye metoder *Oppgi dato for beslutning*	**Andrelinje (ID2020_099):** Beslutningsforum 21.10.2024 – selperkatinib innføres til behandling av voksne og ungdom over 12 år med avansert RET-mutert MTC som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med kabozantinib og/eller vandetanib. (Beslutningsforum 29.08.2022: ikke innført.) **Førstelinje (ID2022_103):** Ingen beslutning om innføring. Forenklet metodevurdering ble bestilt 29.08.2022 og avbestilt 28.04.2025 fordi leverandør ikke leverte dokumentasjon. Forslag om revurdering fra Oslo universitetssykehus ble behandlet i Bestillerforum 24.08.2026 (sak 107-26), som ga oppdrag om en metodevurdering uten helseøkonomisk analyse.

3 Informasjon om eksisterende metodevurdering og grunnleggende forutsetninger for revurdering	
3.1 Klinisk praksis *Er beskrivelsen av norsk klinisk praksis i den opprinnelige metodevurderingen fortsatt gjeldende, herunder komparator, forutgående behandling osv.?* *Kommenter kort.*	Beskrivelsen i ID2020_099 er i hovedsak fortsatt gjeldende. Pasienter med progressiv, avansert RET-mutert MTC behandles i førstelinje med en multikinasehemmer (vandetanib eller kabozantinib), jf. nasjonalt handlingsprogram for thyroideakreft. Selperkatinib er siden 21.10.2024 innført i andrelinje. Endringer siden forrige vurdering: Ifølge DMPs egnethetsvurdering (11.08.2026) og forslagsstiller har Cometriq (kabozantinib) status som midlertidig utgått i Norge, slik at vandetanib i praksis er den primære komparatoren i førstelinje.

	Selperkatinib har vært i bruk i norsk klinisk praksis siden innføringen i andrelinje i 2024. Norske klinikere har dermed god erfaring med behandlingen, inkludert oppfølging og håndtering av bivirkninger. Anmodet bruk innebærer ingen ny behandling, men en endret rekkefølge av behandlinger som allerede er innført.
3.2 Nye data for bruken av legemiddelet til aktuell indikasjon *Beskriv kort hvorfor det er grunnlag for en ny metodevurdering av legemiddelet. Beskriv tilgjengelige nye data for legemiddelet.*	Da DMP vurderte andrelinjebruk i 2022, kunne relativ effekt ikke etableres fordi det kun forelå enarmede data. DMP påpekte selv at den randomiserte fase III-studien LIBRETTO-531 trolig ville gi grunnlag for å vurdere selperkatinib i førstelinje. Disse dataene foreligger nå, og den endelige analysen ble presentert på ESMO 26.10.2026. **LIBRETTO-531** (NCT04211337) er en randomisert (2:1), åpen fase III-studie av selperkatinib mot legens valg av kabozantinib eller vandetanib hos kinasehemmer-naive pasienter med progressiv, avansert RET-mutert MTC (n=291). Kontrollarmen kunne krysse over til selperkatinib ved bekreftet progresjon. **Interimanalyse** (Hadoux et al., NEJM 2023): PFS vurdert av blindet uavhengig komité HR 0,280 (95 % KI 0,165–0,475; p<0,0001). ORR 69,4 % mot 38,8 %. **Endelig analyse** (Capdevila et al., ESMO 2026; datakutt 12.02.2026; median oppfølging 45,4 og 47,0 måneder): – Totaloverlevelse: HR 0,338 (95 % KI 0,194–0,587; p<0,0001), dvs. om lag 66 % redusert risiko for død. 48-måneders OS 87,1 % mot 66,8 %. 23 dødsfall av 193 pasienter mot 28 av 98. – PFS (utprøver): HR 0,205 (95 % KI 0,139–0,304; p<0,0001). 48-måneders PFS 67,4 % mot 20,5 %. – PFS2: HR 0,228 (95 % KI 0,131–0,395; p<0,0001). 48-måneders PFS2 85,9 % mot 54,6 %. – Sikkerhet: dosereduksjon hos 52 % mot 82 %. Behandlingsavbrudd grunnet uønskede hendelser hos 11 av 193 mot 30 av 97 pasienter. Færre pasienter fikk diaré, hånd-fot-syndrom, kvalme og vekttap med selperkatinib. **Datagrunnlaget er robust:** Gevinsten er konsistent på tvers av PFS, PFS2 og OS, og mellom uavhengig komité (interimanalysen) og utprøver (endelig analyse). Øvre grense i konfidensintervallene ligger godt under 1 for alle endepunktene. Overlevelsesgevinsten er statistisk signifikant til tross for at 43 av 98 pasienter i kontrollarmen krysset over til selperkatinib, noe som normalt vil redusere den målte effekten. PFS2-resultatet viser at gevinsten ikke tas igjen ved å gi selperkatinib senere. **LIBRETTO-001** (preparatomtalen, datakutt januar 2023): ORR 82,5 % hos kabozantinib/vandetanib-naive pasienter.

