

Metodevarsel for legemiddel

1. Status og oppsummering

Cipaglukosidase alfa i kombinasjon med miglustat til behandling av pasienter med Pompes sykdom

1.1 Oppsummering*

Metoden omfatter et nytt virkestoff i kombinasjon med et kjent virkestoff. Metoden har foreløpig ikke MT i Norge, EU eller i USA, men er under vurdering hos Det europeiske legemiddelkontoret (EMA) og US Food and Drug Administration (FDA). Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) (1).

1.2 Kort om metoden

ATC-kode: A16AB

Virkestoffnavn: cipaglukosidase alfa

Handelsnavn: -

Legemiddelform: Pulver til konsentrat til injeksjons-/infusjonsvæske, oppløsning

MT-søker/innehaver: Amicus Therapeutics (1)

1.3 Metodetype

- Legemiddel
 Annet:

1.4 Tag (merknad)

- Vaksine
 Avansert terapi (gen-/celleterapi)
 Medisinsk stråling
 Krever diagnostisk metode eller medisinsk utstyr
 Annet:

1.5 Finansieringsansvar

- Spesialisthelsetjenesten
 Folketrygd: blåresept
 Kommune
 Annet:

1.6 Fagområde

Muskel-, skjelett- og bindevevssykdommer
Neurologi

1.7 Bestillingsanbefaling

Metodevurderinger

- Fullstendig metodevurdering
 Hurtig metodevurdering (CUA)
 Forenklet vurdering
 Avvente bestilling
 Ingen metodevurdering

Kommentar:

1.8 Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

- Klinisk effekt relativ til komparator
 Sikkerhet relativ til komparator
 Kostnader / Ressursbruk
 Kostnadseffektivitet
 Juridiske konsekvenser
 Etske vurderinger
 Organisatoriske konsekvenser
 Annet

Kommentar:

Folkehelseinstituttet har i samarbeid med Statens legemiddelverk ansvar for den nasjonale funksjonen for metodevarsling. Metodevarsling skal sikre at nye og viktige metoder for norsk helsetjeneste blir identifisert og prioritert for metodevurdering. Et metodevarsel er ingen vurdering av metoden. MedNytt er Folkehelseinstituttets publiseringsplattform for metodevarsler. Metodevarsler som skal vurderes på nasjonalt nivå i Bestillerforum RHF til spesialisthelsetjenesten publiseres på nyemetoder.no. For mer informasjon om identifikasjon av metoder, produksjon av metodevarsler og hvordan disse brukes, se Om MedNytt.

*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.

2. Beskrivelse av metoden

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Pompes sykdom (PD) er en sjelden, arvelig og kronisk nevromuskulær sykdom, som tilhører de lysosomale avleirings sykdommene. PD skyldes mangel på et bestemt enzym (acid alfa-glucosidase (GAA)) som normalt bryter ned glykogen i cellene. Når dette enzymet mangler eller ikke viser tilstrekkelig aktivitet, vil man få en opphopning av glykogen som over tid vil skade cellenes normale funksjon (2). PD opptrer i to former: IOPD (Infantile Onset) og LOPD (Late Onset). IOPD opptrer ved fødsel eller innen seks måneder etter fødsel, med hurtig progredierende multiorgansvikt som blant annet omfatter kardiomyopati, alvorlig muskelsvekkelse og respirasjonssvikt. Ubehandlet fører IOPD til død i hovedsak innen første leveår. LOPD kan debutere i tidlig barndom eller i voksen alder, og har større variasjon i forløp enn IOPD. LOPD presenteres med progredierende, multisystemiske symptomer. Mest uttalt er svikt i skjelett- og respirasjonsmuskulatur, som ubehandlet kan føre til økende funksjonshemming inkludert avhengighet av rullestol og pustassistanse, inkludert prematur død grunnet respirasjonssvikt (3).

Forekomsten av PD i Norge er ikke kjent, men prevalensen er oppgitt å være mellom 1 og 9 per 100 000 internasjonalt (2).

