



Iptakopan vid paroxysmal nattlig hemoglobinuri

Tidig bedömningsrapport 2024-01-17

Läkemedlet	
Substans (läkemedel)	Iptakopan <i>alias</i> LNP023
Nyhetsbeskrivning	Ny verkningsmekanism och ny beredning
Klassificering	ATC-kod: L04AA
Företag	Novartis
Indikation, förväntad	Paroxysmal nattlig hemoglobinuri. Monoterapi.
Verkningsmekanism	Iptakopan är en peroral hämmare av komplementfaktor B, som genom att hämma den alternativa komplementvägen (alternative complement pathway) ska förhindra såväl intra- som extravaskulär hemolys vid PNH.
Dosering, förväntad	200 mg x 2
Administreringsätt	Kapsel per os
Regulatorisk information	Tidpunkt för ansökan EMA: 2023–05 Tidpunkt för förväntat godkännande: tidigast 2024–02 PRIME <input type="checkbox"/> Säriläkemedelsstatus EU <input checked="" type="checkbox"/> Accelererad process <input type="checkbox"/> Godkänt på andra marknader: Nej <input checked="" type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/>
Berörd vårdverksamhet	Hematologiska specialistkliniker
Försäljningsätt	Recept <input checked="" type="checkbox"/> Rekvisition <input type="checkbox"/> Smittskydd recept <input type="checkbox"/>
Resurspåverkan	
Läkemedelskostnad	Information om läkemedelskostnaden föreligger ej. Om man utgår ifrån att patienter som blir aktuella för behandling med iptakopan först ska ha behandlats med antikroppar mot komplementfaktor C5 skulle man kunna förvänta sig en liknande årskostnad. Aktuellt ligger årskostnaden för ekulizumab (Soliris) eller ravulizumab (Ultomiris) mellan 3,4 miljoner för Soliris och 4 miljoner för Ultomiris vid denna indikation. Under våren 2023 har två ekulizumabbiosimilarer fått marknadsförings-tillstånd inom EU [1, 2] och PNH-rådet utgår ifrån att dessa kommer att vara betydligt billigare än Soliris eller Ultomiris [3].
Behov av specifik diagnostik	Ja <input type="checkbox"/> Nej <input checked="" type="checkbox"/>
Annan påverkan	Det kan bli aktuellt att uppdatera de nationella riktlinjerna för behandling av PNH. Även iptakopan förväntas ingå i den nationella proceduren för behandling med komplementhämmare vid PNH, som innebär att varje patient där man överväger behandling med komplementhämmare bör diskuteras med Svenska PNH-gruppen [3].



Sjukdomen	
Förekomst	<p>Paroxysmal nattlig hemoglobinuri (PNH) orsakas av en förvärvad mutation i genen PIGA, som finns på X-kromosomen (Xp22.2) [4]. Uppskattningsvis insjuknar färre än en person per miljon invånare i PNH varje år. Det motsvarar upp till tio personer varje år i Sverige, varav tre till fyra personer med en svår form av sjukdomen. Ungefär 60 personer har PNH i Sverige [4].</p> <p>Enligt ordförande för den Svenska PNH-gruppen [5] har cirka 1/3 av patienter med C5-hämmarebehandling kvarstående anemi (Hb<105) sekundärt till extravasering. Emellertid är den andel som har transfusionsbehov trots C5-hämmarebehandling betydligt lägre, uppskattningsvis tio procent. I registreringsstudien för ekulizumab (2006) hade man nästan inga transfusioner alls i ekulizumab-armen.</p>
Sjukdomens svårighetsgrad	<p>Paroxysmal nattlig hemoglobinuri (PNH) är en blodsjukdom med varierande symtom och svårighetsgrad. De första symtomen kommer oftast i vuxen ålder. Symtomen kan vara återkommande perioder med blodbrist och kraftlöshet, blodproppar, nedsatt njurfunktion och lungfunktion. Risken för blodproppar är mycket ökad. Många med sjukdomen har buksmärter och en del har svårigheter att svälja. Hos män kan erektionsförmågan vara påverkad [4].</p> <p>Behandling med antikroppar mot C5, ekulizumab och ravulizumab, minskar behovet av blodtransfusioner och motverkar symtom som kraftlöshet och den ökade risken för blodproppar [4]. Pegcetakoplan (Aspaveli) är en C3-hämmare som ger en mer uttalad hemoglobin-ökning jämfört med C5-hämmarna [3].</p> <p>Enligt kohortstudier från tiden före introduktion av ekulizumab, som citeras av den Svenska PNH-gruppen [3], var femårsmortaliteten 35 procent och median-överlevnadstiden cirka tio år [6, 7]. En studie från PNH-gruppen i Leeds kunde inte visa någon skillnad i mortalitet mellan 79 patienter med PNH som behandlades med ekulizumab och en köns- och åldersmatchad normalpopulation [8].</p>
Nuvarande behandling	<p>Behandlas barn <input type="checkbox"/> och/eller vuxna <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Behandlingsriktlinjer:</p> <p>Paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) Nationella rekommendationer för diagnostik, behandling och uppföljning - Svenska PNH-gruppen (Svensk förening för hematologi) [3]</p> <p>https://www.sfhem.se/Files.aspx?f_id=190828</p> <p>Allogen stamcellstransplantation är den enda potentiellt botande terapin. Symptomatisk behandling: Antikoagulantia, erytrocyttransfusioner, järn och folat. Komplementhämning (ekulizumab, ravulizumab eller pegcetakoplan) minskar sjukdomsaktiviteten, risken för organpåverkan och tromboskomplikationer [3]. Om behandling med komplement-hämmare övervägs bör detta diskuteras med Svenska PNH-gruppen[3].</p>