3.3 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren? *Type metodevurdering* *Begrunn kort*	**Ingen helseøkonomisk analyse. Leverandør anmoder om at oppdraget endres fra en metodevurdering uten helseøkonomisk analyse hos DMP til et prisnotat fra Sykehusinnkjøp HF.** Begrunnelse: 1. Et oppdrag uten helseøkonomisk analyse innebærer at ressursbruk uansett belyses gjennom kostnadssammenligning mot komparator og budsjettvirkning. Dette er innholdet i et prisnotat, og DMPs rapporter angir selv at forenklede vurderinger suppleres med prisnotat fra Sykehusinnkjøp. 2. Effekten er dokumentert i en randomisert fase III-studie direkte mot begge relevante komparatorer. Det er ikke behov for DMPs metodiske vurdering av indirekte sammenligninger, som var hovedutfordringen i 2022. 3. Presedens: selperkatinib ble innført i andrelinje for samme sykdom (Beslutningsforum 21.10.2024) på grunnlag av metodevurderingen fra 2022 og et nytt prisnotat fra Sykehusinnkjøp (datert 29.08.2024), uten ny vurdering hos DMP. Evidensgrunnlaget var da svakere enn det som foreligger nå. 4. Pasientgrunnlaget er lite (5–10 pasienter årlig ifølge forslagsstiller), og budsjettvirkningen er begrenset. 5. Et prisnotat gir raskere tilgang for en liten pasientgruppe der dataene viser en overlevelsesgevinst ved tidlig bruk.
3.4 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter *Tidspunkt må oppgis*	Ikke aktuelt dersom oppdraget endres til prisnotat, da det ikke skal leveres dokumentasjon til DMP. Rabatterte priser for Retsevmo foreligger allerede hos Sykehusinnkjøp HF, og leverandør er klar til å oppdatere pristilbudet for førstelinjebruk ved behov. Dersom Bestillerforum opprettholder oppdraget om metodevurdering uten helseøkonomisk analyse, vil tidspunkt for levering av dokumentasjon til DMP avklares med DMP.
3.5 Nye data for komparator *Beskriv eventuelle nye data for komparator*	LIBRETTO-531 gir randomiserte, oppdaterte data for kabozantinib/vandetanib i en RET-mutert førstelinjepopulasjon: 48-måneders PFS 20,5 % og 48-måneders OS 66,8 % i kontrollarmen (endelig analyse, datakutt 12.02.2026). Det foreligger ikke andre nye data for komparatorene siden forrige vurdering.
3.6 Øvrige forhold *Beskriv eventuelle andre forhold som er endret siden forrige metodevurdering*	– Forslaget om revurdering kommer fra det kliniske fagmiljøet (Oslo universitetssykehus), som peker på et klart klinisk behov for bruk i førstelinje. – Indikasjonen for selperkatinib omfatter alle behandlingslinjer siden 02.09.2022. Begrensningen til andrelinje følger kun av beslutningen i Nye metoder.

	– Internasjonalt: TLV (Sverige) har vurdert at selperkatinib har bedre relativ effekt enn vandetanib ved avansert MTC, blant annet basert på LIBRETTO-531.

4 Relevansen av nye data

4.1 Beskriv hvordan de nye dataene kan bidra til at prioriteringskriteriene kan bli oppfylt. *Redegjør for de nye dataene sammenlignet med de opprinnelige resultatene som lå til grunn for gjeldende beslutning i Beslutningsforum.*	Leverandør mener at alle tre prioriteringskriteriene kan belyses tilstrekkelig gjennom et prisnotat, slik det ble gjort da selperkatinib ble innført i andrelinje i 2024. **Nytte:** Gjeldende beslutning bygget på enarmede data, der DMP vurderte respons som klinisk relevant, men ikke kunne kvantifisere relativ effekt. De nye dataene er randomiserte og viser direkte mot begge komparatorene en statistisk signifikant og klinisk betydelig gevinst i OS (HR 0,338), PFS (HR 0,205) og PFS2 (HR 0,228), samt færre dosereduksjoner og behandlingsavbrudd. Nytten kan dermed beskrives direkte fra publiserte data og preparatomtalen i et prisnotat, uten behov for metodisk vurdering av indirekte sammenligninger. I tillegg har norske klinikere erfaring med behandlingen fra andrelinje siden 2024. **Alvorlighet:** Avansert RET-mutert MTC er vurdert som en alvorlig sykdom både i metodevurderingen fra 2022 og i prisnotatet fra 2024, uten kvantitativ beregning. En vurdering uten helseøkonomisk analyse vil heller ikke kvantifisere alvorlighet. Sykdommen og pasientgruppen er den samme; det som endres er behandlingslinjen. **Ressursbruk:** Uten helseøkonomisk analyse belyses ressursbruk gjennom årskostnad mot komparator og budsjettvirkning, som er det Sykehusinnkjøp utarbeider i et prisnotat. Leverandør legger til grunn at pasienter som starter med selperkatinib i førstelinje vil stå lenger på behandling enn i andrelinje (48-måneders PFS 67,4 %), og at legemiddelkostnaden per pasient derfor blir høyere. Samtidig erstatter selperkatinib en multikinasehemmer i førstelinje, mange av pasientene ville uansett fått selperkatinib i andrelinje, og færre bivirkninger og dosereduksjoner kan redusere kostnader til oppfølging. Med 5–10 pasienter årlig vil budsjettvirkningen for sykehusene samlet være begrenset. Leverandør kan på forespørsel bidra med et budsjettanslag. Samlet vil en ny vurdering hos DMP forsinke tilgangen uten å gi beslutningstakerne vesentlig ny informasjon utover det et prisnotat kan gi.

