

## Metodevarsel for legemiddel

### 1. Status og oppsummering

Masitinib kombinert med riluzol til behandling av voksne pasienter med amyotrofisk lateralsklerose (ALS)

#### 1.1 Oppsummering\*

Metoden omfatter et kjent virkestoff. Metoden har foreløpig ikke MT i Norge eller EU, men er under vurdering hos Det europeiske legemiddelkontoret (EMA) (1). Masitinib er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) (2).

1.2 Kort om metoden	1.3 Metodetype	1.5 Finansieringsansvar	1.6 Fagområde
ATC-kode: L01  Virkestoffnavn: masitinib  Handelsnavn:  Legemiddelform: Tablett  MT-søker: AB Science (1)	<input checked="" type="checkbox"/> Legemiddel <input type="checkbox"/> Annet  <b>1.4 Tag (merknad)</b> <input type="checkbox"/> Vaksine <input type="checkbox"/> Avansert terapi (gen-/celleterapi) <input type="checkbox"/> Medisinsk stråling <input type="checkbox"/> Krever tilhørende diagnostikk eller medisinsk utstyr <input type="checkbox"/> Annet:	<input checked="" type="checkbox"/> Spesialisthelsetjenesten <input type="checkbox"/> Folketrygd: blåresept <input type="checkbox"/> Kommune <input type="checkbox"/> Annet:	Nevrologi
1.7 Bestillingsanbefaling	1.8 Relevante vurderingselementer for en metodevurdering		
<b>Metodevurderinger</b> <input type="checkbox"/> Fullstendig metodevurdering <input checked="" type="checkbox"/> Hurtig metodevurdering (CUA) <input type="checkbox"/> Forenklet vurdering <input type="checkbox"/> Avvente bestilling <input type="checkbox"/> Ingen metodevurdering <input type="checkbox"/> Kan være egnet for FINOSE <b>Kommentar:</b>	<input checked="" type="checkbox"/> Klinisk effekt relativ til komparator <input checked="" type="checkbox"/> Sikkerhet relativ til komparator <input checked="" type="checkbox"/> Kostnader / Ressursbruk <input checked="" type="checkbox"/> Kostnadseffektivitet  <input type="checkbox"/> Juridiske konsekvenser <input type="checkbox"/> Etske vurderinger <input type="checkbox"/> Organisatoriske konsekvenser <input type="checkbox"/> Annet		

Statens legemiddelverk er ansvarlig for å utarbeide metodevarsler. Metodevarsling skal sikre at nye og viktige metoder for norsk helsetjeneste blir identifisert og prioritert for metodevurdering. Et metodevarsel er ingen vurdering av metoden. Alle metodevarsler publiseres av Folkehelseinstituttet i MedNytt, som er Folkehelseinstituttets publiseringsplattform for metodevarsler. Metodevarsler som skal vurderes på nasjonalt nivå i Bestillerforum RHF til spesialisthelsetjenesten publiseres i tillegg på [nyemetoder.no](http://nyemetoder.no). For mer informasjon om identifikasjon av metoder, produksjon av metodevarsler og hvordan disse brukes, se [Legemiddelverkets nettsider](http://Legemiddelverkets nettsider).

\*Et metodevarsel er en kort beskrivelse av en legemiddelindikasjon (metode) på et tidlig tidspunkt, og oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](http://Legemiddelsøk.no).

## 2. Beskrivelse av metoden

### Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Amyotrofisk lateralsklerose (ALS) er en sykdom som fører til muskelsvinn fordi nervecellene som sender signaler fra hjernen til musklene blir ødelagt. Dette fører til at musklene som mister sin nerveforsyning blir gradvis svakere og tynnere. De første symptomene kan være svekkelse i en arm, et ben eller utydelig tale. Derfra vil symptomene forverres, og pasienter med ALS vil etter hvert få problemer med å gå og det kan bli vanskelig å bruke armene. Musklene i svelget kan lammes, som fører til vansker med å svelge mat og drikke (4). ALS er en sykdom som i dag ikke kan helbredes og sykdommen blir verre over tid. Sykdomsforløpet og hvor fort den forverres varierer mye fra pasient til pasient. De fleste lever tre til fem år etter at diagnosen er stilt, men 10-20 prosent lever i minst ti år (5).

Gjennomsnittsalder ved sykdomsdebut er ca. 55 år, og sykdommen rammer oftere menn enn kvinner. Det oppstår ca. 3 tilfeller pr 100 000 innbygger hvert år, og i Norge er det ca. 300-400 pasienter med diagnose ALS til enhver tid (5).

### Dagens behandling

Det finnes ingen behandling som kan stanse eller snu sykdomsutviklingen ved ALS. Legemidlet riluzol har en moderat, bremsende effekt. Lindrende behandling tilbys mot plager som spastisitet, muskelskjelettsmerter (hos opptil 70 prosent), pustevansker, slim i luftveiene og angst (5).

### Virkningsmekanisme

Masitinib er en tyrosinkinasehemmer (TKI) som antas å virke ved å redusere aktiviteten til mikroglia og mastceller, som spiller en viktig rolle i inflammasjon og nerveskade hos pasienter med ALS. Ved å redusere deres aktivitet, antas masitinib å kunne forsinke forverring av symptomer hos pasientene. (3, 4)

### Mulig indikasjon

Masitinib kombinert med riluzol til behandling av voksne pasienter med amyotrofisk lateralsklerose (ALS) (1).