NT-rådets rekommendation till regionerna [9]:

- att avstå från generell användning av Soliris (ekulizumab), Ultomiris (ravulizumab) och Aspaveli (pegcetakoplan) vid behandling av PNH.
- att endast ge dessa preparat när behandling bedöms som oundgänglig
- att den nationella behandlingsgruppen för PNH bedömer vilka patienter som bör erbjudas behandling med Soliris, Ultomiris respektive Aspaveli.

Vetenskaplig dokumentation		
	APPOINT-PNH (NCT04820530) [10-12]	APPLY-PNH (NCT04558918) [13-15]
Typ av studie	Fas III öppen randomiserad multicenterstudie	Fas III öppen randomiserad multicenterstudie
Status	avslutad	avslutad
Antal patienter	40 (43 % kvinnor)	97 (69 % kvinnor)
Patientpopulation Inklusion, urval	<ul style="list-style-type: none"> • ≥ 18 års ålder • PNH-diagnos bekräftat med högkänslig flödescytometri och klonstorlek ≥ 10 % • Hemoglobin medelvärde < 100 g/L • LDH > 1,5 gånger högre än det övre referensvärdet • Vaccination mot meningococker 	<ul style="list-style-type: none"> • ≥ 18 års ålder • PNH-diagnos bekräftat med högkänslig flödescytometri och klonstorlek ≥ 10 % • Hemoglobin medelvärde < 100 g/L • Vaccination mot meningococker • Stabil behandling med anti-C5 antikropp (antingen ekulizumab [65 %] eller ravulizumab [35%] under minst 6 månader före randomisering)
Exklusion, urval	<ul style="list-style-type: none"> • Tidigare behandling med komplementhämmare (inklusive anti-C5 antikroppar) • Känd eller misstänkt ärftlig komplementbrist • Tidigare hematopoetisk stamcellstransplantation • Påvisad benmärgssvikt: retikulocyter < 100 x 10⁹/L; Trombocyter < 30 x 10⁹ /L; Neutrofila granulocyter < 0,5 x10⁹ /L • Pågående infektion (bakterier, virus eller svamp) • Tidigare meningocock- eller pneumocockinfektion. • Relevant komorbiditet till exempel allvarlig njursjukdom, avancerad hjärtsjukdom NYHA IV, allvarlig lungsjukdom, pulmonell hypertension (WHO klass IV) eller leversjukdom såsom aktiv hepatit. 	<ul style="list-style-type: none"> • Stabil ekulizumabdos men dosintervall 11 dagar eller kortare • Känd eller misstänkt ärftlig komplementbrist • Tidigare hematopoetisk stamcellstransplantation • Påvisad benmärgssvikt: retikulocyter < 100 x 10⁹/L; Trombocyter < 30 x 10⁹ /L; Neutrofila granulocyter < 0,5 x10⁹ /L • Pågående eller nyss genomgången (inom 14 dagar före behandlingsstart) infektion (bakterier, virus eller svamp). • Tidigare meningocock- eller pneumocockinfektion. • Relevant komorbiditet till exempel allvarlig njursjukdom, avancerad hjärtsjukdom NYHA IV, allvarlig lungsjukdom, pulmonell hypertension (WHO klass IV) eller leversjukdom såsom aktiv hepatit.
Interventions-behandling	200 mg x 2 under 24 veckor	200 mg x 2 under 24 veckor
Jämförelsearm	Saknas	ekulizumab eller ravulizumab (anti-C5)
Resultat Primär utfallsvariabel	Jämfört med utgångsläget resulterade behandling med iptakopan i signifikant förbättring avseende det primära och de sekundära utfallsmåtten. <u>Andel patienter med minst 20 g/L ökad hemoglobin (Hb)-koncentration utan erytrocyttransfusioner.</u>	Jämfört med anti-C5 hade iptakopan en signifikant bättre effekt avseende de två primära och de flesta sekundära utfallsmåtten. <u>Andel patienter med minst 20 g/L ökad hemoglobin (Hb)-koncentration utan erytrocyttransfusioner.</u>



