



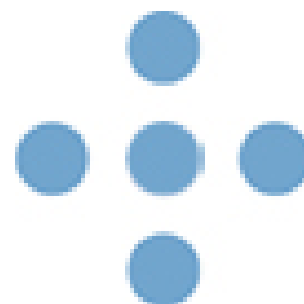
Beslutningsforum for nye metoder

Innkalling og saksdokumenter

Dato: 8. desember 2017

Kl.: 08.00 - ca. 08.30

Sted: telefonmøte



Adm. direktører i de Regionale helseforetakene
Linn Merethe Hefte Bæra, observatør fra de Regionale brukerutvalg
Bjørn Guldvog, helsedirektør - observatør
Olav V. Slåttebrekk, ass. helsedirektør - vararepresentant til helsedirektør

Kopi:
Fagdirektører i de Regionale helseforetakene
Hanne Husom Haukland, med. rådgiver
Anne May Knudsen, kommunikasjonsdirektør
Kristin Svanquist, Statens Legemiddelverk

Deres ref.:

Vår ref.:
2014/182-297/012

Saksbehandler/dir.tlf.:
Karin Paulke, 906 88 713

Sted/dato:
Bodø, 1.12.2017

Møte i Beslutningsforum for nye metoder, den 8. desember 2017 – innkalling

Herved innkalles til møte i Beslutningsforum for nye metoder

fredag, den 8. desember 2017 - fra kl. 8.00.

Møtet avvikles pr. **telefon**. Informasjon om oppkobling til møtet sendes pr. e-post.

Vedlagt følger saksdokumenter til dette møtet.

Saksdokumentene er unntatt offentlighet, jf. Off.loven § 14, fordi disse er å anse som organinterne dokumenter fram til beslutningen er tatt. Etter at beslutningen er tatt, er dokumentene offentlige.

Eventuelle forfall bes meldt til sekretariatet for Beslutningsforum for nye metoder, stabsdirektør Karin Paulke på tlf. 906 88 713.

Vel møtt.

Med vennlig hilsen

Brevet er godkjent elektronisk.

Lars Vorland
adm. direktør

Vedlegg

Møtedato: 8. desember 2017

Arkivnr.:
2014/182-300/012

Saksbehandler:
Karin Paulke, Helse Nord RHF

Sted/Dato:
Bodø, 1.12.2017

Sak 108-2017 Godkjenning av innkalling og saksliste

Beslutningsforum for nye metoder inviteres til å beslutte følgende saksliste for møte, den 8. desember 2017:

| | | | |
|--------------|--|------|----|
| Sak 108-2017 | Godkjenning av innkalling og saksliste | Side | 1 |
| Sak 109-2017 | Nusinersen (Spinraza®) til behandling av spinal muskelatrofi | Side | 2 |
| Sak 110-2017 | Referatsaker | Side | 13 |
| | 1. Brev fra NN (mottatt 14. november 2017 av sekretariatet for Nye Metoder) ad. til dere som skal avgjøre om NN får medisinen Spinraza <i>Brevet er unntatt offentlighet, jf. Offl. § 13.1.</i> | | |
| | 2. Brev fra NN av 6. november 2017 ad. Åpent brev til helseminister Bent Høie, og til de som skal bestemme hva en god helsetilstand bør koste! <i>Brevet er unntatt offentlighet, jf. Offl. § 13.1.</i> | | |
| Sak 111-2017 | Eventuelt | Side | 16 |

Bodø, den 1. desember 2017

Lars Vorland
adm. direktør

Møtedato: 8. desember 2017

Arkivnr.:

Saksbehandler:

Karin Paulke, Helse Nord RHF

Sted/Dato:

Bodø, 1.12.2017

Sak 109-2017

Nusinersen (Spinraza®) til behandling av spinal muskelatrofi

Saksdokumentene er unntatt offentlighet, jf. Off.loven § 14.

Dette saksgrunnlaget er unntatt offentlighet fordi det er å anse som et organinternt dokument fram til beslutningen er tatt. Etter at beslutningen er tatt, er dokumentet offentlig.

