

Forslag om nasjonal metodevurdering

Viktig informasjon – se på dette først og husk å krysse av!

- Innsendte forslag til nasjonale metodevurderinger vil bli publisert i sin helhet. Har du informasjon du mener ikke kan offentliggjøres, ta kontakt med sekretariatet før innsending. **Forslagsstiller er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (kryss av):** ☒
- Forslagsstiller har fylt ut punkt 18 nedenfor: «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av): ☒
- Dette skjemaet brukes for å sende inn forslag om metodevurdering på nasjonalt nivå i Nye metoder. Skjemaet gjelder ikke forslag om forskningsprosjekter. En metodevurdering er en type kunnskapsoppsummering, og for at en slik skal kunne utføres, behøves dokumentasjon eksempelvis fra gjennomførte kliniske studier. Manglende dokumentasjonsgrunnlag kan være en av årsakene til at Bestillerforum RHF ikke gir oppdrag om en metodevurdering.
- Hvis forslaget gjelder et medisinsk utstyr, er forlagsstiller kjent med dokumentet [Veiledende kriterier for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder](#) (link) (kryss av): ☐

Opplysninger om forlagsstiller

Navn/kontaktperson	Petter Quist-Paulsen
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Avd blodsykdommer St Olavs Hospital
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	Petter.quist.paulsen@stolav.no
Dato for innsending av forslag	28.11.2025

Opplysninger om metoden som foreslås

1. Forslagstillers tittel på forslaget: *Denne kan endres under den videre behandlingen i systemet for Nye metoder:

Ponatinib til Philadelphiakromosom positiv akutt lymfatisk leukemi

2. Kort beskrivelse av metoden som foreslås vurdert:

Tillegg av ponatinib til kjemoterapi i to år for alle voksne med Ph + ALL

3. Gi en kort begrunnelse for hvorfor det er viktig at metodevurderingen som foreslås bør gjennomføres:

Det vil gi økt overlevelse og reduserte kostnader

4. Foreslå hva som bør være hovedproblemstilling(er) for metodevurderingen, samt eventuelle underproblemstillinger. For deg som er kjent med «PICO (Patient, Intervention, Comparator, Outcome) -begrepet», inkluder gjerne tentativt forslag til PICO.*

Ponatinib har vist seg bedre enn imatinib, og vil gi økt overlevelsen. Samtidig kan man unngå allogen stamcelletransplantasjon, som er meget kostbart.

*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 er relevant å måle/vurdere. PICO er viktig for planlegging og gjennomføring av en metodevurdering.

5. Kort beskrivelse av dagens tilbud (Hvilken metode brukes nå? Status for metoden (gir kurativ behandling, forlenget levetid etc.) Vil metoden som foreslås vurdert erstatte eller komme i tillegg til dagens tilbud?)

Det er ponatinib som brukes nå etter at siste handlingsprogram ble publisert våren 2025. Derfor er det uheldig at Beslutningsforum har skrevet at den ikke kan brukes uten at dette er basert på en kost-nytte analyse. Tidligere brukte man imatinib, men da måtte man transplantere en høyere andel, og imatinib er knyttet til lavere overlevelse i henhold til ny litteratur (også med transplantasjon). Hele fagmiljøet er enige om at ponatinib er "standard of care"

6. Forslaget gjelder:	Ja	Nei
En metode som er aktuell for spesialisthelsetjenesten	☒	☐
En ny og innovativ metode	☐	☒
Et nytt bruksområde, eller en ny indikasjon for en etablert metode	☐	☒
En sammenligning mellom flere metoder	☐	☒
Er metoden tatt i bruk?	☒	☐
Hvis ja – metode er tatt i bruk i klinisk praksis	☒	☐
Hvis ja – metode er tatt i bruk innen forskning/utprøving	☒	☐
Revurdering/utfasing av en metode som er tatt i bruk i klinisk praksis	☐	☒

Eventuelle kommentarer til bruken av metoden:

nasjonal ALL gruppe har laget et REK godkjent PH+ALL-prosjekt for å forbedre resultatene