### Kommentar fra FHI ved Companion Diagnostics

- Metoden **vil medføre** bruk av ny diagnostisk metode (ny diagnostisk praksis)
- Metoden **vil ikke medføre** bruk av ny diagnostisk metode (allerede etablert diagnostisk praksis)
- Det er på nåværende tidspunkt **uavklart** om metoden vil medføre bruk av ny diagnostisk metode
- Det er **ikke vurdert** om metoden vil medføre bruk av ny diagnostisk metode

## 3. Dokumentasjonsgrunnlag

### 3.1 Relevante og sentrale kliniske studier

Populasjon (n = antall deltakere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfallsmål	Studienummer, fase	Tidsperspektiv resultater
Voksne pasienter med familiær eller sporadisk ALS behandlet med stabil dose riluzol (100 mg daglig) i minst 12 uker  n = 495	1. 3 mg/kg masitinib to ganger daglig, opptitrert til 4,5 mg/kg etter 4 uker  2. 3 mg/kg masitinib to ganger daglig, opptitrert til 4,5 mg/kg etter 4 uker etterfulgt av en opptitrering til 6 mg/kg etter 4 uker  Begge kombinert med 50 mg riluzol to ganger daglig	Placebo kombinert med med 50 mg riluzol to ganger daglig	Endring i Amyotrophic Lateral Sclerosis Functional Rating Scale-Revised (ALSFRS-R) etter 48 uker	<a href="#">NCT03127267</a> Fase 3	Desember 2023
Voksne pasienter med familiær eller sporadisk ALS behandlet med stabil dose riluzol (100 mg daglig) i minst 30 dager  n = 394	1. 3 mg/kg/dag masitinib + riluzol  2. 4,5 mg/kg/dag masitinib + riluzol	Placebo + riluzol	Endring i Amyotrophic Lateral Sclerosis Functional Rating Scale-Revised (ALSFRS-R) etter 48 uker	<a href="#">NCT02588677</a> Fase 2/3	<a href="#">Resultater foreligger</a>

### 3.2 Metodevurderinger og –varsel, nasjonalt og internasjonalt

<b>Metodevurdering</b>	Masitinib er tidligere bestilt til vurdering, men siden MT-søknadene for indikasjonene ble trukket, og følgelig avbestilt: se NyeMetoder <a href="#">ID2016_088</a> (mastocytose) og <a href="#">ID2018_036</a> (ALS). Andre metoder er vurdert/bestilt til vurdering for samme indikasjon: se NyeMetoder <a href="#">ID2017_089</a> , <a href="#">ID2018_122</a> , <a href="#">ID2022_095</a> og <a href="#">ID2022_109</a> .
<b>Metodevarsel</b>	Det foreligger minst et relevant internasjonalt metodevarsel (3).

## 4. Referanser

1. Committee for medicinal products for human use (CHMP). Draft agenda for the meeting on 12-15 December 2022. The European Medicines Agency (EMA). EMA/CHMP/869948/2022. Tilgjengelig fra: [https://www.ema.europa.eu/en/documents/agenda/agenda-chmp-meeting-12-15-december-2022\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/agenda/agenda-chmp-meeting-12-15-december-2022_en.pdf)
2. EU/3/16/1722: Orphan designation for the treatment of amyotrophic lateral sclerosis. EMA. [Publisert: 29. August 2016]. Tilgjengelig fra: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3161722>
3. Masitinib with Riluzole for amyotrophic lateral sclerosis. NIHR. [Hentet 9. Januar 2023]. Tilgjengelig fra: [https://www.io.nihr.ac.uk/wp-content/uploads/2022/05/22761-TSID\\_10728-Masitinib-with-Riluzole-for-Amyotrophic-Lateral-Sclerosis-V1.0-MAY2022-NON-CONF.pdf](https://www.io.nihr.ac.uk/wp-content/uploads/2022/05/22761-TSID_10728-Masitinib-with-Riluzole-for-Amyotrophic-Lateral-Sclerosis-V1.0-MAY2022-NON-CONF.pdf)
4. Amyotrofisk lateral sklerose (ALS). Helsenorge.no. [Oppdatert: 11. januar 2021]. Tilgjengelig fra: <https://www.helsenorge.no/sykdom/hjerne-og-nerver/als/>
5. Amyotrofisk lateralsklerose (ALS): Norsk helseinformatikk. [sist oppdatert: 21. desember 2021]. tilgjengelig fra: <https://nhi.no/sykdommer/hjernenervesystem/ulike-sykdommer/amyotrofisk-lateralsklerose-als/>

## 5. Versjonslogg

5.1 Dato	5.2 Endringer gjort i dokument
10.02.2023	Laget metodevarsel*
DD.MM.ÅÅÅÅ	Endret dokumentasjonsgrunnlag basert på nytt søk av DD.MM.ÅÅÅÅ
DD.MM.ÅÅÅÅ	Endret status for metoden

\*Et metodevarsel er en kort beskrivelse av en legemiddelindikasjon (metode) på et tidlig tidspunkt, og oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](http://Legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.