Formål

Vedlagt oversendes sak ad. *nusinersen (Spinraza®) til behandling av spinal muskelatrofi* til Beslutningsforum for nye metoder.

Saken er oversendt fra fagdirektørene i de Regionale helseforetak.

Fagdirektørene har gitt følgende anbefaling:

Beslutningen som er fattet av Beslutningsforum for nye metoder er resultat av en lang prosess og en grundig vurdering av de menneskelige konsekvenser som følger både av beslutning om innføring så vel som beslutning om ikke å innføre en behandlingsmetode.

Dersom det tilkommer nye opplysninger (herunder innføring av nye biotilsvarende medikamenter, pasientsikkerhet, kostnadseffektivitet, overlevelsestill m. m.) som endrer resultatet vesentlig, vil beslutningen kunne vurderes på nytt.

Nusinersen (Spinraza®) skal ikke innføres til behandling av nye pasienter som har spinal muskelatrofi.

Bodø, den 1. desember 2017

Lars Vorland
Adm. direktør

Vedlegg: Sak til Beslutningsforum ad. *nusinersen (Spinraza®) til behandling av spinal muskelatrofi*

NOTAT

Deres ref.:

Vår ref.:

Saksbehandler/dir. tlf.:
Geir Tollåli, 90945509

Sted/dato:
Bodø, 30.11.17

Til: Adm. dir. Lars Vorland
Fra: Fagdirektør Geir Tollåli

Sak til Beslutningsforum 08.12.17 - nusinersen (Spinraza®) til behandling av spinal muskelatrofi

Anbefaling:

Fagdirektørene anbefaler:

Nusinersen (Spinraza®) skal ikke innføres til behandling av nye pasienter som har spinal muskelatrofi.

Dersom det tilkommer nye opplysninger (herunder pasientsikkerhet, kostnadseffektivitet, overlevelsestall, biotilsvarende m. m.) som endrer resultatet vesentlig, vil beslutningen kunne vurderes på nytt.

Bakgrunn

Beslutningsforum besluttet i møtet den 23.10.2017 i sak 86-2014 følgende:

1. Beslutningsforum for nye metoder ønsker å innføre Spinraza til behandling av spinal muskelatrofi (SMA).
2. Pristilbudet for legemiddelet er klart uakseptabelt og oppfattes som uetisk. Dette gjelder både vurdert mot effekt og leverandørens behov for inntjening og fortjenestemargin.
3. Dokumentasjonen fra leverandøren for størrelsen av den medisinske effekten er utilstrekkelig.
4. Beslutningsforum for nye metoder oppfordrer leverandøren snarest mulig om å vurdere etikken som ligger til grunn for pristilbudet og redusere prisen vesentlig. Det forutsettes at et nytt pristilbud er i samsvar med føringene i Prioriteringsmeldingen (Meld. St. 34 (2015–2016)).
5. Spinraza innføres derfor ikke til behandling av spinal muskelatrofi (SMA) på nåværende tidspunkt. Pasienter som har startet behandling omfattes ikke av denne beslutningen.
6. De prinsipielle sidene ved innføring av nye medikamenter knyttet opp mot særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand, må utredes og konsekvensene må synliggjøres.

Bestillerforum RHF bestilte den 27.02.2017 en hurtig metodevurdering av nusinersen (Spinraza®) til behandling av spinal muskelatrofi. Oslo Universitetssykehus var forslagsstiller. Statens legemiddelverk (SLV) har vurdert dokumentasjonen som er innsendt av produsenten Biogen. Det ligger lenke til metodevurderingsrapporten på slutten av dette dokumentet.

