

Nye metoder: Innspill til metoder (forslag/metodevarsler/oppdrag)

Alle har anledning til å komme med tilleggsopplysninger til en metode som er foreslått for nasjonal metodevurdering. Det er ønskelig at innspill kommer inn så tidlig som mulig i prosessen, fortrinnsvis før behandling i Bestillerforum RHF.

Bruk dette skjemaet for å gi innspill til forslag, metodevarsler og oppdrag. På nyemetoder.no vil nye forslag/metodevarsler ha statusen «Forslag mottatt/åpent for innspill» før behandling i Bestillerforum RHF. Utfylt skjema sendes nyemetoder@helse-sorost.no.

NB: Punkt 1-3 og 11 fylles ut av alle. Punkt 4-9 fylles ut avhengig av rolle og kjennskap til metoden.

Jeg er klar over at skjemaet vil 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 nedenfor «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av):

1.Hvilken metode gjelder innspillet?	
Metodens ID nummer*:	ID2023_097 og ID2021_054
Metodens tittel:	Pegcetakoplan ved PNH

*ID-nummer finner du på metodesiden på nyemetoder.no og har formen ID2020_XXX

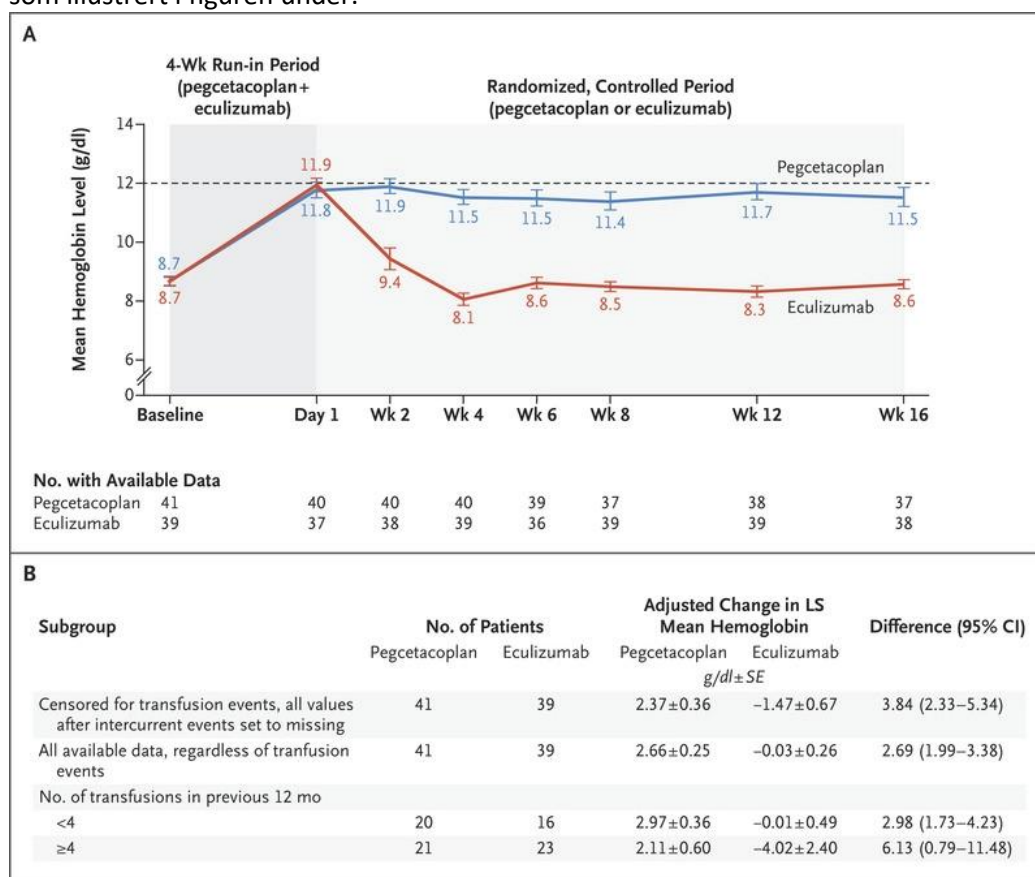
2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Geir E. Tjønnfjord
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Oslo universitetssykehus, Avdeling for blodsykdommer
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	gtjonnf@ous-hf.no ; 91550470

3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)
Komplementhemming er etablert som den foretrukne behandlingen ved paroksyttisk nattlig hemoglobinuri (PNH). Komplementhemming bedrer prognosen ved PNH dramatisk fordi risikoen for livstruende venøse og arterielle tromboser reduseres dramatisk slik at leveutsiktene er tilnærmet normalisert. C5-hemmeren ekulizumab (Bekemv, Amgen) er tilgjengelig som eneste preparat for norske pasienter, men C5-hemming gir ikke et optimalt behandlingsresultat for alle pasientene. Pasientene blir transfusjonsuavhengig, men de oppnår ikke fullstendig normalisering av hemoglobinkonsentrasjon som tabellen under som omfatter pasientene behandlet ved Oslo universitetssykehus viser.

	Hb g/dL	Reticulocytter x 10 ⁹ /L 30-100	LD U/L 105-205	DAT Neg.
Kvinne 35 år	9,2	181	207	+
Kvinne 48 år	10,8	136	214	+
Kvinne 38 år	9,1	347	202	+
Kvinne 60 år	11,2	314	289	+
Kvinne 41 år	12,9	89	161	+
Kvinne 55 år	9,9	327	230	Ikke gjort
Mann 50 år	11,4	304	269	+
Kvinne 38 år	10,1	225	207	+
Mann 62 år	10,3	373	222	+
Kvinne 24 år	9,5	107	205	-

Referanseområde Hb; menn 13,4-17,0 og kvinner 11,7-15,3

Det er meget gode holdepunkter for at de pasientene som har suboptimal hb-stigning ved C5-hemming vil kunne være betydelig hjulpet av behandling med C3-hemmeren pegcetakoplan som illustrert i figuren under.



Pegcetacoplan har markedsføringstillatelse i Norge.

Ved normalisering av hemoglobinkonsentrasjon til normalt nivå, vil vi kunne forvente at de aller fleste av pasientene som behandles med komplementhemmer for PNH vil ha et vesentlig høyere funksjonsnivå enn de har i dag, og de vil kunne være arbeidsføre.

--

Nærmere informasjon om metoden 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:
 Fra hvilket tidspunkt har den vært i bruk:
 Hvor er eventuelt metoden i bruk:

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

Beskriv kortfattet: Pasienter med paroksyttisk nattlig hemoglobinuri.

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

Beskriv kortfattet:

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

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:

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:

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: Pegcetakoplan har markedsføringstillatelse i Norge.

10. Andre kommentarer

Det er grunn til å tro at leverandøren er innstilt på forhandlinger om pris slik at de rene medikamentkostnadene vil kunne være de samme som for ekulizumab.

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:

Jeg har mottatt forskningsstøtte fra Alexion på kr 70 000.- for mer enn 5 år siden. Ingen aktuelle interessekonflikter.