

Hvordan få tilgang til legemidler uten vedtak i Beslutningsforum

Odd Terje Brustugun

Avdelingsoverlege, Drammen sykehus, Vestre Viken HF

Professor dr med, Inst for klinisk medisin, Med fak, Uio







Tidsskriftet
DEN NORSKE LEGEFORENING

ARTIKLER

FAGOMRÅDER

UTGAVER

FORFATTERVEILEDNING

LEGEJOBBER

SØK 

Slik kan man få tilgang til legemidler uten vedtak i Beslutningsforum

KRONIKK | [HJERTESYKDOMMER](#) / [INDREMEDISIN](#) / [NEVROLOGI](#) / [ONKOLOGI](#)

ARTIKKEL

Odd Terje Brustugun Om forfatteren

Publisert: 27. januar 2022
Utgave 2, 1. februar 2022

[Nyheter](#)[Retningslinjer](#)[Studier](#)[Publikasjoner](#)[Aktiviteter og referater](#)[Lenker](#)[Om NLCG](#)

Norsk lungekreftgruppe

Lungekreftpreparater uten positivt Beslutningsforumvedtak

Vi har laget en **skjematisk oversikt** over muligheter for å ta i bruk medikamenter som ikke har fått godkjenning i Beslutningsforum. I figuren er det mulig å klikke på enkeltelementer for å få mer detaljer.

Se også retningslinje for bruk av medikamenter som ikke har markedsføringstillatelse, inkludert oppdater liste over disse, samt liste over medikamenter som er tilgjengelige via "compassionate use program" på [Nye metoders nettside](#).

Medikamenter som er aktuelle for "compassionate use" pr sept 2022 er:

Mobocertinib, for pasienter med EGFR-mutasjoner av type insersjon i ekson 20 (hvor standard EGFR-hemmer ikke er indisert), i 2. eller senere linjer. Firma: Takeda

Listen under viser relevante EMA-godkjente medikamenter for lungekreft som av Beslutningsforum er besluttet ikke innført, kun delvis innført, eller ikke ferdig vurdert pr september 2022

Preparater som er «til vurdering» i Nye Metoder kan være aktuelle for unntakssøknad jmftr <https://nyemetoder.no/om-systemet/unntaksordning>

Alektinib: Medikamentet er EMA-godkjent for ALK-translokert lungekreft i førstelinje eller etter progresjon på crizotinib. Beslutningsforum har besluttet at dette kan innføres i det offentlige helsevesen i førstelinje, men det er **til vurdering** om dette kan innføres for pasienter som tidligere er behandlet med crizotinib.

Amivantamab: Medikamentet er EMA-godkjent som monoterapi for behandling av voksne med fremskreden ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) med aktiverende epidermal vekstfaktorreseptor (EGFR) ekson 20-innsettsingsmutasjoner, etter at platinabasert behandling har mislyktes. Det er **til vurdering** om dette kan innføres i det offentlige helsevesen.

Dabrafenib/trametinib: Kombinasjonen er EMA-godkjent for BRAF-mutert lungekreft uavhengig av behandlingslinje. Beslutningsforum har besluttet at dette **ikke skal innføres** i det offentlige helsevesen til pasienter med sykdomsprogresjon etter cellegift og det er **til vurdering** om kombinasjonen kan innføres i førstelinje.

Durvalumab: Medikamentet er EMA-godkjent som monoterapi til behandling av lokalavansert, inoperabel, ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) hos voksne hvor tumor uttrykker PD-L1 på $\geq 1\%$ av tumorcellene, og med sykdom som ikke har progrediert etter platinabasert kjemoradiasjon. Beslutningsforum har besluttet at dette kan innføres i det offentlige helsevesen.

Medikamentet i kombinasjon med cisplatin/karboplatin og etoposid er EMA-godkjent for førstelinjebehandling av lungekreft av småcellet type, utbredt sykdom uavhengig av PD-L1-status. Det er **til vurdering** om denne kombinasjonen kan innføres.

Ipilimumab: Medikamentet i kombinasjon med nivolumab og 2 sykler kjemoterapi er EMA-godkjent for førstelinjebehandling av lungekreft av ikke-småcellet type som ikke har påvist EGFR-/ALK-mutasjoner, uavhengig av PD-L1-status. Det er **til vurdering** om denne kombinasjonen kan innføres.

Ipilimumab/nivolumab: Kombinasjonen er EMA-godkjent som førstelinjebehandling av ikke-resektarbar malignt pleuralt mesoteliom hos voksne. Det er **til vurdering** om denne kombinasjonen kan innføre i det offentlige helsevesen.

Larotrectinib: Medikamentet er EMA-godkjent for NTRK-translokert kreft (inkludert lungekreft) hvor det ikke er annen tilfredsstillende behandling. Det er **til vurdering** om dette kan innføres i det offentlige helsevesen.