SLV mottok nytt pristilbud 16.11.2017 (jf. oppdatert prisnotat datert 17.11.2017). Medlemmene av Beslutningsforum hadde fått tilsendt pristilbudet før møtet i Beslutningsforum den 20.11.2017. Saken fremmes her på ny i tråd med føringer gitt i sak 106-2017 den 20.11.2017:

1. Beslutningsforum for nye metoder tar informasjon om det nye pristilbudet til orientering.
2. Beslutningsforum for nye metoder ber fagdirektørene i RHF-ene om å vurdere det nye pristilbudet og fremme ny sak for Beslutningsforum for nye metoder så snart som mulig.

Spinal muskelatrofi (SMA) er en arvelig, nevrologisk sykdom som fører til muskelsvakheter i tverrstripet muskulatur. Den vanligste årsaken til SMA er en genforandring som gir mangel på et protein som er viktig for vedlikehold av motornevroner og fører til at disse ødelegges. Motornevroner er nerveceller som sender signaler til tverrstripet muskulatur, og sykdommen fører til gradvis tap av muskelfunksjon og tap av muskelmasse. Det oppstår tap av viljestyrte muskelbevegelser og koordinasjon. Til slutt foreligger lammelser som gjør det vanskelig å svelge, snakke og puste. Per dags dato finnes det ingen godkjent sykdomsmodifiserende behandling, og tilbudet er dermed støttende og symptomatisk behandling. Norske pasienter som er aktuelle for behandling med nusinersen (Spinraza®), kan deles inn i nye pasienter med SMA som oppdages ved symptomdebut, og pasienter som har hatt SMA en tid etter symptomdebut.

Diagnostisering av SMA gjøres med DNA-analyse (gentest). Det er vanlig å typebestemme SMA ut fra den høyeste motoriske funksjon pasienten har:

- SMA type I – høyeste motoriske funksjon er liggende
- SMA type II – høyeste motoriske funksjon er sittende
- SMA type III – høyeste motoriske funksjon er stående/gående

Det er glidende overganger mellom typene. SMA type I er den mest alvorlige typen, og forventet levealder er antatt å være under 2 år uten hjelp av respirator. SLV vurderer at SMA er svært alvorlig. Biogen har beregnet at absolutt prognosetap (APT) på 71 QALYs for type I, 67 QALYs for type II og 47 QALYs for type III. Det er usikkert hvor mange pasienter som i dag har SMA i Norge, men Biogen har ved hjelp av norske klinikere anslått at det er om lag 85 pasienter. Ikke alle disse pasientene har akkurat den typen genmutasjon som er aktuell for behandling med nusinersen (Spinraza®).

Nusinersen (Spinraza®) administreres som intratekal injeksjon (spinalpunksjon). Behandlingen med nusinersen (Spinraza®) bør starte så tidlig som mulig etter diagnostisering, med fire laddningsdoser og deretter med vedlikeholdsdose tre ganger per år (6 doser første året).

Det finnes per i dag ingen annen sykdomsmodifiserende behandling mot SMA type I-III. I dag gis kun støttende og symptomatisk behandling, og dette er derfor en relevant komparator.

Dette gjelder en liten gruppe pasienter og det er få studier. SLV mener at det er knyttet usikkerhet til effektdokumentasjonen. SLV viser i denne sammenheng til Stortingsmelding 34 (prioriteringsmeldingen) som åpner for at ved svært alvorlige sykdommer med særskilt små pasientpopulasjoner, kan det godtas mindre omfattende krav til dokumentasjon. SLV vurderte at det var to inkluderte studier av de som Biogen viste til som har en karakter som kan bli vektlagt i en hurtig metodevurdering. Disse studiene ble avsluttet etter forholdsvis kort tid (hhv. 13 og 15 mnd.). Det finnes derfor foreløpig ingen dokumentasjon på langtidseffekten av nusinersen (Spinraza®). Det pågår nå studier. Dokumentasjonen som ligger til grunn for relativ effekt er fra et klinisk utprøvningsprogram.

