

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av): ☒

Fyll ut dato for innsending av skjema: 10.12.2025

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Sanofi
1.2 Navn kontaktperson	Kirstin Mesteig
1.3 Stilling kontaktperson	Head of Market Access and Public Affairs
1.4 Telefon	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.5 E-post	Kirstin.mesteig@sanofi.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
1.7 Telefon og e-post	+

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	☒ Et nytt virkestoff ☐ En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon ☐ En ny styrke eller formulering
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) hos voksne pasienter som er refraktære overfor annen behandling

<i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i> <i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i>	
2.3 Handelsnavn	Wayrilz®
2.4 Generisk navn/virkestoff	Rilzabrutinib
2.5 ATC-kode	B02BX Reference: https://atcddd.fhi.no/atc_ddd_index/
2.6 Administrasjonsform og styrke <i>Oppgi også forventet dosering og behandlingslengde</i> <i>Skriv kort</i>	Rilzabrutinib is orally administrated with a 400 mg tablet BID Rilzabrutinib can be taken at approximately the same time each day with or without food Length of treatment is until progression of disease
2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme. <i>Skriv kort</i>	Rilzabrutinib (Wayrilz®) is an oral, reversible, potent, covalent, Bruton's tyrosine kinase (BTK) inhibitor that contains both covalent and non-covalent regions and was designed for the treatment of immune-medicated diseases The covalent binding of rilzabrutinib contributes to its long BTK-target engagement occupancy and durable inhibition with limited drug exposure, clinical advantage that, due to its reversibility, is accompanied by rapid systemic clearance, which combined with its binding specificity reduces the potential for off-target toxic effects BTK-inhibition results in the down regulation of various immune cell activities including proliferation, differentiation, maturation, survival, cytokine production, and up-regulation of apoptosis. It is a key therapeutic target in immune-mediated diseases due to its role in B-cell differentiation and development, antibody production, and Fcγ receptor (FcγR)-mediated

	phagocytosis and its direct regulation of innate immunity and inflammatory pathways Rilzabrutinib mediates its therapeutics effects for ITP through multiple mechanisms of action: 1) inhibition of B-cell activation and 2) interruption of antibody-coated cell phagocytosis by FcγR in spleen and liver. In in-vitro testing, Rilzabrutinib reduced autoantibody signaling mediated through the FcγR pathway, blocked B-cell activation. In addition, Rilzabrutinib may potentially play a role in amelioration of chronic inflammation associated with ITP. References: Sanofi, "Data on file. Proposed rilzabrutinib USPI.." D. J. Kuter <i>et al.</i>, "Rilzabrutinib, an Oral BTK Inhibitor, in Immune Thrombocytopenia," <i>New England Journal of Medicine</i>, vol. 386, no. 15, pp. 1421-1431, 2022/04/14 2022, doi: 10.1056/NEJMoa2110297.
--	--

3 Historikk – virkestoff og indikasjon

3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja ☐ Nei ☒ ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja ☒ Nei ☐ ID-nummer: ID2019_041
3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng? <i>Hvis ja, oppgi referanse</i>	Ja ☐ Nei ☒ Referanse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring

4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner? <i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i>	Ja ☐ Nei ☒ Dato for MT for første indikasjon: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.
4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?	Ja ☐ Nei ☒

4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon? <i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i> <i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i> <i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i>	MT i Norge: Ja ☐ Nei ☒ Prosedyrenummer i EMA: EMA/H/C/006425 Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): 16 October 2025 Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): December/2025. Hvis metoden har MT: Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.
4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon? <i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i>	Ja ☐ Nei ☒ Beskrivelse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?	Ja ☐ Nei ☒
4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA? <i>Hvis ja, fyll ut dato</i>	Ja ☒ Nei ☐ Dato for «orphan drug designation»: 04.06.2020

