Foreløbig ansøgning til Medicinrådet om vurdering af <lægemiddel> til <indikation>

*Den foreløbige ansøgning tilkendegiver, at ansøger ønsker, at lægemidlet vurderes af Medicinrådet. Medicinrådets sekretariat og fagudvalget anvender den foreløbige ansøgning til at orientere sig om den forventede tidslinje for EMA-godkendelse og endelig ansøgning til Medicinrådet samt hvilke studiedata, der vil være tilgængelige til brug for vurderingen af den kliniske værdi af et nyt lægemiddel/en indikationsudvidelse. Derudover giver den foreløbige ansøgning sekretariatet nogle indledende oplysninger ift. den forventede sundhedsøkonomiske ansøgning, hvilket kan lette valideringsprocessen. Ansøger bør undlade at beskrive studieresultater i den kliniske del af den foreløbige ansøgning.*

|  |  |
| --- | --- |
| Kontaktoplysninger |  |
| Navn | *f.eks. Anders Andersen* |
| Titel | *f.eks. medical director* |
| Ansvarsområde | *f.eks. clinical/medical, sundhedsøkonomi eller forhandling* |
| Telefonnummer |  |
| E-mail |  |
| Navn | *f.eks. Anders Andersen* |
| Titel | *f.eks. medical director* |
| Ansvarsområde | *f.eks. clinical/medical, sundhedsøkonomi eller forhandling* |
| Telefonnummer |  |
| E-mail |  |

|  |  |
| --- | --- |
| Lægemiddelinformationer | |
| Handelsnavn |  |
| Generisk navn (lægemiddelstof(fer) |  |
| Indehaver af markedsføringstilladelse i Danmark |  |
| ATC-kode |  |
| Administrationsform | *F.eks. tablet, depottablet, subkutan injektion* |
| Virkningsmekanisme |  |
| Godkendt (anbefalet) dosering |  |
| Forventet (eller godkendt) indikation |  |
| Andre godkendte indikationer for lægemidlet |  |
| Kombinationsbehandling og/eller komedicinering |  |
| Orphan drug-status hos EMA | *Angiv om EMA har tildelt lægemidlet orphan drug-status* |
| Vurderes lægemidlet i en accelereret proces hos EMA? | *Angiv om godkendelsesproceduren foregår via accelereret proces hos EMA* |

|  |
| --- |
| Sygdommen og behandling i Danmark |
| *Beskriv kort sygdommens patofysiologi samt kliniske præsentation/symptombillede, inkl. referencer.*  *Beskriv prognosen med nuværende behandlingsmuligheder (eller observation hvis der endnu ikke er behandlingstilbud), inkl. referencer.*  *Beskriv den nuværende standardbehandling i Danmark, inkl. referencer.*  *Specificér den danske patientgruppe som forventes at være kandidater til behandlingen, herunder antal (incidens, prævalens) og eventuelt subgrupper/særlige mutationer osv., inkl. referencer*  *Hvis det nye lægemiddel doseres ift. legemsvægt eller overfladeareal, angiv da gennemsnitlig legemsvægt eller overfladeareal for den pågældende patientgruppe inkl. reference.* |

|  |
| --- |
| Det nye lægemiddel |
| *Beskriv kort det nye lægemiddel virkningsmekanisme, formulering, dosis etc.*  *Beskriv evt. hvor lægemidlet forventes indplaceret ift. nuværende behandling.*  *Angiv om behandling med lægemidlet forudsætter komedicinering.* |

# Information om relevante kliniske studier

*[Udfyld venligst nedenstående tabel for alle kliniske studier, som er udført for lægemidlet i populationen, svarende til den ansøgte indikation (én tabel pr. klinisk studie)]*

|  |  |
| --- | --- |
| Studiekarakteristika | |
| Studienavn | *<Navn på studiet>* |
| NCT-nummer | *<NCT-nummer>* |
| Formål | *Angiv studiets overordnede formål* |
| Publikationer – titel, forfatter, tidsskrift, årstal | *Angiv alle publikationer af studier udført i den relevante population*  *Hvis studiet endnu ikke er publiceret, angives forventet tidspunkt for publikation* |
| Studietype og -design | *Angiv fase og beskriv studiedesign, herunder*   * *randomisering* * *evt. crossover* * *status (igangværende eller afsluttet)* |
| Opfølgningstid | *Angiv opfølgningstiden. Hvis studiet ikke er afsluttet, angives opfølgningstiden for de data, som forventes at være tilgængelige for vurderingen hos Medicinrådet samt den forventede/planlagte samlede opfølgningstid for studiet* |
| Population (in- og eksklusionskriterier) | *Angiv in- og eksklusionskriterier for studiet (evt. fra clinicaltrials.gov)* |
| Intervention | *Angiv intervention(er) inklusive dosis og doseringsinterval samt antal patienter* |
| Komparator | *Angiv komparator(er) inklusive dosis og doseringsinterval samt antal patienter* |
| Primære og sekundære endepunkter | *Angiv de primære og sekundære endepunkter i studiet, inklusiv*   * *Definition* * *Målemetode* * *Evt. tidspunkt for måling* |
| Subgruppeanalyser | *Hvis der er udført subgruppeanalyser, angiv venligst*  *analysemetode*  *præspecificeret/planlagt eller post hoc-analyse?* |