Det er i rapporten vist til at nusinersen (Spinraza®) har effekt hos pasienter med SMA type I og type II. Effekten av nusinersen (Spinraza®) ser ut til å være bedre jo tidligere man starter behandling. SLV mener utfallsmålene i modellen er svært usikre, særlig gjelder dette langtidseffekten av nusinersen (Spinraza®). Studiepopulasjonene er forholdsvis små, slik at respons hos enkeltpasienter vil påvirke resultatene i den helseøkonomiske analysen i stor grad. Biogen antar at omtrent alle pasienter vil ha tilsvarende utviklingsløp som de med best respons fra åpne tilleggsstudier, selv om de fleste pasientene i disse studiene ikke har nådd dette nivået på motorisk funksjon.

I følge SLV har Biogen ikke belyst alle potensielle gevinster for pasienter med SMA. De har ikke modellert effekten av nusinersen (Spinraza®) på pasienter med SMA type III. Biogen har valgt å vise verdien av SMA-behandling kun gjennom data på gangfunksjon hos 2 pasienter med type III. Studiene viser imidlertid at for en del av pasientene kan målet være å stabilisere sykdommen. Det kan se ut til at nusinersen (Spinraza®) har en stabiliserende effekt på sykdomsutviklingen for type III, men størrelsen på denne effekten svært usikker. SLV mener dette burde vært analysert, siden det er en betydelig gevinst sammenlignet med en gradvis progresjon av sykdommen. Det kan være av stor verdi for pasientene å forsinke sykdomsprogresjonen og å redusere risikoen for komplikasjoner. I den innsendte dokumentasjonen er det i tillegg lite oppmerksomhet på en eventuell verdi av behandling med nusinersen (Spinraza®) for pasienter som har levd med SMA i flere år etter symptomdebut, gjennom bedre studiedata på disse pasientene og en modell som bedre tar hensyn til et mål om å stabilisere sykdommen.

Dersom studiepopulasjonen skal være overførbart til norsk klinisk praksis, må norske SMA type I-pasienter diagnostiseres tidlig. I følge SLV er studiedataene overførbare. Dersom SMA-testing inkluderes i nyfødtscreeningen, kan vi anta en bedre effekt av nusinersen (Spinraza®) enn det som ble vist i den aktuelle studien, forutsatt at behandlingen starter tidlig.

Annen usikkerhet og innvendinger er knyttet til livskvalitetsparameteret, dosering i studier og vektlegging av gangfunksjon som utfallsmål. Det er flere utfordringer knyttet til måling av helse relatert livskvalitet til pasienter i den aktuelle pasientgruppen. Dess yngre pasientgruppen er, dess mindre validitet har generiske instrumenter for måling av livskvalitet. For SMA type I er dosering av nusinersen (Spinraza®) i den kliniske dokumentasjonen og i den innsendte modellen representative for slik behandlingen antas å bli brukt i klinisk praksis. Det er også noe usikkerhet i dokumentasjonen når det gjelder dosering. Når det gjelder type I antas doseringen av nusinersen Spinraza® å være (representativ) for slik behandlingen vil bli brukt i klinisk praksis, mens for type II er dosering av nusinersen (Spinraza®) i den kliniske dokumentasjonen mindre hyppig enn det som er anbefalt i preparatomtalen. Effekten som er vist i studien kan være noe underestimert. I den innsendte dokumentasjonen er det oppmerksomhet på å utvikle gangfunksjon. Studier viser som tidligere nevnt at for en stor del av pasientene kan målet være å stabilisere sykdommen. Gjennom informasjon fra brukere erfarer SLV at stabilisering av sykdommen, slik at den høyest mulige funksjon for den enkelte pasienten kan opprettholdes, kan være et viktig mål. SLV mener at Biogen ikke har belyst verdien av behandling med nusinersen (Spinraza®) for pasienter som har levd med SMA lenge etter symptomdebut. Imidlertid vil den meget høye legemiddelprisen påvirke kostnadseffektiviteten i stor grad, og andre analyser med mer heterogene utfall av behandlingen ville nødvendigvis ikke gitt store utslag på kostnadseffektiviteten.