5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?	Ja ☐ Nei ☒
---	--

6 Sammenlignbarhet og anbud	
6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?	Ja ☐ Nei ☒ Kommentar: Rilzabrutinib is a reversible covalent Bruton's tyrosine kinase (BTK) inhibitor, and there are currently no approved medicinal products for ITP with this mechanism of action.
6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen? <i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja ☐ Nei ☒ Legemiddel og ID-nummer: Rilzabrutinib is not considered comparable to any methods previously introduced by Nye Metoder for ITP. BTK inhibition constitutes a new therapeutic modality, and existing treatments (TPO-RAs and the SYK inhibitor fostamatinib) differ in mechanism of action, clinical profile, and safety characteristics. Rilzabrutinib should therefore be regarded as a distinct and novel treatment option.
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja ☐ Nei ☒ Kommentar: There are currently no tenders in Norway that are relevant for rilzabrutinib. The Tender 2699I ITP concerns only thrombopoietin receptor agonists (TPO-RAs).

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)	
7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB? <i>Hvis nei, begrunn kort</i>	Ja ☐ Nei ☒ Begrunnelse: Due to differences in clinical practice across the Nordic countries and different internal timelines for submission of reimbursement dossier in the Nordic countries, is it not relevant to have a joint Nordic assessment.

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)	
8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av	Ja ☐ Nei ☒

relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)? <i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i>	Dato for søknad til EMA: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.
--	---

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse	
9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	Cost utility analysis QALYs enable comparability between different interventions and different diseases. A cost utility analysis enables consistent assessments.
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Adult ITP patients who are refractory to other treatments
9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.) <i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i>	ITC as no H2H study is available
9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.	45 Million NOK
9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF. <i>Tidspunkt må oppgis</i>	April 2026

10 Sykdommen og eksisterende behandling	
10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon	ITP is a rare autoimmune disorder characterized by low platelet counts that results in an increased risk of severe bleeding episodes and thromboembolic events

<i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i>	- ITP arises from complex immune dysregulation involving aberrant activation and impaired regulation of both innate and adaptive immune pathways, contribution to platelet destruction and impaired thrombopoiesis. - ITP may be classified as primary or secondary to other medical conditions present at diagnosis. The disease duration determines the classification for ITP as newly diagnosed, persistent or chronic References: Audia S, Mahévas M, Nivet M, Ouandji S, Ciudad M, Bonnotte B. Immune Thrombocytopenia: Recent Advances in Pathogenesis and Treatment. Hemasphere. 2021 Jun;5(6):e574 Kuter DJ, Bussel JB, Ghanima W, Cooper N, Gernsheimer, T, Lambert MP, et.al. Rituximab versus placebo in adults and adolescents with persistent or chronic immune thrombocytopenia: LUNA 3 phase III study. Therapeutic Advances in Hematology. 2023; 14:20406207231205431
10.2 Fagområde <i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i>	Velg fagområde fra menyen: Blodsykdommer
10.3 Kreftområde <i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i>	Velg kreftområde fra menyen: Velg et element.
10.4 Dagens behandling <i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i>	The purpose of the treatment is to increase the level of platelets to stop or prevent bleeding. The first choice among the available treatments is glucocorticoids, which are effective in about 75% of patients. In patients with severe thrombocytopenia, intravenous treatment with immunoglobulins may be considered. The second choice is usually surgical removal of the spleen. Treatment options when the first or second choice is not suitable or does not produce the desired effect include fostamatinib, romiplostim, eltrombopag, rituximab, or immunosuppressive therapy with chemotherapy. References:

	T4.4.2.1 Immunologisk nedbrytning av blodplater, Norsk legemiddelhåndbok [revidert 28.08.2024]. Tilgjengelig fra: https://www.legemiddelhandboka.no/legacy/chapter/T4.4.2.1
10.5 Prognose <i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i>	Overall prognosis for adults with ITP in Norway is good, especially given access to modern therapy (TPO-RAs and fostamatinib). Most patients avoid life-threatening bleeding and many achieve stable long-term remission. However, on a population level, adults with chronic ITP still show some excess mortality compared with the general population. References: Mannering, N., Hansen, D.L., Pottegård, A. and Frederiksen, H. Survival in adult patients with chronic primary and secondary immune thrombocytopenia: A population-based stud. 2022. https://www.legeforeningen.no/contentassets/032228f21383459987f94f80615ea957/07-10-11-nasjonale-retningslinjer-for-itp-010111615720813.pdf https://www.oslo-universitetssykehus.no/behandlinger/immunologisk-trombocytopeni-itp-behandling
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	According to Sykehusinnkjøp's pricing note, current clinical practice in Norway consists of first-line treatment with corticosteroids, second-line therapy with thrombopoietin receptor agonists (TPO-RAs), and third-line use of rituximab. On this basis, Beslutningsforum has decided to introduce fostamatinib for adult patients with ITP who are refractory to previous treatment. Rilzabrutinib is therefore expected to be considered for use in patients who have not achieved adequate response with these established therapies, representing an additional option beyond current third-line practice