Direktoratet for medisinske produkter

MEgnethetsvurdering	
ID-nummer	**ID2022_103**
Handelsnavn (virkestoff)	Retsevmo (selperkatinib)
Virkningsmekanisme	Selperkatinib er en hemmer av RET («REarranged during Transfection») reseptortyrosinkinase. RET-proteinet bidrar under normale omstendigheter til cellevekst, celledeling og differensiering. Unormal RET-aktivering forekommer gjennom mutasjoner og fusjoner i RET-genet. Visse punktmutasjoner i RET kan virke som onkogene drivere ved å fremme celleproliferasjon av tumorcellelinjer. Selperkatinib utøver antitumor aktivitet gjennom hemming av villtype RET og multiple muterte RET-isoformer, i tillegg til vaskulær endotelial vekstfaktor reseptor (VEGFR1 og VEGFR3).
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder revurdering av en indikasjonsutvidelse for et kjent virkestoff. Indikasjonen har markedsføringstillatelse (MT) i Norge/Europa. Legemiddelet er markedsført i Norge og er besluttet innført (21.10.2024) av Beslutningsforum for nye metoder til følgende bruksområder: - Som monoterapi til behandling av voksne og ungdom over 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft (MTC) som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med kabozantinib og/eller vandetanib (ID2020_099). - Som monoterapi til behandling av voksne med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med sorafenib og/eller lenvatinib (ID2020_077). - Som monoterapi til behandling av voksne med avansert RET-fusjonspositiv ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) som ikke tidligere er behandlet med en RET-hemmer (ID2020_076/ID2022_118).
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? Ja ☐ Nei ☒
Aktuell indikasjon	Retsevmo som monoterapi er indisert til behandling av voksne og ungdom fra 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbrusk-kjertelkreft (MTC).
Dosering	Administreres peroralt (tabletter). Den anbefalte dosen av Retsevmo basert på kroppsvekt er: - Mindre enn 50 kg: 120 mg to ganger daglig - 50 kg eller mer: 160 mg to ganger daglig Behandling skal fortsettes inntil sykdomsprogresjon eller uakseptabel toksisitet.
Forslag	**Forslag om nasjonal metodevurdering (revurdering)**
Innsendt av	Elin Hallan Naderi, Oslo Universitetssykehus

Bakgrunn	En forenklet metodevurdering, med en vurdering av effekt og sikkerhet for selperkatinib (Retsevmo) som monoterapi til førstelinjebehandling av pasienter fra 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft, ble opprinnelig bestilt av Bestillerforum for nye metoder (29.08.2022). Denne ble senere avbestilt (28.04.2025), ettersom leverandør ikke leverte dokumentasjon i henhold til oppdraget. Det foreligger en beslutning om at metoden ikke skal benyttes til den aktuelle indikasjonen. Det har nå kommet et forslag om revurdering av metoden fra det kliniske fagmiljøet. Det foreligger et nasjonalt handlingsprogram for thyroideakreft (skjoldbruskkjertelkreft)[1]. Dagens behandling av avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft (MTC) i førstelinje er enten vandetanib eller kabozantinib (kun voksne[2]). For å starte behandling skal det foreligge progresjon av sykdommen og med symptomgivende eller truende metastaser. Det er ikke etablert hvorvidt vandetanib eller kabozantinib bør velges i førstelinje. I andrelinje benyttes det alternativet som ikke ble brukt i førstelinje. Også selperkatinib er innført som andrelinjebehandling etter tidligere behandling med kabozantinib og/eller vandetanib (ID2020_099). Tradisjonell cellegiftbehandling er ikke effektiv ved MTC. Vandetanib og kabozantinib var tidligere finansiert via blåreseptordningen, men siden mai 2017 har de regionale helseforetakene overtatt finansieringsansvaret. Legemidlene har derfor ikke tidligere blitt metodevurdert til den aktuelle indikasjonen, og kostnadseffektiviteten er dermed ikke etablert. Selperkatinib fikk betinget markedsføringstillatelse (MT) i Norge/EU 11.02.2021 som monoterapi til behandling av voksne og ungdom over 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft (MTC) som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med kabozantinib og/eller vandetanib[3] [4]. Denne indikasjonen ligger til grunn ved den tidligere metodevurderingen av selperkatinib (ID2020_099). Selperkatinib fikk senere (02.09.2022) MT for indikasjonsutvidelsen som gjelder førstelinjebehandling, og som omhandles i denne egnethetsvurderingen (dvs. til behandling av pasienter fra 12 år og eldre med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft [MTC])[5] [6].

[1] Nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av pasienter med thyroideakreft. Oslo: Helsedirektoratet (siste faglige endring 26.09.2025). Tilgjengelig fra: https://www.helsedirektoratet.no/retningslinjer/thyroideakreft-skjoldbruskkjertelkreft-handlingsprogram

[2] Cometriq (kabozantinib) er indisert til behandling av voksne pasienter med progressiv inoperabel lokalavansert eller metastatisk medullær tyreoideakarsinom.

[3] Summary of opinion (initial authorisation): https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-retsevmo_en.pdf

[4] Assessment report - Retsevmo (selperkatinib) (10.12.2020): https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/retsevmo-epar-public-assessment-report_en.pdf

[5] Summary of opinion (post authorisation): https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop/chmp-post-authorisation-summary-positive-opinion-retsevmo-ii-0014-g_en.pdf

[6] Assessment report - Retsevmo (selperkatinib) (21.07.2022): https://www.ema.europa.eu/en/documents/variation-report/retsevmo-h-c-005375-ii-0014-g-epar-assessment-report-variation_en.pdf