Nusinersen (Spinraza®) har vist en gunstig bivirkningsprofil i de kliniske studiene. Bivirkninger som hodepine, oppkast og ryggsmarter, som er forbundet med spinalpunksjonen, er observert. SLV godtar antakelsen om at det er tilnærmet ingen bivirkninger.

Vi har nå mottatt nytt pristilbud, [REDACTED], jf. oppdatert prisnotat:

1. [REDACTED]
2. [REDACTED]

[REDACTED]

¹ AIP er apotekenes innkjøpspris

² [REDACTED]

³ [REDACTED]

[REDACTED]. Kostnadseffektivitetsberegningene er usikre og det blir stor variasjon. Merkostnad per vunnet leveår vil også variere for de ulike gradene av sykdommen, eksempelvis vil merkostnaden ifølge SLVs beregninger være:

- SMA type I: [REDACTED]
- SMA type II: [REDACTED]
- SMA type III: [REDACTED]

Små justeringer i forutsetningene gir store utslag i resultatene av analysen. Ved å endre flere variabler samtidig blir utslagene enda større.

Budsjettberegningene er usikre og forenklede. Det første året med behandling blir budsjettkonsekvensen størst siden det da gis 4 laddningsdoser. SLV har estimert at å behandle aktuelle pasienter med nusinersen (Spinraza®) vil ha en total årlig budsjettkonsekvens som vil ligge i et intervall: [REDACTED]

[REDACTED] inkl. mva. i det femte budsjettåret.

Selv om en annen ny behandling blir innført, f.eks. genterapi, kan det godt tenkes at ulike metoder ikke utelukker hverandre, men at de kan kombineres. Kostnadene vil også kunne øke dersom pasientene lever lenge med sykdommen når de får denne behandlingen. Da vil pasientgruppen bli større. Eventuelle besparelser forbundet med f.eks. færre pasienter som trenger sykehusbehandling er ikke inkludert i analysen.

Vurdering fra fagdirektørene

I Prioriteringsmeldingen er det foreslått at det for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand kan aksepteres en høyere ressursbruk enn det som vanligvis aksepteres. Fagdirektørene har sett til dette i denne vurderingen, og i tillegg nyttet departementets vurderinger av disse kriteriene:

Antall pasienter: Vi har ikke eksakt kunnskap om antall pasienter i Norge som er aktuelle for behandling med nusinersen (Spinraza®). Departementet har gjort en vurdering av hva som kan anses som veiledende kriterier for å være en særskilt liten pasientgruppe:

«Departementet anser at utgangspunktet for å vurdere om kravet til "særskilt liten pasientgruppe" er oppfylt, er at forekomsten av tilstanden som metoden skal brukes mot er

mindre enn om lag én pasient per 100 000 innbyggere per metode på verdensbasis, eller mindre enn om lag 50 pasienter i Norge per metode»⁴.

Dette forstår vi som at prevalensen er 50 pasienter i Norge. Den vurderingen vi gjør i denne saken vil kunne legge føringer for andre saker som gjelder særskilt små pasientgrupper. Dersom en metode har den ønskede effekten med økt totaloverlevelse, vil pasientgruppen på sikt bli større, og prevalensen vil øke. I følge SLV er det ca. 40 pasienter som er aktuelle for behandling med nusinersen (Spinraza[®]) i Norge i dag, og det kommer ca. 7 nye tilfeller hvert år. SLVs analyse viser at det vil være omtrent 60 pasienter ved år 5 som er aktuelle for behandling med nusinersen (Spinraza[®]). Pasientgruppen synes å være i grenselandet for å nytte dette kriteriet.

Alvorlighetsgrad: Departementet vurderer at kravet til alvorlighet kvantifiseres til et absolutt prognosetap som tilsvarer minst 30 tapte gode leveår. Barn med medfødte genetiske sykdommer nevnes spesielt fordi de ofte har stort tap av både livskvalitet og leveår. Biogens analyse viser at absolutt prognosetap er betydelig høyere enn 30 tapte leveår. Det veiledende kriteriet på alvorlighetsgrad synes da å være oppfylt for denne pasientgruppen.