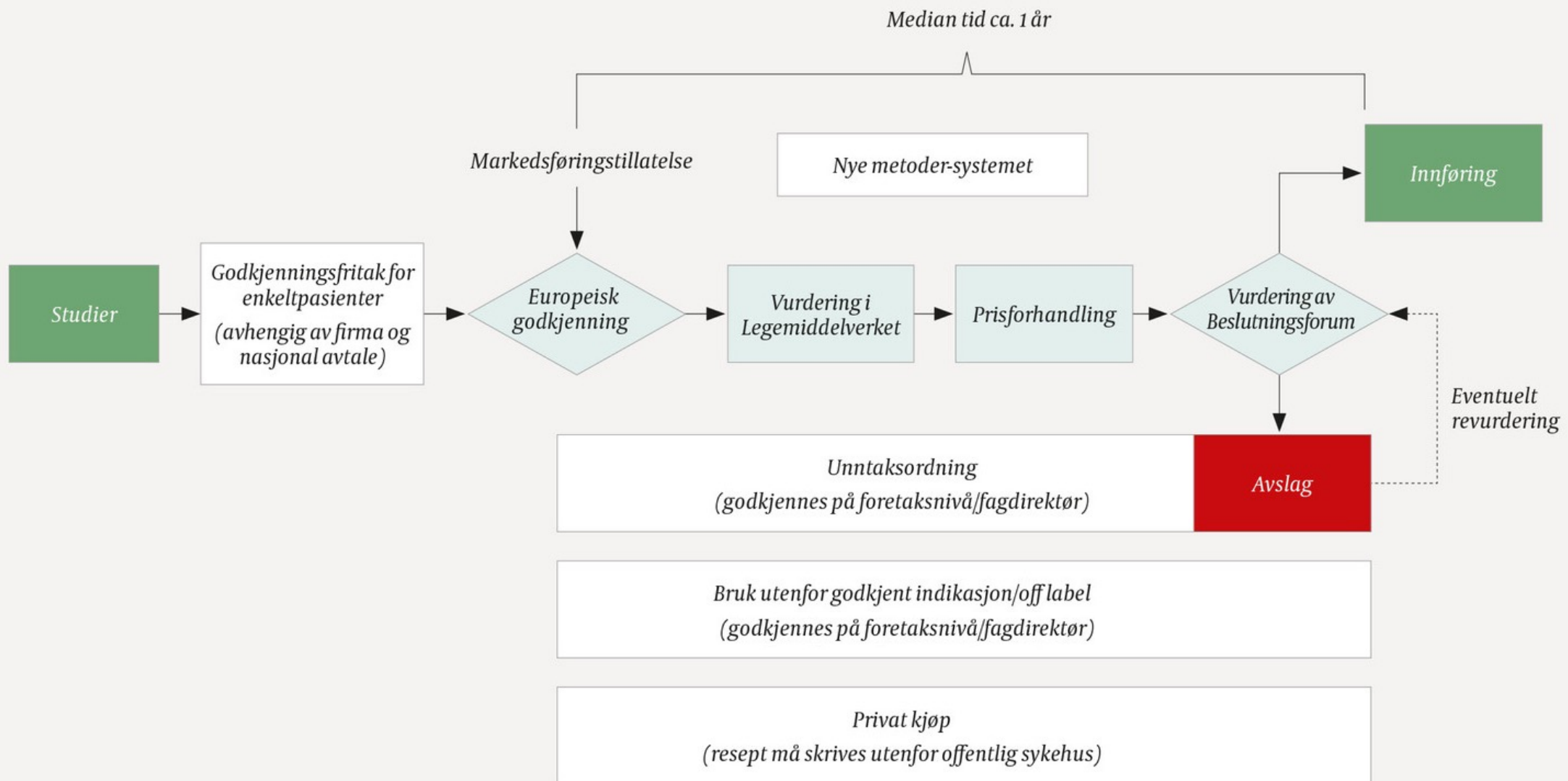
Pralsetinib: Medikamentet er EMA-godkjent som monoterapi til behandling av voksne med avansert RET («rearranged during transfection»)-fusjonspositiv ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) som ikke tidligere er behandlet med RET-hemmer. Det er **til vurdering** om dette kan innføres i det offentlige helsevesen.

Selperkatinib: Medikamentet er EMA-godkjent for RET-translokert lungekreft etter tidligere immunterapi og/eller platinabasert kjemoterapi. Det er **besluttet** at dette ikke innføres i det offentlige helsevesen.

Sotorasib: Medikamentet er EMA-godkjent som monoterapi i behandling av voksne med avansert ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) med KRAS G12C-mutasjon og progresjon etter minst 1 tidligere linje med systemisk behandling. Det er **til vurdering** om dette kan innføres i det offentlige helsevesen.