	Studiene som i all hovedsak ligger til grunn for MT er LIBRETTO-001[7] og LIBRETTO-531[8]. LIBRETTO-001 er en åpen, énarmet, multikohort, fase I/II-studie. Fase I var doseeskalerende, mens fase II innrullerte pasienter over 12 år med bl.a. avansert RET-mutert MTC (5 ulike kohorter). Det primære effektendepunktet er objektiv responsrate (ORR), og sekundære effektendepunkt inkluderer varighet av respons (DOR), progresjonsfri overlevelse (PFS) og totaloverlevelse (OS). Studien pågår fortsatt, men er lukket for videre inklusjon, og er estimert avsluttet i februar 2027. Effekten av selperkatinib ved RET-mutert MTC ble bekreftet i LIBRETTO-531-studien[9], en åpen, randomisert, aktiv kontrollert, fase III-studie som sammenlikner selperkatinib med legens valg av kabozantinib eller vandetanib hos pasienter med progressiv, avansert kinasehemmernaiv RET-mutert MTC (n=291). Det primære effekt-endepunktet er PFS, og sekundære effektendepunkt inkluderer behandlingssviktfri overlevelse (TFFS), ORR, DOR og OS. Studien pågår fortsatt, men er lukket for videre inklusjon, og er estimert avsluttet i november 2027. Det foreligger tilgjengelige (publiserte) interimsdata fra denne studien (datakutt 22.05.2023). Studien møtte det primære effektendepunktet med bedring av PFS i ITT-populasjonen, der median PFS ikke var nådd i selperkatinib-armen, mens den var 16,8 måneder i komparatorarmen (kabozantinib eller vandetanib) (HR: 0,280; 95 % KI: 0,165 - 0,475; p <0,0001). PFS-rate ved 30 måneder var 76,4 % i selperkatinib-armen og 24,8 % i komparatorarmen. ORR var 69,4 % i selperkatinib-armen (komplett respons 11,9 %), mens den var 38,8 % (komplett respons 4,1 %) i komparatorarmen. Det er få pasienter aktuelle for behandling med selperkatinib ved aktuell indikasjon, og forslagstiller anslår dette til om lag 5-10 pasienter årlig. Metoden anses ikke kurativ, men vil være et ledd i et palliativt/ livsforlengende behandlingstilbud.
Preliminær PICO[10]	**P:** I tråd med godkjent indikasjon (hele populasjonen). **I:** Selperkatinib brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtalen. **C:** Dagens standardbehandling, i henhold til nasjonalt handlings-program for thyroideakreft (skjoldbruskkjertelkreft), dvs. kabozantinib eller vandetanib. **O:** Overlevelse (PFS, OS), helserelatert livskvalitet, ressursbruk.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Det har tidligere (29.08.2022) blitt bestilt en forenklet metodevurdering, med en vurdering av effekt og sikkerhet for selperkatinib (Retsevmo) som monoterapi til førstelinjebehandling av pasienter fra 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft. Denne ble senere (28.04.2025) avbestilt pga. manglende innsendt dokumentasjon fra firma. Forslaget gjelder en revurdering av denne.

[7] LIBRETTO-001: NCT02157128
[8] LIBRETTO-531: NCT04211337
[9] LIBRETTO-531: NCT04211337
[10] Pasientpopulasjon, intervensjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering

	Det foreligger en åpen, randomisert fase III-studie i aktuell pasientpopulasjon, som sammenlikner behandling med selperkatinib med kabozantinib og/eller vandetanib (LIBRETTO-531). Begge komparatorene i denne studien (kabozantinib, vandetanib) vurderes som aktuelle i norsk klinisk praksis per i dag. I henhold til innspill fra forslagsstiller bør selperkatinib primært vurderes opp mot vandetanib. Dette begrunnes med at kabozantinib (Cometriq), som er preparatet som har godkjent indikasjon til behandling av MTC, ikke lenger er markedsført i Norge (har status som midlertidig utgått) og er dermed ikke lenger en relevant komparator. Det finnes imidlertid en annen formulering av kabozantinib (tabletter) som markedsføres i Norge under handelsnavnet Cabometyx. Dette preparatet har riktignok ikke godkjent indikasjon til behandling av MTC. Kabozantinib (Cometriq) er kun indisert til bruk hos voksne pasienter, til forskjell fra vandetanib (Caprelsa) som er indisert til bruk hos voksne, ungdom og barn fra 5 år og oppover.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse). Imidlertid vurderer DMP at en metodevurdering uten helseøkonomisk analyse kan være hensiktsmessig i denne saken.

Versjonslogg*

Dato	Hva
11.08.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP

*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se Legemiddelsøk.no. Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.

Anmodning om revurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker en revurdering av en legemiddelindikasjon som tidligere er metodevurdert og har en beslutning i Nye metoder, skal anmode om revurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfylt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

En anmodning om revurdering skal gjelde samme indikasjon som den opprinnelige metodevurderingen. Hvis anmodningen gjelder en annen indikasjon, eller en undergruppe, så skal «Anmodningsskjema for vurdering av legemiddel» benyttes.

Dersom det ikke foreligger nye kliniske data, kun ny pris eller forslag om en alternativ prisavtale, er det ikke nødvendig å anmode om revurdering. Ta da direkte kontakt med Sykehusinnkjøp[1].

Nye metoder vurderer på bakgrunn av anmodningen om det er grunnlag for å gi et oppdrag om en ny metodevurdering. Anmodningen må begrunnes.