10.7 Pasientgrunnlag <i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i> <i>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</i> <i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i>	Immune thrombocytopenia is an autoimmune disease and is the most common cause of low platelet count (thrombocytes). The main function of platelets is to ensure that blood can clot, and at low levels, patients usually experience small bruises on the skin. In severe cases, internal bleeding can occur, which may be life-threatening. In children, the condition is often short-lived and temporary, but in adults, a chronic course is more commonly seen, defined as lasting more than 12 months. It is estimated that 1–4 new cases of immune thrombocytopenia occur per 100,000 adults per year. Reference: Norsk Helseinformatik [revidert 10.06.2020]. Tilgjengelig fra: https://nhi.no/sykdommer/blod/blodningssykdommer/primar-immun-trombocytopeni

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID <i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i>	LUNA2 (Part A and Part B) - Part A of LUNA 2 is a dose-finding study of rilzabrutinib in patients with refractory or relapsed ITP with no available approved therapeutic options - Part B of LUNA2 in an open-label study of rilzabrutinib in patients with	LUNA3 PRN1008-018 (EFC17093) NCT04562766 Link: https://clinicaltrials.gov/study/NCT04562766?id=NCT04562766&rank=1	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	replaced ITP with an insufficient response to prior therapies using a dose of 400 mg BID NCT03395210 Link: https://clinicaltrials.gov/study/NCT03395210?id=NCT03395210&rank=1		
11.2 Studietype og -design	Phase I/II study - Phase A is a dose-finding study - Phase B is an open-label study	Ongoing, pivotal Phase III, multicenter, randomized, double-blinded, placebo-controlled, parallel-group study with an open-label extension to evaluate the efficacy and safety of oral Rilzabrutinib in adults and adolescents with persistent or chronic ITP	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	Investigating the safety, pharmacokinetics, and clinical activity of Rilzabrutinib in adult patients with relapsed ITP.	to evaluate the efficacy and safety of oral Rilzabrutinib in adults and adolescents with persistent or chronic ITP	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	LUNA2 – Part A: Patients with ITP who are refractory or relapsed with no available and approved therapeutic options, with a platelet count <30,000/ μL on two counts no sooner than 7 days apart in the 15 days before treatment begins Inclusion criteria:	Patients who had a response (achievement of platelet count $\geq 50,000/\mu$ L) to IVIg/anti-D or CSs that was not sustained and who have documented intolerance, insufficient response or any contraindication to any appropriate courses of standard of care ITP therapy	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	- Male or female patients, aged 18-80 years old - Immune-related ITP (both primary and secondary) Exclusion criteria: - Pregnant or lactating women - Current drug or alcohol abuse - History of solid organ transplant - Positive screening for HIV, hepatitis B, or hepatitis C LUNA2 – Part B: Patients with ITP who have relapsed or have an insufficient response to prior therapies. Eligible patients will have a platelet count $<30,000/\mu\text{L}$ on two occasions no less than 7 days apart, within 15 days before treatment begins, and a platelet count of $\leq 35,000/\mu\text{L}$ on Study Day 1. Inclusion criteria: - Male or female patients, aged 18-80 years old - Immune-related ITP (both primary and secondary) Exclusion criteria: - Pregnant or lactating women - Current drug or alcohol abuse - History of solid organ transplant Positive screening for HIV, hepatitis B, or hepatitis C	Inclusion criteria: - Patients will be male and female with primary ITP with duration of >6 months in pediatric participants aged 12 to <18 (pediatric participants aged 10 to <12 years will be enrolled in the EU [EEA countries] only) and duration of >3 months in ages 18 years and above - Patients who had a response (achievement of platelet count $\geq 50,000/\mu\text{L}$) to IVIg/anti-D or CSs that was not sustained and who have documented intolerance, insufficient response or any contra-indication to any appropriate courses of standard of care ITP therapy - An average of 2 platelet counts at least 5 days apart of $<30,000/\mu\text{L}$ during the screening period and no single platelet count $>35,000/\mu\text{L}$, within 14 days prior to the first	
--	--	---	--