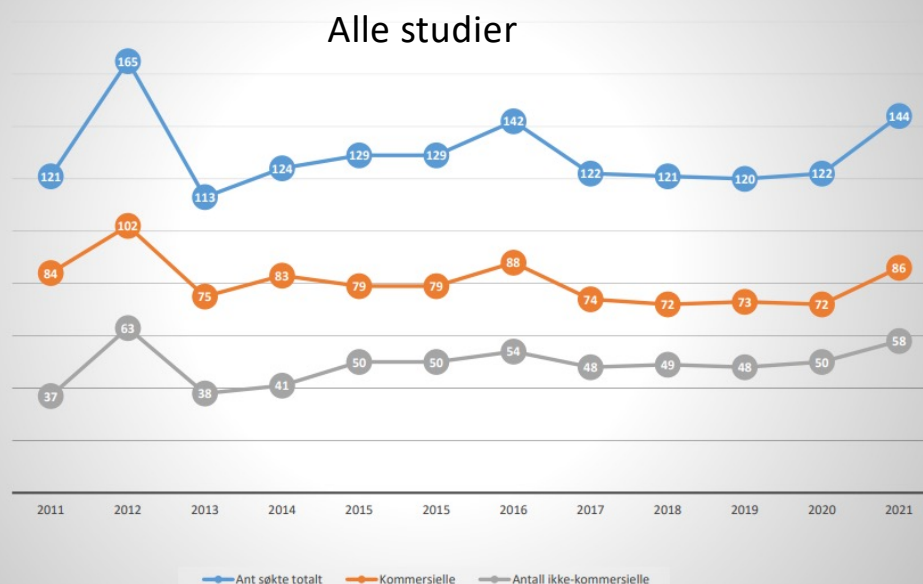
Tepotinib: Medikamentet er EMA-godkjent som monoterapi til behandling av voksne med avansert ikke-småcellet lungekreft (NSCLC) med mutasjoner som fører til «mesenchymal-epithelial transition factor gene exon 14 (METex14) skipping», som trenger systemisk behandling etter tidligere behandling med immunterapi og/eller platinabasert kjemoterapi. Det er **til vurdering** om dette kan innføres i det offentlige helsevesen.