	<ul style="list-style-type: none"> Iptakopan 94 % (31/33 evaluerbara patienter) <p>Vid studiestart var medelvärdet (SD) för Hb 81,6 (10,9) g/L</p>	<ul style="list-style-type: none"> Iptakopan 85 % (51/60) Anti-C5 0 % (0/35) <p><u>Andel patienter med Hb \geq 120 g/L (utan erytrocyttransfusion)</u></p> <ul style="list-style-type: none"> Iptakopan 70 % (42/60) Anti-C5 0 % (0/35)
<p>Sekundära utfallsvariabler (urval)</p>	<p><u>Andel patienter med Hb \geq 120 g/L (utan erytrocyttransfusion)</u></p> <ul style="list-style-type: none"> Iptakopan 58 % (19/33 evaluerbara patienter) <p><u>Andel patienter som undviker erytrocyttransfusioner</u></p> <ul style="list-style-type: none"> Iptakopan 100 % (40/40) <p><u>Justerad medelvärdesförändring av Hb-värdet jämfört med utgångsläget (n=40)</u></p> <ul style="list-style-type: none"> Iptakopan + 43 g/L (95 % KI: +39 till +47) <p><u>Justerad medelvärdesförbättring av FACIT-F (fatigue score) jämfört med utgångsläget (n=40)</u></p> <ul style="list-style-type: none"> 10,75 poäng (95% KI: 8,66 - 12,84) <p><u>Justerad medelvärdesförändring av LDH-värdet jämfört med utgångsläget</u></p> <ul style="list-style-type: none"> Iptakopan minskning med 84 % Utgångsläget 28,3 μkat/L (SD 11,4) <p><u>Justerad medelvärdesförändring av retikulocyt-koncentrationen jämfört med utgångsläget</u></p> <ul style="list-style-type: none"> Iptakopan -83.55 (-84.90 till -82.08) $\times 10^9/L$ 	<p><u>Andel patienter som undviker erytrocyttransfusioner</u></p> <ul style="list-style-type: none"> Iptakopan 97 % (60/62) Anti-C5 40 % (14/35) <p><u>Justerad medelvärdesförändring av Hb-värdet</u></p> <ul style="list-style-type: none"> Iptakopan + 36 g/L (95% KI: +33,2 till +38,6) Anti-C5 - 0,4 g/L (95% KI: - 4,2 till + 3,5) <p><u>Justerad medelvärdesförändring av FACIT-F jämfört med utgångsläget</u></p> <ul style="list-style-type: none"> Iptakopan + 8,6 poäng (95% KI: + 6,7 till +10,5) Anti-C5 +0,3 poäng (95% KI: -2,2 till +2,8) <p><u>Justerad medelvärdesförändring av retikulocyt-koncentrationen jämfört med utgångsläget</u></p> <p>Iptakopan -115,89 (95 % KI: -126,49 till -105,30) $\times 10^9/L$ Anti-C5 + 0,37 (-13,03 till +13.77) $\times 10^9/L$</p>