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.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av): ☒

Dato for innsending av skjema: 29.10.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Eli Lilly Norge AS
1.2 Navn kontaktperson	Ashkan Kourdalipour
1.3 Stilling kontaktperson	Sr. PRA Manager
1.4 Telefon	93268940
1.5 E-post	ashkan.kourdalipour@lilly.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Ikke aktuelt
1.7 Telefon og e-post	Ikke aktuelt

[1] E-post til Sykehusinnkjøp HF: nyelegemidler@sykehusinnkjop.no

2 Informasjon om metoden	
2.1 ID-nummer i Nye metoder	ID2023_041
2.2 Virkestoff	Selperkatinib
2.3 Handelsnavn	Retsevmo
2.4 Indikasjon *En anmodning om revurdering skal gjelde samme indikasjon som den opprinnelige metodevurderingen. Hvis anmodningen gjelder en annen populasjon eller en undergruppe, så skal «Anmodningsskjema for vurdering av legemiddel» benyttes (se nyemetoder.no).*	Retsevmo som monoterapi er indisert til behandling av voksne og ungdom fra 12 år med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft som er radioaktivt jod-refraktær (dersom radioaktivt jod er aktuelt). Anmodningen gjelder bruk i førstelinje, som er det bruksområdet forslaget om revurdering fra klinisk fagmiljø (mottatt 08.05.2026) omfatter.
2.5 Gjeldende beslutning fra Beslutningsforum for nye metoder *Oppgi dato for beslutning*	**Andrelinje (ID2020_077):** Beslutningsforum 21.10.2024 – selperkatinib innføres til behandling av voksne med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med sorafenib og/eller lenvatinib. (Beslutningsforum 29.08.2022: ikke innført.) **Førstelinje (ID2023_041):** Ingen beslutning om innføring. Forenklet metodevurdering ble bestilt 24.04.2023 og avbestilt 28.04.2025 fordi leverandør ikke leverte dokumentasjon. Forslag om revurdering fra Oslo universitetssykehus ble behandlet i Bestillerforum 24.08.2026 (sak 108-26), som ga oppdrag om en metodevurdering uten helseøkonomisk analyse.

3 Informasjon om eksisterende metodevurdering og grunnleggende forutsetninger for revurdering	
3.1 Klinisk praksis *Er beskrivelsen av norsk klinisk praksis i den opprinnelige metodevurderingen fortsatt gjeldende, herunder komparator, forutgående behandling osv.?* *Kommenter kort.*	Beskrivelsen i ID2020_077 er i hovedsak fortsatt gjeldende. Pasienter med progressiv, radiojodresistent sykdom behandles i førstelinje fortrinnsvis med lenvatinib og i andrelinje med sorafenib (eventuelt lenvatinib), jf. nasjonalt handlingsprogram. Selperkatinib er siden 21.10.2024 innført i andrelinje. Ifølge forslagsstiller og DMPs egnethetsvurdering (11.08.2026) har sorafenib nå en mindre plass, slik at lenvatinib er den primære komparatoren. Selperkatinib har vært i bruk i norsk klinisk praksis siden innføringen i andrelinje i 2024. Norske klinikere har dermed god erfaring med behandlingen, inkludert oppfølging og

	håndtering av bivirkninger. Anmodet bruk innebærer ingen ny behandling, men en endret rekkefølge av behandlinger som allerede er innført.
3.2 Nye data for bruken av legemiddelet til aktuell indikasjon *Beskriv kort hvorfor det er grunnlag for en ny metodevurdering av legemiddelet. Beskriv tilgjengelige nye data for legemiddelet.*	Selperkatinib fikk markedsføringstillatelse for førstelinjebruk 29.02.2024, basert på LIBRETTO-001 (og LIBRETTO-121 for ungdom). **Langtidsoppfølging av LIBRETTO-001** (RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft, n=66): – Behandlingsnaive pasienter (n=24): ORR 95,8 %, median PFS ikke nådd, 3-års PFS 87,3 %, OS etter 4 år 94,4 %. – Tidligere behandlede pasienter (n=41): ORR 85,4 %, median PFS 27,4 måneder, 3-års PFS 49,5 %, OS etter 4 år 65,5 %. – Stabil sikkerhetsprofil uten tegn til kumulativ toksisitet ved flerårig behandling. PRO-data viser vedvarende bedret eller stabil livskvalitet og symptombyrde. Resultatene er bedre for alle parametre når selperkatinib gis i førstelinje enn etter en multikinasehemmer. Dette samsvarer med de randomiserte dataene ved RET-mutert MTC (LIBRETTO-531), der førstelinjebruk ga en overlevelsesgevinst til tross for crossover (OS HR 0,338). Retningslinjene fra American Thyroid Association (2025) anbefaler selektiv RET-hemmer ved RET-fusjonspositiv sykdom. Randomiserte data mot lenvatinib forventes ikke på grunn av den svært lille populasjonen.
3.3 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren? *Type metodevurdering* *Begrunn kort*	**Ingen helseøkonomisk analyse. Leverandør anmoder om at oppdraget endres fra en metodevurdering uten helseøkonomisk analyse hos DMP til et prisnotat fra Sykehusinnkjøp HF.** Begrunnelse: 1. Et oppdrag uten helseøkonomisk analyse innebærer at ressursbruk uansett belyses gjennom kostnadssammenligning mot komparator og budsjettvirkning. Dette er innholdet i et prisnotat, og DMPs rapporter angir selv at forenklede vurderinger suppleres med prisnotat fra Sykehusinnkjøp. 2. DMP skriver i egnethetsvurderingen at det vil være utfordrende å kvantifisere relativ effekt, og at en metodevurdering vil måtte bygge på enarmede fase I/II-data. En ny DMP-rapport vil derfor i hovedsak oppsummere de samme dataene som allerede er tilgjengelige i preparatomtalen og publisert langtidsoppfølging. 3. Presedens: selperkatinib ble innført i andrelinje for samme sykdom (Beslutningsforum 21.10.2024) på grunnlag av metodevurderingen fra 2022 og et nytt prisnotat fra

