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):** [x] 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):** [x]

|  |
| --- |
| 1.Hvilken metode gjelder innspillet? |
| Metodens ID nummer\*: | ID2021\_043 |
| Metodens tittel: | Langsiktig enzymerstatningsterapi ved Pompes sykdom |

\*ID-nummer finner du på metodesiden på nyemetoder.no og har formen ID2020\_XXX

|  |
| --- |
| 2. Opplysninger om den som gir innspill |
| Navn  | Thomas Hansen |
| Eventuell organisasjon/arbeidsplass | Sanofi  |
| Kontaktinformasjon (e-post / telefon) | Thomas.Hansen@sanofi.com |

|  |
| --- |
| 3. Oppsummert innspill til metoden (besvares av alle) |
| Sanofi viser til bestillingen (ID2021\_043) angående vurdering av avalglucosidase alfa for behandling av Pompes sykdom- og ber med dette om endret bestilling  Sanofi har forståelse for at en sammenligning av avalglucosidase alfa med «best supportive care» er blitt bestilt ettersom dette teoretisk sett er riktig, all den tid en evaluering av alglucosidase aldri er blitt gjort. Sanofi har derfor etter beste evne forsøkt å finne valid dokumentasjon for å kunne imøtekomme metodebestillingen. Det viser seg imidlertid at denne bestillingen ikke er mulig å etterkomme, og vi ber derfor om at Bestillerforum erkjenner de faktiske forhold.  Metodebestillingen er rett og slett ikke mulig å etterkomme av følgende grunner:* Standard behandling med Alglucosidase alfa har vært på markedet i 15 år
* Av etiske grunner ble ikke en direkte sammenligningsstudie mellom avalglucosidase alfa og «best supportive care» gjennomført
* Det finnes ikke data som gir et relevant og troverdig estimat av baseline karakteristika for best supportive care i dag
	+ Alle pasienter med Pompes sykdom blir behandlet med alglucosidase. Med andre ord finnes ikke data på ikke-behandlede pasienter i dag
	+ Baseline karakteristika for pasienter fra da studien av alglucosidase ble utført kan av den grunn vanskelig sammenlignes med dagens «teoretiske» baseline verdier

Vi viser også til NICE sin beslutning om at en vurdering bør gjennomføres mellom alglucosidase alfa og avalglucosidase alfa, på bakgrunn av samme overnevnte forhold. Sanofi vil igjen påpeke at en eventuell innføring av avalglucosidase alfa ikke vil ha noen budsjettmessige konsekvenser for helseforetakene da prisen på de reelle sammenligningsalternativene, alglucosidase alfa og avalglucosidase alfa, vil være lik. Vi håper med dette at dere kan se på saken på nytt, og at dere imøtekommer vårt ønske om en endring i bestillingen til kun å se på en evaluering mellom alglucosidase alfa og avalglucosidase alfa.  |
|  |

**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 tiltakdet 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: Samme pasientgruppe som i dag får Myozyme. Avalglucosidase alfa vil dermed erstatte Myozyme |

|  |
| --- |
| 6. Er du kjent med behandlingsalternativer til denne metoden og hvordan disse fungerer for pasientgruppen i dag? (PICO) |
| Beskriv kortfattet: I dag får alle pasienter som trenger behandling av Pompe sykdom Myozyme  |

|  |
| --- |
| 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: |

|  |
| --- |
| 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: Januar 2022 |

|  |
| --- |
| 10. Andre kommentarer |
| Viser til overlege Petter Sanaker som i forrige runde i Bestillerforum skriver følgende: «Metoden gjelder en svært sjelden sykdom i Norge. Vi oppfatter at det spørres om en forenklet metodevurdering for å kunne erstatte dagens eneste aktuelle enzymerstatningsbehandling med en annen, tilsvarende, minst like god og ikke dyrere behandling. Vi støtter opp under at også sjeldengruppene får oppleve at deres behandling er gjenstand for kontinuerlig forbedring, og at resultater fra forskningen tas i bruk til deres beste.» |

|  |
| --- |
| **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: Sanofi er MT-innehaver av alglucosidase alfa |