P.t. 11 medikamenter
vi gjerne skulle hatt

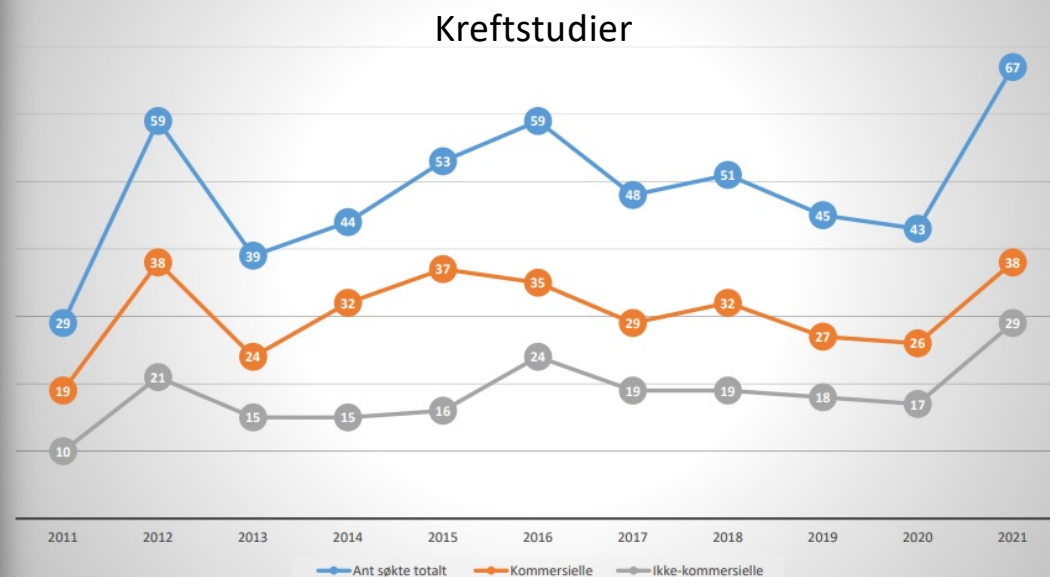


1. mulighed: kliniske studier

Antall søkte studier - fordelt på kommersielle / ikke-kommersielle



Kreftstudier fordelt på kommersielle / ikke-kommersielle



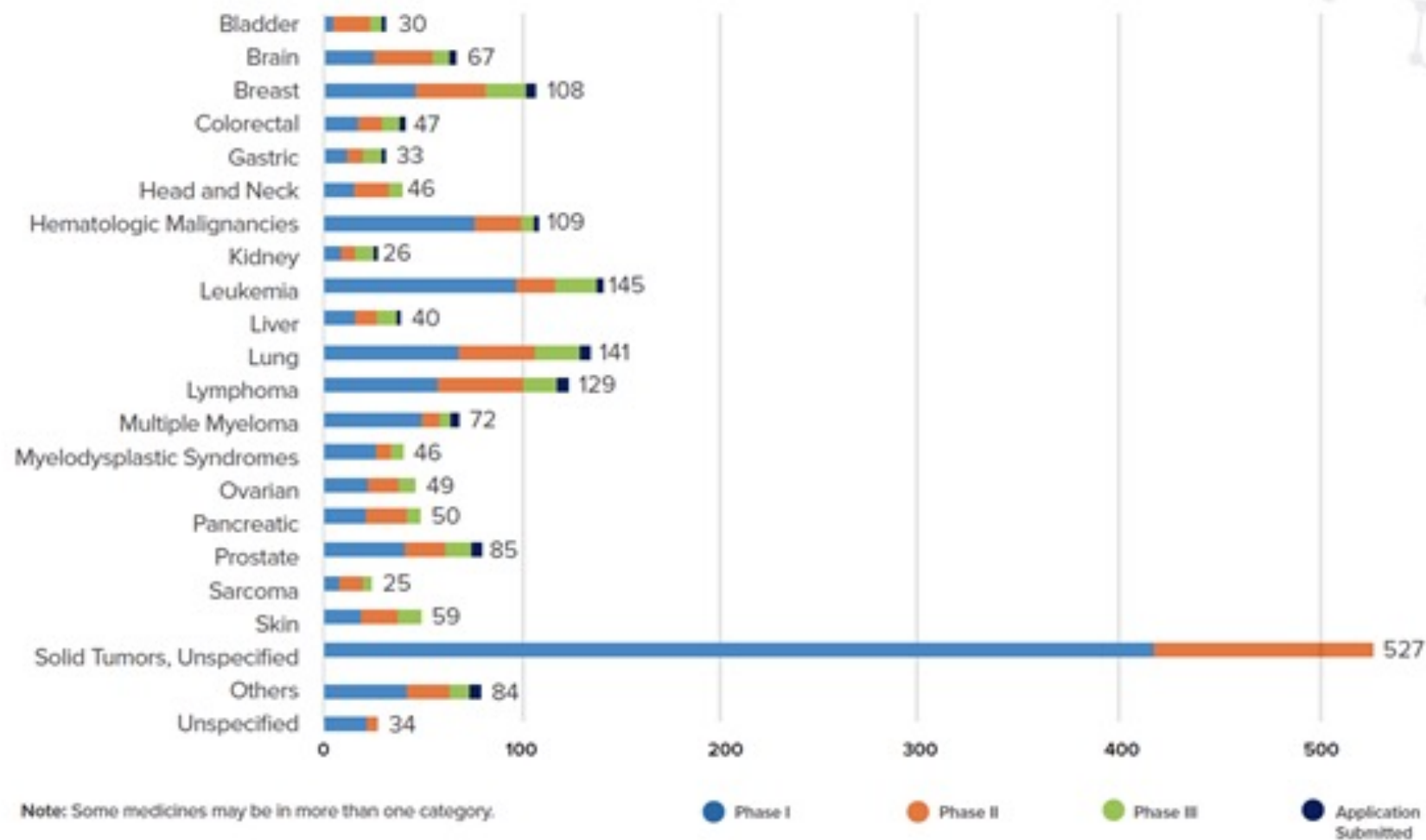
Nedslående trend for kliniske studier

Til tross for en økning i antallet søknader om kliniske studier nasjonalt i 2021, viser tallene halvveis ut i 2022 en nedgang mot fjoråret. – Det kan bli svært utfordrende å nå målene i handlingsplanen, sier Siri Kolle i Inven2.

Lars Brock Nilsen & Michael Chr. A. Simonsen redaksjonen@dagensmedisin.no

Publisert: 2022-08-26 — 06.00

Medicines and Vaccines in Development for Cancer by Type





[Nye Metoder](#) < [Om systemet](#) <

Retningslinje for bruk av nye legemidler før markedsføringstillatelse (MT)

For legemidler uten markedsføringstillatelse (MT), som er oppført på nasjonal liste skal det inngås en nasjonal standardavtale før behandlingsstart.

RHF-ene har ansvar for listen som oppdateres ca. en gang per måned: [Siste versjon av listen \(09.11.2021\)](#) (link).

[Oversikt over inngåtte avtaler mellom legemiddelleverandør og RHF \(11.11.2021\)](#) (link).

Nye vilkår for legemidler med kort forventet behandlingsvarighet ble godkjent av Beslutningsforum 21. juni 2021.

Det foreligger derfor to standardavtaler:

- en ny for standardavtale legemidler med kort forventet behandlingsvarighet (normalt inntil 6 mnd.), og
- eksisterende standardavtale for legemidler som ikke er aktuelle for ny standardavtale med kort forventet behandlingsvarighet.

Tillegg til Retningslinjer for bruk av nye legemidler før markedsføringstillatelse. Vilkår for legemidler med kort forventet behandlingsvarighet

Inledning

Dette er et tillegg til Retningslinjer for bruk av nye legemidler før markedsføringstillatelse innført i 2018. Det stilles fortsatt krav om at det for nye legemidler uten markedsføringstillatelse, og som er oppført på nasjonal liste (se nyemetoder.no), skal inngås en standardavtale for behandlingsstart. Det nye er at det innføres to standardavtaler for henholdsvis compassionate use legemidler til kortvarig og langvarig bruk. Her beskrives vilkårene som gjelder for kortvarig bruk. Med kortvarig forstås i utgangspunktet legemidler med en forventet gjennomsnittlig behandlingsvarighet på inntil 6 måneder.