	Sykehusinnkjøp, uten ny vurdering hos DMP og på samme type enarmede data. 4. Pasientgrunnlaget er lite (5–10 pasienter årlig ifølge forslagsstiller), og forslagsstiller vurderer legemiddelkostnadene som relativt sammenlignbare med lenvatinib. 5. Et prisnotat gir raskere tilgang for en liten pasientgruppe.
3.4 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter *Tidspunkt må oppgis*	Ikke aktuelt dersom oppdraget endres til prisnotat, da det ikke skal leveres dokumentasjon til DMP. Rabatterte priser for Retsevmo foreligger allerede hos Sykehusinnkjøp HF, og leverandør er klar til å oppdatere pristilbudet for førstelinjebruk ved behov. Dersom Bestillerforum opprettholder oppdraget om metodevurdering uten helseøkonomisk analyse, vil tidspunkt for levering av dokumentasjon til DMP avklares med DMP.
3.5 Nye data for komparator *Beskriv eventuelle nye data for komparator*	Det foreligger ikke nye data for lenvatinib eller sorafenib i en RET-fusjonspositiv populasjon. Referansedata er fortsatt de pivotale studiene i en ikke-RET-selektert radiojodrefraktær populasjon: SELECT (lenvatinib; ORR 64,8 %, median PFS 18,3 mot 3,6 måneder) og DECISION (sorafenib; ORR 12,2 %, median PFS 10,8 mot 5,8 måneder).
3.6 Øvrige forhold *Beskriv eventuelle andre forhold som er endret siden forrige metodevurdering*	– Forslaget om revurdering kommer fra det kliniske fagmiljøet (Oslo universitetssykehus), som peker på et klart klinisk behov for bruk i førstelinje og på at selperkatinib er foretrukket førstelinjebehandling internasjonalt. – Bivirkningsbelastningen ved selperkatinib anses av forslagsstiller å være lavere enn for multikinasehemmerne.

4 Relevansen av nye data

4.1 Beskriv hvordan de nye dataene kan bidra til at prioriteringskriteriene kan bli oppfylt. *Redegjør for de nye dataene sammenlignet med de opprinnelige resultatene som lå til grunn for gjeldende beslutning i Beslutningsforum.*	Leverandør mener at alle tre prioriteringskriteriene kan belyses tilstrekkelig gjennom et prisnotat, slik det ble gjort da selperkatinib ble innført i andrelinje i 2024. **Nytte:** Gjeldende beslutning bygget på enarmede data der DMP vurderte respons som klinisk relevant. Langtidsdataene viser nå svært høy og varig respons, særlig i førstelinje (ORR 95,8 %, 3-års PFS 87,3 %), og bedre resultater enn ved bruk etter multikinasehemmer. DMP har selv vurdert at relativ effekt vil være vanskelig å kvantifisere. En ny DMP-rapport vil derfor gi en oppsummering av effekt og sikkerhet tilsvarende den som allerede finnes i ID2020_077, og som Sykehusinnkjøp kan gjengi fra preparatomtalen og publiserte

	data i et prisnotat. I tillegg har norske klinikere erfaring med behandlingen fra andrelinje siden 2024. **Alvorlighet:** Avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft er en inkurabel sykdom og ble vurdert som alvorlig ved innføringen i andrelinje, uten kvantitativ beregning. En vurdering uten helseøkonomisk analyse vil heller ikke kvantifisere alvorlighet. Sykdommen og pasientgruppen er den samme; det som endres er behandlingslinjen. **Ressursbruk:** Uten helseøkonomisk analyse belyses ressursbruk gjennom årskostnad mot lenvatinib og budsjettvirkning, som er det Sykehusinnkjøp utarbeider i et prisnotat. Leverandør legger til grunn at pasienter som starter med selperkatinib i førstelinje vil stå lenger på behandling enn i andrelinje (3-års PFS 87,3 % hos behandlingsnaive), og at legemiddelkostnaden per pasient derfor blir høyere. Samtidig erstatter selperkatinib lenvatinib i førstelinje, mange av pasientene ville uansett fått selperkatinib i andrelinje, og forslagsstiller vurderer legemiddelkostnadene som relativt sammenlignbare. Med 5–10 pasienter årlig vil budsjettvirkningen for sykehusene samlet være begrenset. Leverandør kan på forespørsel bidra med et budsjettanslag. Samlet vil en ny vurdering hos DMP forsinke tilgangen uten å gi beslutningstakerne vesentlig ny informasjon utover det et prisnotat kan gi.