		dose of study drug - Pediatric patients must additionally be determined to need treatment for ITP as per clinical assessment by the investigator - Adequate hematologic, hepatic, and renal function (absolute neutrophil count $\geq 1.5 \times 10^9/L$, AST/ALT $\leq 1.5 \times$ upper limit of normal [ULM], albumin ≥ 3 g/dL, total bilirubin $\leq 1.5 \times$ ULN [unless the patient has documented Gilbert syndrome], glomerular filtration rate >50 [Cockcroft and Gault method for adult and Bedside Schwartz Equation for pediatric participants]) - Hemoglobin >9 g/dL within 1 week prior to Study Day 1 - All contraceptive use by men and women should be consistent with local regulations regarding the methods of	
--	--	---	--

		contraception or those participating in clinical studies - Patients must be able to provide written informed consent or informed assent with corresponding informed consent obtained from the patient's guardian and agree to the schedule of assessments Exclusion criteria: - Patients with secondary ITP - Pregnant or lactating women - History (within 5 years of Study Day 1) or current, active malignancy requiring or likely to require chemotherapeutic or surgical treatment during the study, except for non-melanoma skin cancer - Transfusion with blood, blood products, plasmapheresis, or use of any other rescue medications with the intent to increase platelet count within 14 days before Study Day 1	
--	--	--	--

		- Change in CS and/or TRO-RA dose within 14 days prior to Study Day 1 (more than 10% variation from current dose) - Immunosuppressant drugs other than CSs within 5 times the elimination half-life of the drug or 14 days of Study Day 1, whichever is longer - Treatment with rituximab or splenectomy within the 3 months prior to Study Day 1 - Patients treated with rituximab will have normal B-cell counts prior to enrollment - Has received any investigational drug within the 30 days before receiving the first dose of study medication, or at least 5 times elimination half-life of the drug (whichever is longer); patients should not be using an investigational device at the time of dosing - Patients who previously received treatment with Bruton's	
--	--	--	--

		Tyrosine Kinase (BTK) inhibitors (expect rilzabrutinib) within 30 days before the first dose of study drug are not eligible - Patients who previously received rilzabrutinib at any time are not eligible - History of solid organ transplant - Myelodysplastic syndrome - Live vaccine within 28 days prior to Study day 1 or plan to receive one during the study - Planned surgery in the time frame of the dosing period	
11.5 Intervensjon (n) <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Part A: N/A Part B: Orally administered rilzabrutinib 400 mg BID. 28-day screening period, 24 weeks of active treatment and 4 weeks of safety follow-up = a total duration of 32 weeks	Rilzabrutinib 400 mg BID for 24 weeks across the study periods	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11.6 Komparator (n)	N/A	Placebo	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
<i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>			
11.7 Endepunkter	Part A: N/A	N/A	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
<i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i>	Part B: Primary endpoints: Efficacy - Proportion of participants able to achieve platelet counts $\geq 50,000/\mu\text{L}$ on at least week 8 out of the last 12 weeks of the 24-week treatment period without the use of rescue medication after 10 weeks of active treatment (durable response) Safety: - The incidence, severity and relationship of TEAEs, including clinically significant changes in physical examination, laboratory tests, ECG, and vital signs - TEAEs in the post treatment follow-up period		

	and their possible relationship to prior rilzabrutinib treatment Secondary endpoints: Efficacy: - Number of weeks with platelet count $\geq 50,000$ OR $\geq 30,000/\mu\text{L}$ and doubling the basaeline in the absence of rescue therapy (platelet counts were censored for 4 weeks after the use of rescue medication, if given) - Proportion of all treated participants able to achieve 2 or more consecutive platelet counts, separated by at least 5 days of $\geq 50,000/\mu\text{L}$ AND an increase of platelet count of $\geq 20,000/\mu\text{L}$ from baseline without use of rescue medication on the 4 weeks prior to the latest elevated platelet count - Number of weeks with platelet counts $\geq 30,000/\mu\text{L}$ and doubling fom baseline over the		
--	--	--	--