Helseforetakene skal ha en egen prosedyre for bruk av legemidler uten markedsføringstillatelse på nasjonal liste.

Avgrensning

Retningslinjer for bruk av nye legemidler før markedsføringstillatelse omfatter ikke bruk i godkjente kliniske studier eller videreføring av behandling startet som en del av kliniske studier. Retningslinjene omfatter ikke bruk av legemidler på godkjenningfritak, som ikke er oppført på nasjonal liste (se nyemetoder.no) eller uregistrerte legemidler pga. leveringssvikt.

Krav for bruk av legemidler uten markedsføringstillatelse oppført på nasjonal liste

Det skal foreligge en godkjent standardavtale mellom helseforetakene og produsent av det aktuelle legemiddelet. For at slik avtale kan inngås skal følgende krav være oppfylt:

- Bruken av legemiddelet skal være godkjent av Legemiddelverket som *compassionate use programme*.
- Søknad til Legemiddelverket om forskrivning på godkjenningfritak til enkeltpasient eller til bruk ved institusjon. Behandlende lege må sende søknad til firma for hver enkeltpasient.

Eller

For all bruk av nye legemidler før markedsføringstillatelse opført på nasjonal liste gjelder:

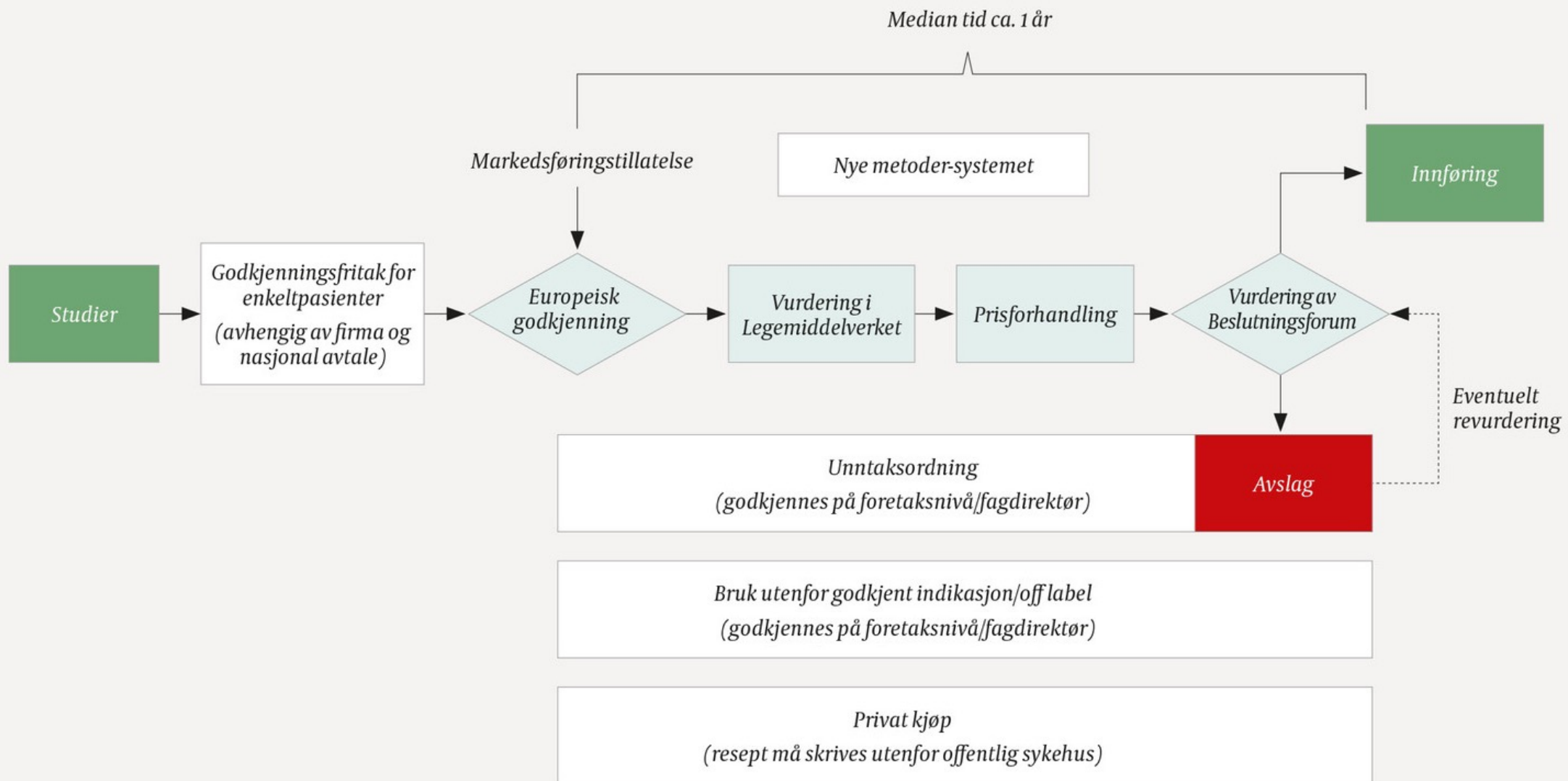
- Det må foreligge en godkjent standardavtale mellom helseforetakene og produsent av det aktuelle legemiddelet.
- Det er ikke anledning til å endre i vilkårene i standardavtalen med mindre det foreligger en beslutning fra nasjonalt fagdirektør møte.
- For *compassionate use programmer*(CUP) skal produsenten sende søknad til Legemiddelverket, som orienterer LIS. LIS forestår inngåelse av en nasjonal standardavtale på vegne av de regionale