# Forslag til kliniske spørgsmål

*[Angiv forslag til klinisk(e) spørgsmål som bør danne grundlag for vurderingen af lægemidlet i nedenstående tabel (én tabel pr. foreslået klinisk spørgsmål)]*

|  |  |
| --- | --- |
| Klinisk spørgsmål X | |
| *Angiv forslag til formulering af klinisk spørgsmål* | |
| Population | *Angiv patientpopulationen som lægemidlet ønskes vurderet til* |
| Intervention | *Angiv intervention (inkl. dosis og doseringsinterval) for den gældende patientgruppe?* |
| Komparator | *Angiv forslag til komparator (inkl. dosis og doseringsinterval) samt begrundelse for denne* |
| Effektmål | *Angiv forslag til effektmål*  *For hver effektmål, angiv gerne*   * *definition samt målemetode* * *rationale for effektmålets kliniske relevans* * *hændelsesrate blandt danske patienter med eksisterende standardbehandling (komparator), f.eks. med nuværende dansk standardbehandling er 20 % af patienterne døde efter 5 år, eller 10 % ophører med nuværende standardbehandling pga. behandlingssvigt/bivirkninger.* * *forslag til mindste klinisk relevante forskelle samt rationale herfor (inkl. referencer)*   *OBS: Ved foreslåede surrogatmål, angiv om surrogatmålet er valideret (i den specifikke patientgruppe eller anden patientgruppe), dvs. om der er påvist en korrelation mellem surrogatmålet og det direkte effektmål (inkl. referencer)* |

# Forventninger til den sundhedsøkonomiske analyse og budgetkonsekvenserne

*[Udfyld venligst nedenstående tabel for den sundhedsøkonomiske analyse, som I forventer at indsende.]*

|  |  |
| --- | --- |
| Basisantagelser | |
| Udvikling af model | *Angiv om der udarbejdes en ny model eller om der tages udgangspunkt i en global model. Angiv desuden hvorvidt den sundhedsøkonomiske analyse udarbejdes internt eller ved hjælp af ekstern konsulent.* |
| Modeltype | *Angiv modeltypen* |
| Tidshorisont | *Angiv tidshorisonten* |
| Inkluderede omkostninger | *Angiv de inkluderede omkostninger.*  *Fx:*   * *Lægemiddelomkostninger* * *Hospitalsomkostninger* * *Kommunale omkostninger* * *Bivirkningsomkostninger* * *Patientomkostninger* |
| Inkluderede behandlingslinjer | *Angiv de inkluderede behandlingslinjer* |
| Overlevelse og andre effektmål | *Angiv effektestimater for overlevelse eller andre effektmål, og angiv gerne de studier, der er anvendt.*  *OBS: Hvis det/de kliniske spørgsmål kræver en indirekte analyse, eller anden form for sammenligning end head-to-head, angiv da metoden for hvordan effektestimater vedr. overlevelse eller andre effektmål vil blive beregnet.* |
| Metode til fremskrivning af forløbsdata | *Angiv hvilken metode der er anvendt til at fremskrive relevant effektdata (fx PFS, OS og TTOT).* |
| Inkludering af spild | *Angiv om lægemiddelspild er inkluderet* |
| Følsomhedsanalyser | *Angiv hvilke parametre der forventes at være usikre og som skal præsenteres i en følsomhedsanalyse.* |
| Andre væsentlige antagelser | *OBS: Tabellen skal ikke ses som et udtømmende eksempel på, hvilke basisantagelser, der skal fremgå. Angiv derfor andre væsentlige antagelser for den sundhedsøkonomiske analyse.* |

|  |  |
| --- | --- |
| Forventet tidslinje for lægemidlets godkendelse (endelig ansøgning) | |
| Positive opinion | *Angiv forventet dato for positive opinion hos EMA* |
| EC-beslutning (dato for markedsføringstilladelse) | *Angiv forventet dato for Europa-Kommissionens beslutning om markedsføringstilladelse* |
| Tidspunkt for tilgængelig EPAR | *Angiv hvornår EPAR’en forventes at være tilgængelig for Medicinrådet (kan foreløbigt udkast deles med Medicinrådet inden offentliggørelse hos EMA?)* |
| Endelig ansøgning til Medicinrådet | *Angiv forventet dato for endelig ansøgning til Medicinrådet* |

|  |
| --- |
| Andre relevante oplysninger |
| *Hvis der er øvrige forhold, som Medicinrådets sekretariat og fagudvalget bør være opmærksomme på, angives disse her.* |