	24-week treatment period (platelet counts were censored for 4 weeks after the use of rescue medication, if given) - Proportion of participants receiving rescue medication - Change from baseline in IBLs		
11.8 Relevante subgruppeanalyser <i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i>	N/A	N/A	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.9 Oppfølgingstid <i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i>	N/R	N/R	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

11.10 Tidsperspektiv resultater <i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i>	Part A: Study start date: 22nd of March 2018 Study completion date: 04th of May 2021 Part B: Study start date: 22nd of March 2018 Stuy completion date: 03rd of March 2023	Study start date: 14th of December 2020 Primary completion date: 15th of January 2025 Study completion date (estimated): 26th of August 2026	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.11 Publikasjoner <i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publisasjon</i>	Part A: Kuter DJ, Efraim M, Mayer J, Trnėnė M, McDonald V, Bird R, et al. Rilzabrutinib, an Oral BTK Inhibitor, in Immune Thrombocytopenia. New England Journal of Medicine. 2022 Kuter DJ, Mayer J, Efraim M, Bogdanov LH, Baker RI, Kaplan ZS, et al. Long-term treatment with rilzabrutinib in patients with immune thrombocytopenia. Blood Adv. 2024 Part B: Cooper N, Jansen AJG, Bird R, Mayer J, Sholzberg M, Tarantino MD, et al. Initial Report of Part B Phase 1/2 Efficacy and Safety Results for Bruton Tyrosine Kinase Inhibitor Rilzabrutinib in Patients with Replapsed Immune Thrombocytopenia. Blood. 2023	Kuter DJ, Ghanima W, Cooper N, Liebman HA, Zhang L, Hu Y, et al. Safety and efficacy of rilzabrutinib vs placebo in adults with immune thrombocytopenia: the phase 3 LUNA3 study. Blood. 2025 Lin J, Radhakrishnan J. What Are Baskets, Umbrellas, and Platforms Doing in Nephrology Clinical Trials? J Am Soc Nephrol. 2025 Kuter DJ, Bussel JB, Ghanima W, Cooper N, Gernsheimer T, Lambert MP, Liebman HA, Tarantino MD, Lee M, Guo H, Daak A. Rilzabrutinib versus placebo in adults and adolescents with persistent or chronic immune thrombocytopenia: LUNA 3 phase III study. Ther Adv Hematol. 2023	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

--	--	--	--

12 Igangsatte og planlagte studier

12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden? <i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i>	Ja ☒ Nei ☐ LUNA4 Study start date 21nd of July 2025 Study completion ate is 30nd of December 2028
12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?	Ja ☒ Nei ☐ https://clinicaltrials.gov/search?intr=Rilzabrutinib

13 Diagnostikk

13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør? <i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i>	Ja ☒ Nei ☐
13.2 Er testen etablert i klinisk praksis? <i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i>	Ja ☒ Nei ☐ Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag? Ja ☒ Nei ☐
13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

14 Andre relevante opplysninger

14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen? <i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i>	Ja ☒ Nei ☐ Professor MD Waleed Ghanima, Head of Research and Consultant Haematologist, Østfold Hospital Norway and Professor in the Institute of Clinical Medicine at the University of Oslo, Norway.
--	---

<i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fagekspert i Nye metoder)</i>	Professor Waleed has supported as chair in ITP AdBs and will support in 2026 with disseminate of LUNA3 data at national/local heamatology congress.
14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene? <i>Hvis ja, begrunn kort.</i> <i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i> <i>Nærmere informasjon og skjema:</i> Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF	Ja ☐ Nei ☒ Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
14.3 Andre relevante opplysninger?	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no