Stor forventet nytte: Departementet vurderer at kravet om stor forventet nytte kvantifiseres til minst to vunne gode leveår sammenlignet med ved standard behandling⁵. I Biogens analyse er vunne QALY om lag 6. I SLVs analyse er gevinsten redusert til litt under 2 QALY for SMA type I. Scenarioene er heftet med stor usikkerhet. Behandling med nusinersen (Spinraza[®]) er en helt ny praksis der potensiell gevinst kan være betydelig. I følge SLV er altså utfallsmålene svært usikre, men de vurderer at en del pasienter vil kunne leve lenger med en betydelig bedre livskvalitet enn med dagens situasjon, hvor det kun finnes støttende behandling. Intensjonen bak det veiledende kriteriet om stor forventet nytte synes derfor å kunne være oppfylt.

Fagdirektørene mener at medikamentet er nyttig for denne aktuelle pasientgruppen og sykdommen er svært alvorlig. Kostnadene er eksepsjonelt høye, og kostnadseffektiviteten er lav. Hva gjelder særskilt små pasientgrupper med svært alvorlige tilstander er det ikke gitt noen føringer for *hvor mye* høyere ressursbruk som kan aksepteres. Fagdirektørene skal i denne skjønnsmessige vurderingen også vurdere alternativkostnad, dvs. nytten for andre pasienter som ellers kunne ha vært realisert med de samme ressursene.

Normalt skal ikke samfunnshensyn tas inn i vurdering. I prioriteringsmeldingen står det at effekter på ressursbruk i den kommunale helse- og omsorgstjenesten utløst av tiltak i

⁴ Jf. Helse- og omsorgsdepartementets høringsnotat til endringer i legemiddelforskriften og blåreseptforskriften: <https://www.regjeringen.no/contentassets/8c1ba95a09ae4c32af5ed13de4c789d0/horingsnotat-l1135129.pdf>

⁵ Jf. Helse- og omsorgsdepartementets høringsnotat til endringer i legemiddelforskriften og blåreseptforskriften: <https://www.regjeringen.no/contentassets/8c1ba95a09ae4c32af5ed13de4c789d0/horingsnotat-l1135129.pdf>

spesialisthelsetjenesten, skal tas hensyn til i metodevurderinger på gruppenivå. Den samlede ressursbruken per pasient kan for denne gruppen bli stor. Tiltak i spesialisthelsetjenesten kan øke eller redusere ressursbruken i den kommunale helse- og omsorgstjenesten. I denne saken kan det være aktuelt å vurdere om den totale ressursbruken blir påvirket av en innføring av denne metoden. Pasienter med SMA har brukerstyrt personlig assistent stort sett hele døgnet, litt avhengig av type SMA og av sykdommens utvikling. For hver motoriske milepæl pasientene oppnår, øker helserelatert livskvalitet og reduserer behov for behandling i spesialisthelsetjenesten og behov for kommunale pleie- og omsorgstjenester. Det er usikkert hvordan behov i primær- og spesialisthelsetjenesten påvirkes av endringer i livsløpet sett under ett. Dette kan også variere mellom SMA type I, SMA type II og SMA type III. På tross av stor usikkerhet ved den totale nytten av behandlingen, er det legemiddelprisen som påvirker kostnadseffektiviteten mest. Metodevurderingsrapporten gir ikke grunnlag for å vise til at en innføring av metoden vil ha betydelige konsekvenser for ressursbruken knyttet til den enkelte pasienten/pasientgruppen i kommunale helse- og omsorgstjenesten.



Selv om fagdirektørene tar høyde for at dette gjelder en svært alvorlig tilstand og at pasientgruppen muligens kan defineres som en særskilt liten pasientgruppe, er kostnadseffektiviteten for lav og kostnadene er for høye. Metoden kan derfor ikke innføres.