7. Hva omfatter metoden som foreslås (flere kryss mulig)?

Legemiddel ☒

Medisinsk utstyr som er CE-merket* ☐

*Angi klassifisering og bruksområde:

- Medisinsk utstyr som ikke er CE-merket ☐
- Prosedyre ☐
- Screening ☐
- Høyspesialiserte tjenester/nasjonale tilbud ☐
- Organisatorisk oppsett av helsetjenesten ☐
- Annet (beskriv) ☐

8. Finansieringsansvar Ja Nei
- Har spesialisthelsetjenesten et finansieringsansvar for metoden i dag? ☒ ☐
- Vil spesialisthelsetjenesten kunne få finansieringsansvar for metoden? ☒ ☐

Eventuelle kommentarer:

Ponatinib betales av helseforetakene

9. Er metoden omtalt i nasjonale faglige retningslinjer eller handlingsprogrammer utarbeidet av Helsedirektoratet? Ja Nei
- ☒ ☐

Angi eventuelt hvilke og kommenter eventuelt behov for endringer:

10. Involverer metoden bruk av stråling (ioniserende/ikke-ioniserende)? Ja Nei
- ☐ ☒

Angi eventuelt type strålekilde, utstyr og stråleeksponering:

11. Hvilke fagområde(r) gjelder metoden, og hvilke pasienter berøres? (Får metoden evt. også konsekvenser for andre grupper (som personell, pårørende?))

Ph+ALL, Ca 10 pasienter per år i Norge

12. Hvilke aspekter er relevante for metodevurderingen? (flere kryss mulig)

- Klinisk effekt ☒
- Sikkerhet/bivirkninger ☐
- Kostnader/ressursbruk ☒
- Kostnadseffektivitet ☒
- Organisatoriske konsekvenser ☐
- Etiske ☒

Juridiske



13. Kommenter metoden som forslås vurdert mht. følgende punkter:

Alvorlighetsgraden på tilstanden metoden er ment for

100% dødelig uten at kurasjon oppnås. Sjansen for kurasjon vil øke med ponatinib.

Forventet effekt

Bedre kurasjonsrate: 80% med ponatinib og 40% uten.

Sikkerhet og bivirkninger

God sikkerhet. Få bivirkninger. Godt dokumentert.

Totalt antall pasienter i Norge metoden er aktuell for

10 pas per år

Konsekvenser for ressursbruk i helsetjenesten

Ressursbesparende: Færre til transplantasjon, færre med residiv (som er både ressurskrevende og kostbart)

14. Oppgi referanser til dokumentasjon om metodens effekt og sikkerhet (eks. tidligere metodevurderinger). (Inntil 10 sentrale referanser oppgis. Ikke send vedlegg nå.)

1. Kantarjian H, Short NJ, Jain N, Sasaki K, Huang X, Haddad FG, *et al.* Frontline combination of ponatinib and hyper-CVAD in Philadelphia chromosome-positive acute lymphoblastic leukemia: 80-months follow-up results. *Am J Hematol* 2023 Mar; **98**(3): 493-501.
2. Jabbour E, Kantarjian HM, Aldoss I, Montesinos P, Leonard JT, Gomez-Almaguer D, *et al.* Ponatinib vs Imatinib in Frontline Philadelphia Chromosome-Positive Acute Lymphoblastic Leukemia: A Randomized Clinical Trial. *JAMA* 2024 Jun 4; **331**(21): 1814-1823.

15. Oppgi navn på produsenter/leverandører vedrørende metoden (dersom aktuelt/tilgjengelig):

Incyte

16. Status for markedsføringstillatelse (MT) eller CE-merking: Når forventes MT- eller CE-merking? Eventuelt opplysning om planlagt tidspunkt for markedsføring.

KML og Ph pos ALL.

17. Fritekstrubrikk (Supplerende relevant informasjon, inntil 300 ord.)

Se eget vedlegg

18. Interesser og eventuelle 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 økonomiske interesser. Henvendelsen kommer på vegne av pasientgruppen og norsk ALL gruppe.