Tillegg til Retningslinjer for bruk av nye legemidler før markedsføringstillatelse. Vilkår for legemidler med kort forventet behandlingsvarighet

helseforetakene.

Vilkår i standardavtale for legemidler med kortvarig forventet behandlingstid:

- Prisen for legemiddelet settes lik null så lenge pasienten er i behandling med ikke-kommersielle pakninger. Ikke-kommersielle pakninger, uten kostnad, skal leveres minimum 6 måneder etter MT-tidspunkt.
 - Ved overgang til kommersielle pakninger betales 10 % av fastsatt maksimalpris(AIP), begrenset til maksimalt 100 000 NOK(AIP) pr. år per pas. Dette vil gjelde fra overgang til kommersielle pakninger minimum 6 måneder etter MT-tidspunkt, og så lenge pasienten er i behandling. Dersom legemiddelet besluttes innført gjelder den pris som ligger til grunn for beslutning fra det tidspunktet det kan leveres til avtalepris.
- Helseforetaket dekker normale utgifter knyttet til ekspedisjon, tilvirkning mv. i sykehusapotekene (både for kommersielle og ikke-kommersielle pakninger).
 - Alle andre utgifter til ikke-kommersielle pakninger og leveringsomkostninger for andre ledd i forsyningskjeden (grossist, ev. privat apotek) skal dekkes av produsent, inkludert transportkostnader, og ev. myndighetsbestemte avgifter.
 - Dersom sykehusapotek forestår import av legemiddelet skal utgifter til dette dekkes av produsent/leverandør.
 - Ved overgang til kommersielle pakninger dekker helseforetakene utgifter til distribusjon gjennom avtalegrossist.
- Legemidlet må distribueres via vanlige salgskanaler, dvs. gjennom godkjente legemiddelgrossister og apotek. Det skal inngås avtale med det enkelte sykehusapotek om ansvar, oppgaver og rutiner for anskaffelse, utlevering og fakturering av avtalte aktiviteter, før oppstart av pasientbehandling.
- Tilbudet om legemiddelet skal gjelde for alle pasienter som oppfyller kriteriene i den avtalte perioden eller frem til det innvilges markedsføringstillatelse, og kan ikke begrenses av produsent til et bestemt antall pasienter. Avtaleperioden skal ikke være kortere enn 3 måneder.
- Hvis et legemiddel tilbys iht. denne standardavtalen, skal vilkårene gjelde i hele behandlingsforløpet for de aktuelle pasientene frem til beslutning om innføring er tatt av Beslutningsforum.
- Dersom legemidlet besluttes ikke-innført, gjelder avtalen så lenge pasienten trenger behandlingen



Etter MT, før BF

NYE METODER

Alt innhold

Søk i alt innhold

[Nye Metoder](#) < [Om systemet](#) <

Unntaksordning

Metoder som er til vurdering skal, som hovedregel ikke tas i bruk i norske sykehus. De regionale fagdirektørene beskriver her prosedyren for unntak fra bestemmelsen.

Prosedyre ved unntak for enkeltpasienter

Unntak skal håndteres i det helseforetak som har behandlingsansvaret for pasienten. Helseforetaket har ikke anledning til å gjøre unntak på gruppenivå. Et unntak på gruppenivå skjer etter annen prosedyre (se nedenfor).

1. Ved individuelle søknader etter unntaksregelen er det en forutsetning at det finnes markedsføringstillatelse i Norge for aktuell indikasjon.
2. Etablert behandling skal være kontraindisert, eller forsøkt og ikke tolerert på grunn av bivirkninger.
3. Det er grunn til å tro med bakgrunn i forelagt dokumentasjon, at effekt av behandling vil være vesentlig større enn for gruppen som helhet.

Gruppe-unntak

- Med MT

HELSE  MIDT-NORGE

HELSE  NORD

HELSE  SØR-ØST

HELSE  VEST

Nye Metoder
PB 404
2303 Hamar

Deres ref.: Vår ref.: Saksbehandler/dir.tlf.: Sted/Dato:
Randi Spørck Bodø, 18 September

Søknad om gruppeunntak for bruk av PD-1 hemmer ved MSI metastatisk tykk- og endetarmskreft

Sak 121-2019

Beslutning
Det vises til søknad 11.6.2019 om unntak på gruppenivå for bruk av PD-1 hemmer ved MSI metastatisk tykk- og endetarmskreft. Tidligere trukket metode ID 2017-022 meldes inn til Nye Metoder.
Fagdirektørene i de regionale helseforetakene har vurdert søknaden og besluttet 13.9.2019 at PD-1 hemmer ved MSI metastatisk tykk- og endetarmskreft kan brukes for den nevnte indikasjonen inntil saken er behandlet i Beslutningsforum. Fagmiljøet anbefaler at det etableres et register for å skaffe nasjonale data for behandling og effekt, fortrinnsvis i samarbeid med Nasjonalt register for tykk- og endetarmskreft og Kreftregisteret. Fagdirektørene ber om at pasienter som får denne behandlingen blir registrert i register.
Denne informasjonen går til alle RHF, som bes informere relevante parter.