Fagdirektørene har gjort vurderingen med bakgrunn i hurtig metodevurderingen utført av Statens legemiddelverk, Stortingsmelding 34 (prioriteringsmeldingen) og tar her utgangspunkt i en sjekklister som stod i styresaken om nasjonalt system for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten. Her presenteres vurderingen i en matrise:

| | Metode | Kommentar |
|---|---|---|
| 1 | Er det gjort greie for effekt, sikkerhet, kostnader, organisatoriske konsekvenser, kostnadseffektivitet, budsjettkonsekvenser, etikk og jus på en tilfredsstillende måte? | Nusinersen (Spinraza®) har effekt på pasienter med SMA. Effektstørrelsen er meget usikker. |
| 2 | Er effekten av den nye metoden tilstrekkelig dokumentert i den pasientpopulasjonen som antas å være aktuell i den norske kliniske praksisen? | I hovedsak ser studiepopulasjonen ut til å være representativ for pasienter med SMA type I. For SMA type II og III er det svak kvalitet på effektdokumentasjonen. |

| | Metode | Kommentar |
|----|---|--|
| 3 | Er det andre aktuelle overlappende nye metoder som bør inkluderes i vurderingene? | Nei. |
| 4 | Er bivirkningsprofilen tilstrekkelig dokumentert og ivaretatt i form av økte kostnader og/eller lavere livskvalitet i vurderingen av den nye metoden? | Ja. |
| 5 | Kan metoden innføres innenfor eksisterende økonomiske rammer? | Budsjettvirkningen ved en eventuell innføring av metoden på denne indikasjonen er beregnet til å være [redacted] med dagens pris per år om fem år. Budsjettberegningene er usikre og forenklete. En faktor som ikke kommer fram i budsjettanalysen er eventuelle besparelser for helseforetakene/ primærhelsetjenesten ved innføring av metoden. Budsjettkonsekvenser får betydning for prioritering mellom grupper. |
| 6 | Vil innføring av metoden kreve organisatoriske endringer (som for eksempel endring i arbeidstidsordning, vaktplan og annet)? | Nei. |
| 7 | Vil innføringen av metoden kreve kompetansehevende tiltak? | Nei. |
| 8 | Finnes det lokaler som er egnet til bruk for gjennomføring av metoden? | Ja. |
| 9 | Vil innføring av metoden kunne reise viktige problemstillinger? | Det er ikke identifisert andre viktige problemstillinger enn de som her er nevnt. En innføring av denne metoden vil kunne være førende for flere andre meget kostbare metoder rettet mot svært sjeldne tilstander. |
| 10 | Konklusjon: Bør metoden innføres i RHF-ene? | Nei. |
| 11 | Er det oppgitt en tilfredsstillende plan for oppfølging av metoden i innføringsperioden? | De nasjonale retningslinjene må sikres slik at de er i samsvar med Beslutningsforums beslutning. |
| 12 | Tilleggsinformasjon | Det ser ut til å komme flere nye behandlinger for SMA. Det første kan være en genterapi, som trolig vil kunne |

| | Metode | Kommentar |
|--|--------|--|
| | | erstatte store deler av nusinersen (Spinraza®), særlig for nye pasienter med SMA. Siden denne genterapi har en annen virkningsmekanisme, kan nusinersen (Spinraza®) i noen tilfeller da være aktuell som tilleggsbehandling. |

Vedlegg og lenker:

1. Følg brev fra Sekretariatet for Bestillerforum RHF
2. Oppdatert prisnotat 17.11.2017, konfidensielt
3. Lenke til rapport: [Hurtig metodevurdering - Nusinersen \(Spinraza\) ved behandling av spinal muskeltrofi \(SMA\)](#)

NYE METODER

Helse Vest RHF, v/Fagdirektør Baard-Christian Schem

Helse Sør-Øst RHF, v/Fagdirektør Geir Bøhler

Helse Nord RHF, v/Fagdirektør Geir Tollåli

Helse Midt-Norge RHF, v/Fagdirektør Henrik Sandbu

Kopi: Fagdirektørsekretariatet v/Ingrid Dirdal, Helse Vest RHF

Oslo 11. oktober 2017

Sak til beslutning: ID2017_001_Nusinersen (Spinraza) ved behandling av spinal muskelatrofi (SMA),

