

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*:	ID2022_068
Metodens tittel:	Fenfluramin (Fintepla) til behandling av epileptiske anfall forbundet med Lennox-Gastauts syndrom (LGS) som tilleggsbehandling til andre antiepileptika hos pasienter fra 2 års alder.

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

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Navn	Espen Lahnstein, Forbundsleder
Eventuell organisasjon/arbeidsplass	Epilepsiforbundet
Kontaktinformasjon (e-post / telefon)	espen.lahnstein@epilepsi.no

3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle)
<p>26.08.2024 bestemte dessverre Beslutningsforum for nye metoder at Fintepla ikke skulle innføres til behandling av LGS.</p> <p>På nettsiden til Nye metoder fremkommer det at UCB - leverandøren av fenfluramin har anmodet om en revurdering av metoden. Denne anmodningen skal behandles i Bestillerforum 9. desember 2024. Epilepsiforbundet gir innspill i anledning Bestillerforums behandling i desember.</p> <p>Epilepsiforbundet har i mange år jobbet for og med pasienter som er rammet av Lennox-Gastauts syndrom (LGS), og har gjennom kontakten med denne pasientgruppen og deres</p>

pårørende samlet inn bred innsikt og forståelse for hvordan sykdommen på ulike måter rammer både pasientene, og den nærmeste familien/pårørende. Forbundet er også i gang med en brukerundersøkelse blant våre medlemmer som er rammet av LGS, og vi har også fått mer innsikt både gjennom utviklingen av undersøkelsen og gjennom de preliminnære resultatene fra undersøkelsen.

I sakspapirene, som er tilgjengelig på nyemetoder.no, fremkommer det en uenighet rundt grunnlaget for de beregningene som er gjort i metodevurderingern, og da særlig sammensetningen av pasientpopulasjonen. Epilepsiforbundet har forstått at forskjellene i pasientpopulasjonen er avgjørende for om Fintepla er kostnadseffektiv eller ikke, altså om behandlingen skal innføres eller ikke.

LGS er en av de mest alvorlige formene for epilepsi, og uten effektiv behandling fører sykdommen til en betydelig utviklingshemming.

Epilepsiforbundet er forundret over at eventuelle forhold rundt pasientpopulasjonen, som kunne ført til at behandlingen kunne bli tatt i bruk tidligere, ikke ble avklart før saken kom til avgjørelse i august. Epilepsiforbundet forventer at så snart det fremkommer ny informasjon som gjøre at behandlingen vurderes til å være kostnadseffektiv, så blir behandlingen godkjent - uten flere unødvendige opphold.

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: April'24
 Hvor er eventuelt metoden i bruk: Brukes i behandling av Dravets syndrom

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

Beskriv kortfattet:

Det er ulike erfaringer på hvor lang tid det tar, men barna blir gradvis dårligere. Det går i perioder, og periodene med mye anfall er verst. Barna mister evnen til å ta vare på seg selv, de mister språk, de mister kognitive evner og, hvis de overlever, blir det et voksenliv som alvorlig utviklingshemmet i omsorgsbolig.

Pasienter med LGS har ulike typer epileptiske anfall, men det er særlig viktig å få redusert anfall av typen status epilepticus og anfall som medfører fall. LGS-pasienter har vanligvis en dårlig prognose. Mortaliteten er høy, og tidlig død skyldes som oftest status epilepticus,

ulykker eller interkurrente sykdommer. Nær 10 % av barna dør før 11 års alder. 4-10% av alle barn med psykisk utviklingshemming har LGS.

Hos voksne med LGS vil 2/3 fortsatt ha daglige eller ukentlige anfall ti år etter anfallsdebut. Gangvansker og anfall der personen plutselig faller om (drop attacks) kan i voksen alder være så invalidiserende at man blir avhengig av rullestol. Hyperaktivitet, aggresjon og autistiske trekk kan vedvare, men perseverasjon, langsomhet og apati er ofte mer fremtredende. Forstyrret døgnrytme er ofte et stort problem. Kun få vil være i stand til å leve selvstendig, og de fleste bor i kommunale omsorgsboliger.

Ovenstående er hentet fra artikkelen «Lennox-Gastauts syndrom – forløp og behandling» og viser nødvendigheten av å få bedre behandling, og de store konsekvensene LGS har for pasient, pårørende og den kommunale omsorgstjenesten når LGS ikke behandles tilstrekkelig.

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

Beskriv kortfattet:

Pasientene har vært gjennom mange medisiner mot epilepsi og også andre behandlinger, uten at det har hatt tilstrekkelig effekt. De står gjerne på flere medisiner enn nødvendig. Overbehandling med antiepileptika er vanlig, og bør reduseres.

Det er i dag ingen behandling som virker godt nok på LGS. Det er helt nødvendig at LGS-pasienter får tilgang til flere behandlinger.

Inaktivitet og understimulering, ofte som ledd i utilstrekkelige miljøtiltak, kan bidra til en negativ utvikling.

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:

Det å være mor og far til et barn som har LGS er krevende på mange måter og barnets sykdom har en total påvirkning på hele dagliglivet til de pårørende.

Barnet trenger tett oppfølging – og stadig mer pleie og omsorg. Noen familier får mer støtte enn andre, men ivaretagelse av barnet medfører at familier med barn med LGS har redusert arbeidsevne, reduserte inntekter og redusert sosialt liv. Dette rammer også utover søsken.

Det å oppleve at et barn som er født frisk, gradvis ender opp som alvorlig fysisk og mentalt utviklingshemmet er helt forferdelig – bare vissheten om at det kommer til å skje er svært

krevende. Frykten for at barnet skal dø i status epilepticus, eller at det når som helst kan bli alvorlig skadet av fall, er svært krevende.

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:

10. Andre kommentarer

LGS-pasienter mangler i dag behandling som gir god nok effekt. Dette medfører at pasientene risikerer å dø tidlig, eller få sterkt redusert livskvalitet.

Manglende behandling rammer også pårørende, ved da oppfølging av et barn med LGS reduserer muligheten til å stå i jobb, med påfølgende inntektsreduksjon, redusert sosialt liv og redusert kapasitet til å følge opp andre barn.

Den manglende medfører også at voksne LGS-pasienter må ha tett oppfølging i kommunale omsorgsboliger, og dermed er mer ressurskrevende for den kommunale helsetjenesten.

Manglende effekt av dagens behandling medfører totalt sett en betydelig merkostnad for helsevesenet og har en høy samfunnskostnad.

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:

Epilepsiforbundet har samarbeidsprosjekter med ulike produsenter av epilepsimedisin, og har pågående prosjekter både med UCB og Jazz (som selger Epidyolex).