		Retikulocytkoncentration vid utgångsläget: 192,3 (SD 82,3) x 10 ⁹ /L															
Säkerhet	<p>Inga dödsfall och ingen patient avbröt behandlingen.</p> <p>Fyra allvarliga biverkningar (SAE): Bakteriell pneumoni, COVID-19, katarakt och typ II diabetes mellitus.</p> <p>Inga fall av genombrotts-hemolys eller betydelsefulla vaskulära händelser</p> <p><u>Vanliga biverkningar</u> COVID-19 15 % Övre luftvägsinfektion 12,5 % Huvudvärk 27,5 % Diarré 7,5 %</p>	<p>Ingen patient avbröt behandlingen på grund av biverkningar</p> <p>Allvarliga biverkningar (SAE) Ingen patient med iptakopan hade en SAE Två patienter med anti-C5 hade en SAE (hemolys)</p> <p><u>Vanliga biverkningar</u></p> <table> <tr> <td>COVID-19:</td> <td>Iptakopan 8,1 %</td> <td>Anti-C5 25,7 %</td> </tr> <tr> <td>Nasofaryngit:</td> <td>Iptakopan 11,3 %</td> <td>Anti-C5 5,7 %</td> </tr> <tr> <td>Huvudvärk:</td> <td>Iptakopan 16,1 %</td> <td>Anti-C5 2,9 %</td> </tr> <tr> <td>Diarré:</td> <td>Iptakopan 14,5 %</td> <td>Anti-C5 5,7 %</td> </tr> <tr> <td>Genombrotts-hemolys:</td> <td>Iptakopan 3,2 %</td> <td>Anti-C5 17,1 %</td> </tr> </table>	COVID-19:	Iptakopan 8,1 %	Anti-C5 25,7 %	Nasofaryngit:	Iptakopan 11,3 %	Anti-C5 5,7 %	Huvudvärk:	Iptakopan 16,1 %	Anti-C5 2,9 %	Diarré:	Iptakopan 14,5 %	Anti-C5 5,7 %	Genombrotts-hemolys:	Iptakopan 3,2 %	Anti-C5 17,1 %
COVID-19:	Iptakopan 8,1 %	Anti-C5 25,7 %															
Nasofaryngit:	Iptakopan 11,3 %	Anti-C5 5,7 %															
Huvudvärk:	Iptakopan 16,1 %	Anti-C5 2,9 %															
Diarré:	Iptakopan 14,5 %	Anti-C5 5,7 %															
Genombrotts-hemolys:	Iptakopan 3,2 %	Anti-C5 17,1 %															

FACIT-F: Functional Assessment of Chronic Illness Therapy – Fatigue score, en sammansatt skala med 13 frågor som skattas med en 5-gradig Likertskala (0: ingen påverkan, 4: mycket stor påverkan (very much); KI: Konfidensintervall; SD: standarddeviation; # justerad för kovariabler som basal Hb, basal FACIT-F score, baseline retikulocytpartikelkoncentration och log-transformerad baseline LDH.

Kommentar till den vetenskapliga dokumentationen	<p>Ingen av de ovanstående studierna har publicerats i sin helhet och resultatredovisningen är ofullständig i det material som är tillgängligt och ovanstående data får betraktas som preliminära.</p> <p>Eftersom studien APPLY-PNH (NCT04558918) rekryterade patienter som hade otillräcklig effekt med ekulizumab eller ravulizumab så är det inte förvånande att man inte noterade någon större effekt med dessa läkemedel i denna studie.</p>
---	--