Direktoratet for medisinske produkter

Egnethetsvurdering	
ID-nummer	**ID2023_041**
Handelsnavn (virkestoff)	Retsevmo (selperkatinib)
Virkningsmekanisme	Selperkatinib er en hemmer av RET («REarranged during Transfection») reseptortyrosinkinase. RET-proteinet bidrar under normale omstendigheter til cellevekst, celledeling og differensiering. Unormal RET-aktivering forekommer gjennom mutasjoner og fusjoner i RET-genet. RET-fusjonsproteiner kan virke som onkogene drivere ved å fremme celleproliferasjon av tumorcellelinjer. Selperkatinib utøver antitumor aktivitet gjennom hemming av villtype RET og multiple muterte RET-isoformer, i tillegg til vaskulær endotelial vekstfaktor reseptor (VEGFR1 og VEGFR3).
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder revurdering av en indikasjonsutvidelse for et kjent virkestoff. Indikasjonen har markedsføringstillatelse (MT) i Norge/Europa. Legemiddelet er markedsført i Norge og er besluttet innført (21.10.2024) av Beslutningsforum for nye metoder til følgende bruksområder: - Som monoterapi til behandling av voksne med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med sorafenib og/eller lenvatinib (ID2020_077). - Som monoterapi til behandling av voksne og ungdom over 12 år med avansert RET-mutert medullær skjoldbruskkjertelkreft (MTC) som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med kabozantinib og/eller vandetanib (ID2020_099). - Som monoterapi til behandling av voksne med avansert RET-fusjonspositiv ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) som ikke tidligere er behandlet med en RET-hemmer (ID2020_076/ID2022_118).
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? Ja ☐ Nei ☒
Aktuell indikasjon	Retsevmo som monoterapi er indisert til behandling av voksne og ungdom fra 12 år med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertel-kreft som er radioaktivt jod-refraktær (dersom radioaktivt jod er aktuelt).
Dosering	Administreres peroralt (tabletter). Den anbefalte dosen av Retsevmo basert på kroppsvekt er: - Mindre enn 50 kg: 120 mg to ganger daglig - 50 kg eller mer: 160 mg to ganger daglig Behandling skal fortsettes inntil sykdomsprogresjon eller uakseptabel toksisitet.
Forslag	**Forslag om nasjonal metodevurdering (revurdering)**
Innsendt av	Elin Hallan Naderi, Oslo Universitetssykehus

Bakgrunn	En forenklet metodevurdering for selperkatinib (Retsevmo), til førstelinjebehandling av pasienter fra 12 år med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft, ble opprinnelig bestilt av Bestillerforum for nye metoder (24.04.2023). Denne ble senere avbestilt (28.04.2025), ettersom leverandør ikke leverte dokumentasjon i henhold til oppdraget. Det foreligger en beslutning om at metoden ikke skal benyttes til den aktuelle indikasjonen. Det har nå kommet et forslag om revurdering av metoden fra det kliniske fagmiljøet. RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft (thyroideakreft; TC) behandles i dag i henhold til nasjonale faglige retningslinjer for differensiert thyroideakarsinom (DTC)[1]. Pasienter med progressiv lokalavansert/metastaserende, radiojodresistent DTC mottar fortrinnsvis lenvatinib i førstelinje og sorafenib i andrelinje (alternativt lenvatinib dersom denne ikke er brukt i førstelinje). Også selperkatinib er innført som andrelinjebehandling etter tidligere behandling med sorafenib og/eller lenvatinib (ID2020_077). Behandlingen gis kontinuerlig inntil progresjon eller uakseptabel toksisitet. Tradisjonell cellegiftbehandling har liten effekt ved DTC, og anbefales ikke rutinemessig. Forslagsstiller opplyser i innsendt forslag til metodevurdering, at det nå er internasjonal konsensus om at selperkatinib er det foretrukne legemiddelet å kunne tilby i førstelinje framfor multikinasehemmerne lenvatinib eller sorafenib. Metoden anses ikke kurativ, men vil være et ledd i et palliativt/livsforlengende behandlingstilbud. Selperkatinib fikk betinget markedsføringstillatelse (MT) i Norge/EU 11.02.2021 som monoterapi til behandling av voksne med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med sorafenib og/eller lenvatinib[2] [3]. Denne indikasjonen ligger til grunn ved den tidligere metode-vurderingen av selperkatinib (ID2020_077). Selperkatinib fikk senere (29.02.2024) MT for indikasjonsutvidelsen som gjelder førstelinjebehandling, og som omhandles i denne egnethetsvurderingen (dvs. til behandling av pasienter fra 12 år og eldre med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft som er radioaktivt jod-refraktær [dersom radioaktivt jod er aktuelt])[4] [5].

[1] Nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av pasienter med thyroideakreft. Oslo: Helsedirektoratet (siste faglige endring 26.09.2025). Tilgjengelig fra: https://www.helsedirektoratet.no/retningslinjer/thyroideakreft-skjoldbruskkjertelkreft-handlingsprogram

[2] Summary of opinion (initial authorisation): https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-retsevmo_en.pdf

[3] Assessment report - Retsevmo (selperkatinib) (10.12.2020): https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/retsevmo-epar-public-assessment-report_en.pdf

[4] Summary of opinion (post authorisation): https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop/chmp-post-authorisation-summary-positive-opinion-retsevmo-ii-21_en.pdf

[5] Assessment report - Retsevmo (selperkatinib) (25.01.2024): https://www.ema.europa.eu/en/documents/variation-report/retsevmo-h-c-005375-ii-0021-epar-assessment-report-extension_en.pdf