Herved oversendes hurtig metodevurdering utarbeidet av Statens legemiddelverk datert 09.10.2017 med tittel «Nusinersen (Spinraza) ved behandling av spinal muskelatrofi (SMA)», ID2017_001

Medlemmene av Bestillerforum RHF har hatt hurtig metodevurderingen fra Statens legemiddelverk til gjennomgang. Alle medlemmene har 10.10.2017 klarert at hurtig metodevurdering kan sendes til beslutning i de regionale helseforetakene.

For oppsummering og sammendrag av metodevurderingsrapporten vises det til rapportens innledende del.

Til orientering, er det ingenting som er sladdet.

Med vennlig hilsen

Helene Örthagen

Sekretariat

Nye metoder

E-mail: Nyemetoder@helsedir.no

Tlf: + 47 911 87 493 (kontortelefon)

Helsedirektoratet

Pb 7000 St Olavs plass, 0130 Oslo, Universitetsgata 2

www.nyemetoder.no

Møtedato: 8. desember 2017

Arkivnr.:
2014/182-301/012

Saksbehandler:
Karin Paulke, Helse Nord RHF

Sted/Dato:
Bodø, 1.12.2017

Sak 110-2017

Referatsaker

Vedlagt oversendes kopi av følgende dokumenter:

1. Brev fra NN (mottatt 14. november 2017 av sekretariatet for Nye Metoder) ad. til dere som skal avgjøre om NN får medisinen Spinraza
Brevet er unntatt offentlighet, jf. Offl. § 13.1.
2. Brev fra NN av 6. november 2017 ad. Åpent brev til helseminister Bent Høie, og til de som skal bestemme hva en god helsetilstand bør koste!
Brevet er unntatt offentlighet, jf. Offl. § 13.1.

Forslag til beslutning:

Framlagte saker tas til orientering.

Bodø, den 1. desember 2017

Lars Vorland
Adm. direktør

Møtedato: 8. desember 2017

Arkivnr.:
2014/182-301/012

Saksbehandler:
Karin Paulke, Helse Nord RHF

Sted/Dato:
Bodø, 1.12.2017

Sak 110-2017/1

Brev fra NN (mottatt 14. november 2017 av sekretariatet for Nye Metoder) ad. til dere som skal avgjøre om NN får medisinen Spinraza

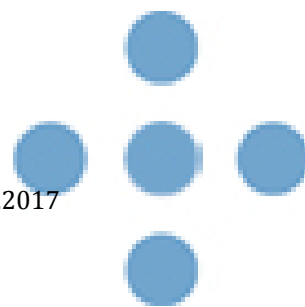
Brevet er unntatt offentlighet, jf. Offl. § 13.1.

Se vedlagt kopi.

Møtedato: 8. desember 2017
Arkivnr.:
2014/182-301/012

Saksbehandler:
Karin Paulke, Helse Nord RHF

Sted/Dato:
Bodø, 1.12.2017



Sak 110-2017/2

Brev fra NN av 6. november 2017 ad. Åpent brev til helseminister Bent Høie, og til de som skal bestemme hva en god helsetilstand bør koste!

Brevet er unntatt offentlighet, jf. Offl. § 13.1.

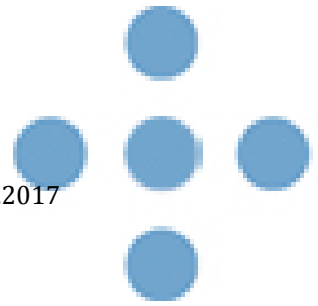
Se vedlagt kopi.

Møtedato: 8. desember 2017

Arkivnr.:
2014/182-302/012

Saksbehandler:
Karin Paulke, Helse Nord RHF

Sted/Dato:
Bodø, 1.12.2017



Sak 111-2017

Eventuelt