Vennlig hilsen

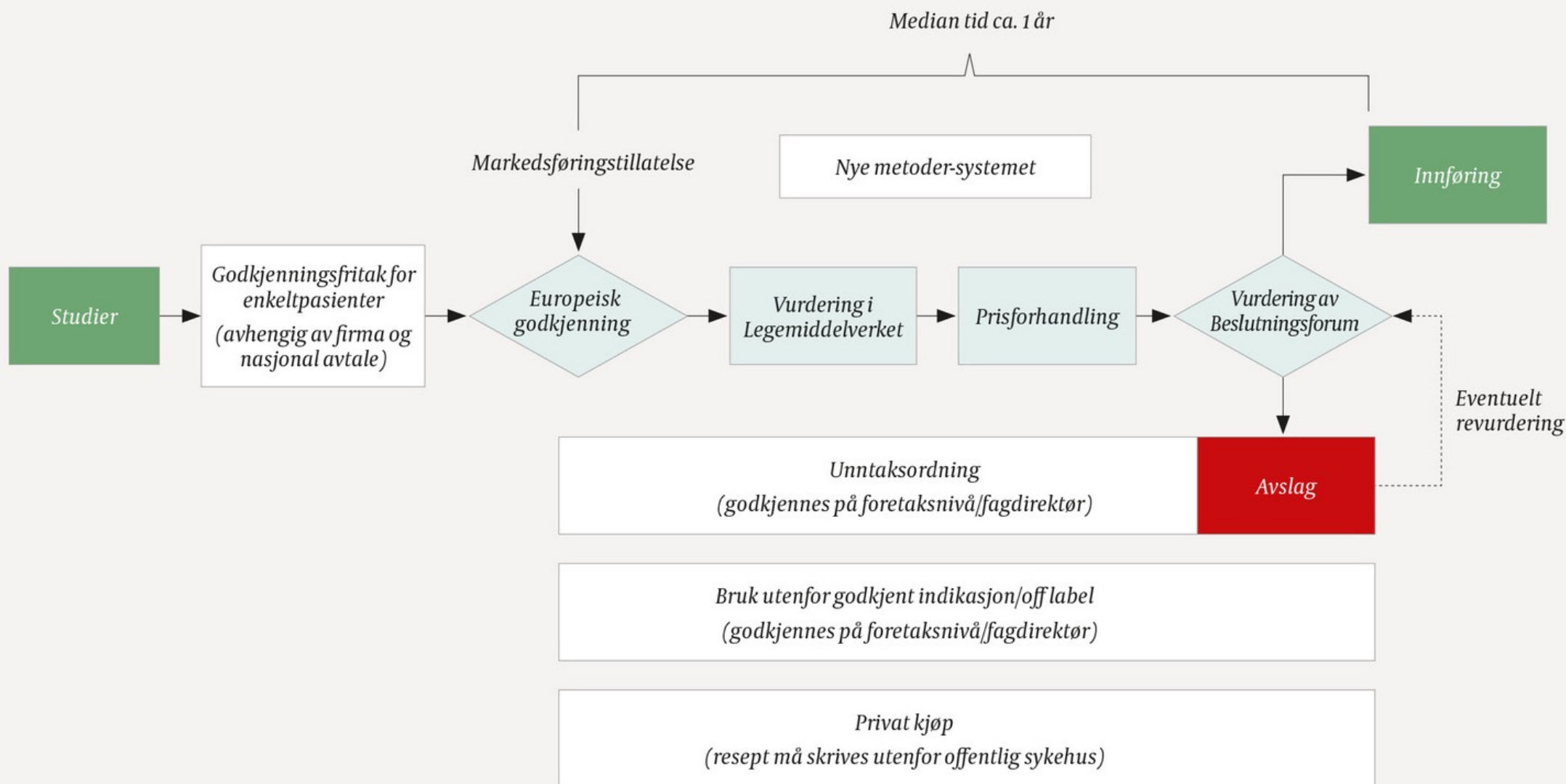
Leder interregionalt fagdirektørmøte

Geir Tollåli
Fagdirektør
Helse Nord RHF

Kopi
De regionale helseforetakene

Praktisk fremgangsmåte

1. Avdeling/enhet diskuterer saken med fagdirektør/fagsjef i det aktuelle helseforetak.
2. Beslutning om unntak for den aktuelle pasient gjøres av fagdirektør/fagsjef.
3. Kopi av beslutningen uten personidentifiserbare opplysninger sendes det regionale helseforetaket ved fagdirektør.