Pipeline	
Andra läkemedel med indikationen	<p>Enligt databasen Citeline (2023-05-29) befinner sig ett flertal substanser i pipeline på indikationen paroxysmal nattlig hemoglobinuri.</p> <p>Inlämnad ansökan om marknadsföringsgodkännande i EU: Danikopan (per oral hämmare av komplementfaktor D – första indikation "add-on" till C5-hämmare)</p> <p>Fas III Krovalimab (RG-6107; SKY59; RO-7112689) antikropp mot C5 (enligt uppgift planeras ansökan till EMA under 2023) Cemdisiran (ALN-CC5) en substans som interfererar med RNA för komplementfaktor C5 och som studeras i kombination med Pozelimab (REGN-3918) en C5-antikropp Nomakopan (Coversin; rEV576); C5-hämmare och leukotrien B4-antagonist (rekombinant framställt protein från en fästing: Ornithodoros moubata) för subkutan administrering. Zilukoplan (RA-101495): C5-hämmare för subkutan administrering</p> <p>Fas II Tesidolumab (LFG-316) antikropp mot C5 Vemiropan en peroral faktor D-hämmare</p>
Andra indikationer för läkemedlet	<p>På sin hemsida anger Novartis indikationer i pipeline för iptakopan [16]. Under 2024 kan det bli aktuellt med två nya indikationer:</p> <ul style="list-style-type: none"> • IgA-nefropati • C3-glomerulopati <p>Enligt uppgift i samma dokument skulle det kunna bli aktuellt med ansökningar på följande indikationer efter 2026:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Membranös nefropati • Immunkomplex membranoproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN) • Atypiskt hemolytiskt uremiskt syndrom (aHUS). <p>I ett pressmeddelande April 2023 anger Novartis ytterligare tänkbara indikationer: lupusnefrit (LN), immun trombocytopen purpura (ITP) och köldagglutininsjukdom (cold agglutinin disease/ CAD) [12].</p>

Övrigt

Eftersom samtliga patienter som kan bli aktuella för behandling med komplementhämmare redan bedöms av den nationella behandlingsgruppen för PNH, finns strukturen för ett eventuell systematiskt införande redan på plats.

Författare

Författaren har lämnat jävsdeklaration. Inga jäv bedöms föreligga.

Carl-Olav Stiller

Docent, överläkare

Klinisk farmakologi

Karolinska Universitetssjukhuset

Stockholm



Referenser

1. European Medicines Agency. *Epysqli (eculizumab): An overview of Epysqli and why it is authorised in the EU*. 2023 [cited 2023-06-27]; Available from: https://www.ema.europa.eu/en/documents/overview/epysqli-epar-medicine-overview_en.pdf.
2. European Medicines Agency. *Bekemv (eculizumab) An overview of Bekemv and why it is authorised in the EU*. 2023 [cited 2023-06-28] Available from: https://www.ema.europa.eu/en/documents/overview/bekemv-epar-medicine-overview_en.pdf.
3. Svenska PNH-gruppen. *Paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) Nationella rekommendationer för diagnostik, behandling och uppföljning 2021-03-15 – 2023-03-17*. 2023 [cited 2023-06-27]; Available from: https://www.sfhem.se/Files.aspx?f_id=190828.
4. Socialstyrelsen. *Sällsynta hälsotillstånd: Paroxysmal nattlig hemoglobinuri*. 2019 [cited 2023-06-26]; Available from: <https://www.socialstyrelsen.se/kunskapsstod-och-regler/omraden/sallsynta-halsotillstand/paroxysmal-nattlig-hemoglobinuri/>.
5. Personligt meddelande 2023-06-29, Peter L Johansson (VGR), ordförande i Svenska NPH-gruppen
6. Socie, G., et al., *Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria: long-term follow-up and prognostic factors*. *French Society of Haematology. Lancet*, 1996. **348**(9027): p. 573-7.
7. Hillmen, P., et al., *The complement inhibitor eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria*. *N Engl J Med*, 2006. **355**(12): p. 1233-43.
8. Kelly, R.J., et al., *Long-term treatment with eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: sustained efficacy and improved survival*. *Blood*, 2011. **117**(25): p. 6786-92.
9. NT-rådet. *Soliris (ekulizumab), Ultomiris (ravulizumab) och Aspaveli (pegcetakoplan) vid paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) NT-rådets yttrande till regionerna 2023-01-20*. [cited 2023-06-27]; Available from: <https://janusinfo.se/download/18.79121952185b0e3c275da4b7/1674547789469/Soliris-Ultomiris-Aspaveli-vid-PNH-230120.pdf>.
10. Clinicaltrials.gov. *NCT04820530 Study of Efficacy and Safety of Twice Daily Oral Iptacopan (LNP023) in Adult PNH Patients Who Are Naive to Complement Inhibitor Therapy (APPOINT-PNH) May 11*. 2023 [cited 2023-09-14]; Available from: <https://classic.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04820530?term=iptacopan&draw=2&rank=8>.
11. EBMT 49th Annual Meeting 23-26 April Paris Hybrid. *Oral presentation OS12-06: Risitano Antonio ORAL COMPLEMENT FACTOR B INHIBITOR IPTACOPAN MONOTHERAPY IMPROVES HEMOGLOBIN TO NORMAL/NEAR-NORMAL LEVELS IN PAROXYSMAL NOCTURNAL HEMOGLOBINURIA PATIENTS NAÏVE TO COMPLEMENT INHIBITORS: PHASE III APPOINT-PNH TRIAL*. 2023 [cited 2023-09-19]; Available from: <https://ebmt2023.abstractserver.com/program/#/details/presentations/981>.
12. Novartis. *Press release April 26, 2023: Novartis Phase III APPOINT-PNH trial shows investigational oral monotherapy iptacopan improves hemoglobin to near-normal levels, leading to transfusion independence in all treatment-naïve PNH patients*. [cited 2023-09-14]; Available from: <https://www.novartis.com/news/media-releases/novartis-phase-iii-appoint-pnh-trial-shows-investigational-oral-monotherapy-iptacopan-improves-hemoglobin-near-normal-levels-leading-transfusion-independence-all-treatment-naive-pnh-patients>.
13. Clinicaltrials.gov. *NCT04558918 Study of Efficacy and Safety of Twice Daily Oral LNP023 in Adult PNH Patients With Residual Anemia Despite Anti-C5 Antibody Treatment (APPLY-PNH)*. April 14. 2023 [cited 2023-09-19]; Available from: <https://classic.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04558918>.



