

# 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	<i>f.eks. Anders Andersen</i>
Titel	<i>f.eks. medical director</i>
Ansvarsområde	<i>f.eks. clinical/medical, sundhedsøkonomi eller forhandling</i>
Telefonnummer	
E-mail	
Navn	<i>f.eks. Anders Andersen</i>
Titel	<i>f.eks. medical director</i>
Ansvarsområde	<i>f.eks. clinical/medical, sundhedsøkonomi eller forhandling</i>
Telefonnummer	
E-mail	

Lægemiddelinformationer	
Handelsnavn	
Generisk navn (lægemiddelstof(fer))	
Indehaver af markedsføringstilladelse i Danmark	
ATC-kode	
Administrationsform	<i>F.eks. tablet, depottablet, subkutan injektion</i>

Virkningsmekanisme	
Godkendt (anbefalet) dosering	
Forventet (eller godkendt) indikation	
Andre godkendte indikationer for lægemidlet	
Kombinationsbehandling og/eller komedicinering	
Orphan drug-status hos EMA	<i>Angiv om EMA har tildelt lægemidlet orphan drug-status</i>
Vurderes lægemidlet i en accelereret proces hos EMA?	<i>Angiv om godkendelsesproceduren foregår via accelereret proces hos EMA</i>

## 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 <ul style="list-style-type: none"> <li>• randomisering</li> <li>• evt. crossover</li> <li>• status (igangværende eller afsluttet)</li> </ul>
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 <a href="http://clinicaltrials.gov">clinicaltrials.gov</a> )
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 <ul style="list-style-type: none"> <li>• Definition</li> <li>• Målemetode</li> <li>• Evt. tidspunkt for måling</li> </ul>
Subgruppeanalyser	Hvis der er udført subgruppeanalyser, angiv venligst analysemetode  præsificeret/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)]

<b>Klinisk spørgsmål X</b>	
<i>Angiv forslag til formulering af klinisk spørgsmål</i>	
<b>Population</b>	<i>Angiv patientpopulationen som lægemidlet ønskes vurderet til</i>
<b>Intervention</b>	<i>Angiv intervention (inkl. dosis og doseringsinterval) for den gældende patientgruppe?</i>
<b>Komparator</b>	<i>Angiv forslag til komparator (inkl. dosis og doseringsinterval) samt begrundelse for denne</i>
<b>Effektmål</b>	<p><i>Angiv forslag til effektmål</i></p> <p><i>For hver effektmål, angiv gerne</i></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• <i>definition samt målemetode</i></li> <li>• <i>rationale for effektmålets kliniske relevans</i></li> <li>• <i>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.</i></li> <li>• <i>forslag til mindste klinisk relevante forskelle samt rationale herfor (inkl. referencer)</i></li> </ul> <p><i>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)</i></p>

## Forventninger til den sundhedsøkonomiske analyse og budgetkonsekvenserne

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

<b>Basisantagelser</b>	
<b>Udvikling af model</b>	<i>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.</i>
<b>Modeltype</b>	<i>Angiv modeltypen</i>
<b>Tidshorisont</b>	<i>Angiv tidshorisonten</i>
<b>Inkluderede omkostninger</b>	<p><i>Angiv de inkluderede omkostninger.</i></p> <p><i>Fx:</i></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• <i>Lægemiddelomkostninger</i></li> </ul>

	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Hospitalsomkostninger</li> <li>• Kommunale omkostninger</li> <li>• Bivirkningsomkostninger</li> <li>• Patientomkostninger</li> </ul>
Inkluderede behandlingslinjer	Angiv de inkluderede behandlingslinjer
Overlevelse og andre effektmål	<p>Angiv effektestimater for overlevelse eller andre effektmål, og angiv gerne de studier, der er anvendt.</p> <p>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.</p>
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.