	Studien som i all hovedsak ligger til grunn for MT er LIBRETTO-001[6]; en åpen, énarmet, multikohort, fase I/II-studie. Fase I var dose-eskalerende, mens fase II innrullerte pasienter over 12 år med bl.a. avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft (5 ulike kohorter). Det primære effektendepunktet er objektiv responsrate (ORR), og sekundære effektendepunkt inkluderer varighet av respons (DOR), progresjonsfri overlevelse (PFS) og totaloverlevelse (OS). Kohorten fra LIBRETTO-001-studien som er relevant for denne egnethetsvurderingen, består av 24 pasienter som er naive til annen systemisk behandling enn radioaktivt jod. Til tross for at det i studien var tillatt med inklusjon ned til 12 års alder, var yngste inkluderte pasient 20 år i denne aktuelle kohorten. Det foreligger tilgjengelige (publiserte) interimsdata fra denne studien/kohorten (datakutt januar 2023). Studien pågår fortsatt, men er lukket for videre inklusjon, og er estimert avsluttet i februar 2027. I tillegg danner studien LIBRETTO-121[7] grunnlag for indikasjons-utvidelsen som omhandler ungdom ≥12 år. Studien er en pågående fase I/II-studie hos pediatriske pasienter (alder ≥6 måneder til <21 år) med en avansert solid tumor eller primær CNS-tumor med en aktiverende RET-endring (n=36). Det foreligger svært begrensede tilgjengelige interimsdata fra denne studien (n=10) (datakutt januar 2023). Studien pågår fortsatt, men er lukket for videre inklusjon, og er estimert avsluttet i mai 2029. Det er få pasienter aktuelle for behandling med selperkatinib ved aktuell indikasjon, og forslagstiller anslår dette til om lag 5-10 pasienter årlig.
Preliminær PICO[8]	**P:** I tråd med godkjent indikasjon (hele populasjonen). **I:** Selperkatinib brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtalen. **C:** Dagens standardbehandling, i henhold til nasjonalt handlings-program for thyroideakreft (skjoldbruskkjertelkreft), dvs. lenvatinib eller sorafenib. I henhold til medisinsk fagekspert/forslagsstiller har sorafenib nå en mindre plass i behandlingen av skjoldbruskkjertelkreft, slik at komparator fortrinnsvis bør være lenvatinib. **O:** Objektiv responsrate (ORR), overlevelse (PFS, OS), ressursbruk.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Det har tidligere (24.04.2023) blitt bestilt en forenklet metodevurdering for selperkatinib (Retsevmo), til førstelinjebehandling av pasienter fra 12 år med avansert RET-fusjonspositiv skjoldbruskkjertelkreft. Denne ble senere (28.04.2025) avbestilt pga. manglende innsendt dokumentasjon fra firma. Forslaget gjelder en revurdering av denne.

[6] LIBRETTO-001: NCT02157128
[7] LIBRETTO-121: NCT03899792
[8] Pasientpopulasjon, interve

nsjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering

	Det foreligger begrensede studiedata for selperkatinib og det er mangel på kliniske data som kan brukes til å etablere en relevant kontrollarm. DMP vurderer derfor at det vil være utfordrende å kvantifisere relativ effekt og å estimere kostnadseffektiviteten av selperkatinib sammenliknet med dagens behandling for aktuell pasientpopulasjon. En metodevurdering vil derfor måtte basere seg på preliminære effekt- og sikkerhetsdata fra de to kliniske studiene som danner dokumentasjonsgrunnlaget for markedsføringstillatelsen til den aktuelle indikasjonsutvidelsen (LIBRETTO-001 og LIBRETTO-121). Begge disse studiene er énarmede fase I/II-studier med få pasienter.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP mener det er nødvendig å belyse prioriteringskriteriene ved anmodet bruk. Det foreligger (preliminære) data som kan være egnet for en metodevurdering uten en helseøkonomisk analyse.

Versjonslogg*

Dato	Hva
11.08.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP

*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se Legemiddelsøk.no. Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.

NYE METODER

Saksnummer: 156-26

Til:	Beslutningsforum for nye metoder
Fra:	Sekretariatet for Nye metoder
Dato:	02.11.2026

Brukerrepresentasjon i Nye metoder. Oppnevning av ny brukerrepresentant.

Hva saken omhandler i korte trekk

En av brukerrepresentantene i Nye metoder har sittet ut sin periode i desember 2026. Sekretariatet for Nye metoder har kontaktet de regionale brukerutvalgene, som har kommet med forslag om en ny brukerrepresentant som kan overta etter Arne Vassbotn (brukerrepresentant fra Helse Nord RHF). Ny brukerrepresentant oppnevnes formelt av Beslutningsforum.

Bakgrunn for saken

Det deltar to brukerrepresentanter i Bestillerforum og to brukerrepresentanter i Beslutningsforum. Brukerrepresentantene rekrutteres fra de regionale brukerutvalgene og har observatørstatus med tale- og forslagsrett i møtene. Brukerrepresentantene oppnevnes for fire år. I henhold til rutine om rullering mellom Bestillerforum og Beslutningsforum, starter nye brukerrepresentanter med en periode på to år i Bestillerforum før de går over til to nye år i Beslutningsforum.

Samtidig som ny brukerrepresentant starter i Bestillerforum, går en av brukerrepresentantene i Bestillerforum over til Beslutningsforum. Fra januar 2027 deltar dermed Faridah Nabaggala (regionalt brukerutvalg i Helse Sør-Øst RHF) i Beslutningsforum sammen med Lars Peder Hammerstad (regionalt brukerutvalg Helse Midt-Norge RHF). Linda Haugland fortsetter som brukerrepresentant i Bestillerforum i 2027.

Saksfremstilling

De regionale brukerutvalgene har kommet med forslag til følgende brukerrepresentant: Ola Arnfinn Loe, fra regionalt brukerutvalg i Helse Nord RHF.

Beslutningsforum for nye metoder oppnevner Ola Arnfinn Loe som brukerrepresentant i Nye metoder fra januar 2027.

Forslag til beslutning

Bestillerforum for Nye metoder tar saken til orientering.

NYE METODER

Saksnummer: 157-26

Eventuelt