14. European hematology association (EHA) Hybrid June 8-15. *Abstract: S182 Risitano et al. ORAL IPTACOPAN MONOTHERAPY INCREASES PAROXYSMAL NOCTURNAL HEMOGLOBINURIA (PNH) RED BLOOD CELL CLONE SIZE VIA CONTROL OF INTRA- AND EXTRAVASCULAR HEMOLYSIS IN ANTI-C5-TREATED PNH PATIENTS WITH ANEMIA.* 2023 [cited 2023-09-19]; Available from: https://library.ehaweb.org/eha/2023/eha2023-congress/387882/antonio.maria.risitano.oral.iptacopan.monotherapy.increases.paroxyssmal.html?f=menu%3D16%2Abrowseby%3D8%2Asortby%3D2%2Ace_id%3D2489%2Aot_id%3D27920%2Atrend%3D4016%2Amarker%3D4176.
15. Risitano et al. *Oral S182: Oral iptacopan monotherapy increases paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (PNH) red blood cell clone size via control of intra- and extravascular hemolysis in anti-C5-treated PNH patients with anemia.* 2023 [cited 2023-09-19]; Available from: https://www.medicalcongress.novartis oncology.com/EHA23/PNH/pdf/Risitano_Oral_S182.pdf#toolbar=0.
16. Novartis.com. *Novartis Pipeline 2022.* 2023 [cited 2023-10-12]; Available from: https://www.novartis.com/sites/novartis_com/files/novartis-pipeline-2022-annual-report.pdf.

Om rapporten

Denna bedömningsrapport är utformad för att ge en bild av ett kommande läkemedels eller ny indikations potentiella värde och dess sannolika konsekvens för sjukvården. Rapporten är inte en läkemedelsvärdering utan ett tidigt underlag ämnat för regionernas förberedelser. Informationen om ett nytt läkemedel är vanligen begränsad innan det godkänts och slutsatserna som dras i denna rapport är preliminära. Rapporten gäller vid den tidpunkt den skrevs och revideras inte.

Den tidiga bedömningsrapporten tas fram av de 4 regionerna (VGR, RÖ, RS, Region Stockholm) på uppdrag av Sveriges kommuner och regioner (SKR). Bedömningsrapporten är främst avsedd för läkemedelsstrategiskt arbete i SKR och regionerna men även TLV har tillgång till rapporterna. I de fall rapporten berör ett cancerläkemedel förmedlas den också vidare till NAC och RCC:s vårdprogramsgroup.

Rapporten skickas efter färdigställande till berört läkemedelsföretag för kännedom. Kontaktperson är koordinators Johanna Glad (johanna.glad@skane.se), Region Skåne