Antall dager fra markedsføringstillatelse (MT) i Norge til beslutning i Beslutningsforum for nye metoder

Gjennomsnitt	375
Størst	790
Minst	32
Antall (N)	40
Median	321

Reell saksbehandlingstid hos SLV (utreder, metodevurdering)

Gjennomsnitt	197
Størst	721
Minst	44
Antall (N)	39
Median	178

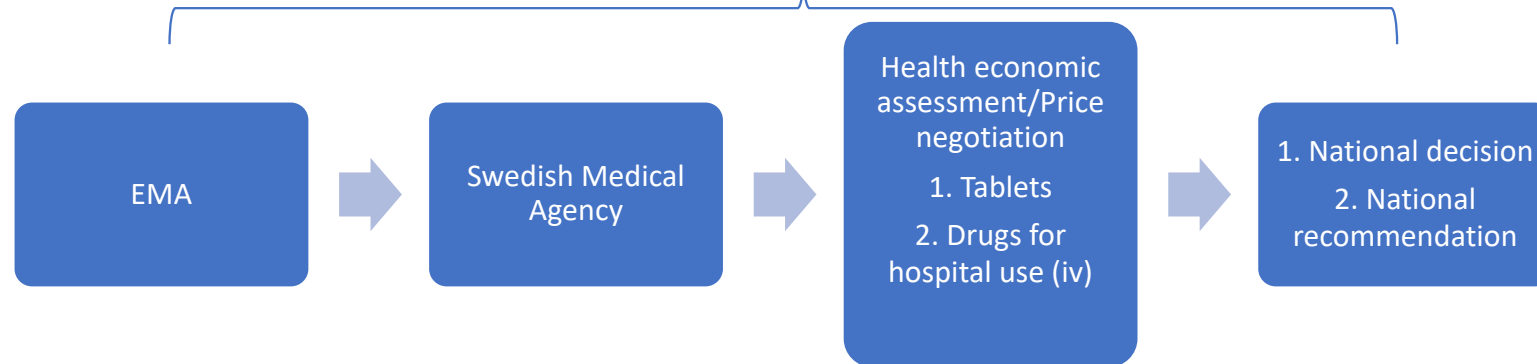
Hvordan er det i utlandet?

Slides fra dr Andreas Hallqvist,
presentert under Nordic Lung Cancer Symposium, aug 2022

Sweden



≈ 2-3 weeks (“**me too**”)-3-12 months



Use before EMA:
Early access programs
Compassionate use
programs/Named
patient

Use during national
process:
No formal process
Exceptions at each
clinic possible

Based on QALY
ICER < 1 000 000 SEK

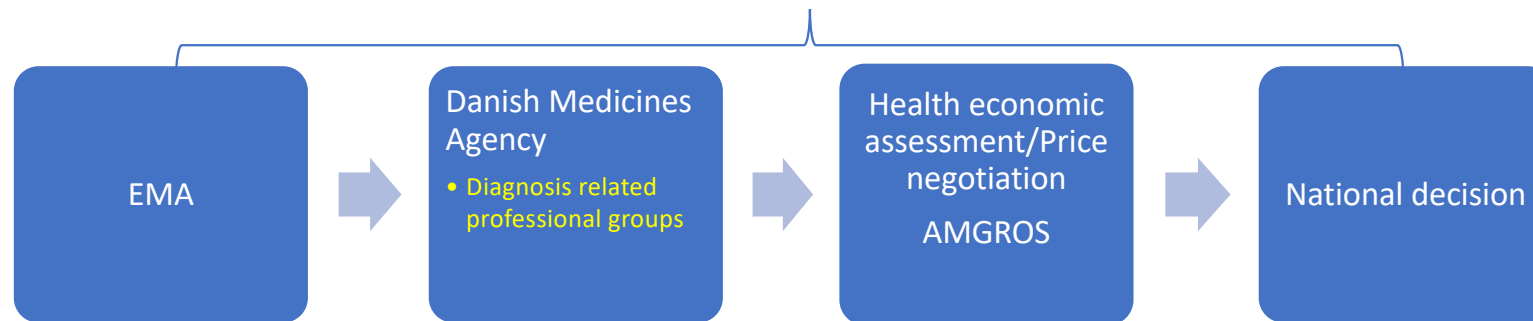
Funding:
1. State allowance
2. Regional

If “no” – individual **exceptions** (clinic
decision)



Denmark

≈6-10 months (aim 3 months)



Use before EMA:
Early access programs
Compassionate use
programs/Named
patient

Use during national
process: Not common,
but possible to apply to
regional board

Based on QALY, threshold ?

Funding:

State allowances: Yearly negotiations
state and the five regions

If “no” – no exceptions

Konklusjoner

- Start prosessen tidlig (horizon scanning)
- Forenklede prosedyrer for “me-too”-preparat
- Internasjonalt samarbeid
- Involvering av fagmiljø
- Opplæring av evalueringsmiljø i persontilpasset medisin