Dagens behandling

Pompes sykdom kan behandles ved hjelp av enzymerstatningsterapi hvor det manglende GAA-enzymet erstattes av et kunstig fremstilt enzym (alglukosidase alfa). Det kan redusere glykogenlageret som ødelegger cellene. Behandlingen er livslang fordi enzymmangelen er varig. Noen pasienter har også behov for respirasjonsstøtte, fysioterapi eller spesifikke hjelpemidler (2, 3).

Virkningsmekanisme	Cipaglukosidase alfa er rekombinant humant GAA-enzym. Miglustat stabiliserer cipaglukosidase alfa og hindrer at det brytes ned og bidrar til at mer enzym blir tilgjengelig i cellene (4).
Tidligere godkjent indikasjon	Ingen
Mulig indikasjon	Cipaglukosidase alfa i kombinasjon med miglustat til behandling av Pompes sykdom (1, 5)
Kommentar fra FHI ved Companion Diagnostics	<input type="checkbox"/> Metoden vil medføre bruk av ny diagnostisk metode (ny diagnostisk praksis) <input type="checkbox"/> Metoden vil ikke medføre bruk av ny diagnostisk metode (allerede etablert diagnostisk praksis) <input checked="" type="checkbox"/> Det er på nåværende tidspunkt uavklart om metoden vil medføre bruk av ny diagnostisk metode Kommentar fra FHI:

3. Dokumentasjonsgrunnlag

3.1 Relevante og sentrale kliniske studier

Det foreligger klinisk dokumentasjon i form av minst én klinisk studie:

Populasjon (n = antall deltakere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfallsmål	Studienummer, fase	Tidsperspektiv resultater
Voksne pasienter med sent debuterende Pompe sykdom som har mottatt alglucosidase alfa i minst 2 år eller som er enzymerstatningsterapi-naive (n = 123)	cipaglucosidase alfa administrert intravenøst + miglustat kapsler	aglucosidase alfa administrert intravenøst + placebo kapsler	6-Minute Walk Test (6MWD) etter 12 uker	NCT03729362 Fase III PROPEL	Avsluttet Resultater foreligger

3.2 Metodevurderinger og –varsel

Metodevurdering - nasjonalt/lokalt -	En annen metode er bestilt til vurdering for tilsvarende indikasjon: se NyeMetoder ID2021_043 (avalglucosidase alfa).
Metodevurdering / systematiske oversikt - internasjonalt -	Metoden er under vurdering i Storbritannia (5).
Metodevarsel	Det foreligger minst to relevante metodevarsler (1, 4).

4. Referanser

1. Cipaglucosidase alfa: Specialist Pharmacy Service, NHS. [lest 20. april 2022]. Tilgjengelig fra: <https://www.sps.nhs.uk/medicines/cipaglucosidase-alfa/>
2. Pompes sykdom: Norsk helseinformatikk. [publisert: 11.05.2020]. Tilgjengelig fra: <https://nhi.no/sykdommer/sjeldne-tilstander/p/pompes-sykdom/>
3. Pompe Disease: NORD – National Organization for Rare Disorders. [lest 20. april 2022]. Tilgjengelig fra: <https://rarediseases.org/rare-diseases/pompe-disease/>
4. [ATB200/AT2221 for Late onset Pompe disease in adults and adolescents over 12 years – first line](#). Newcastle upon Tyne, UK: NIHR Innovation Observatory; 2020. Health Technology Briefing NIHRIO ID: 3774.
5. Committee for medicinal products for human use (CHMP). Draft agenda for the meeting on 21-24 March 2022: European Medicines Agency. Tilgjengelig fra: https://www.ema.europa.eu/en/documents/agenda/agenda-chmp-agenda-21-24-march-2022-meeting_en.pdf
6. Cipaglucosidase alfa with miglustat for treating Pompe disease (ID3771) [nettdokument]. Manchester, UK: National Institute for Health and Care Excellence. Awaiting development (GID-TA10887). [oppdatert 20.09.2021; lest 04.04.2022]. Tilgjengelig fra: <https://www.nice.org.uk/guidance/awaiting-development/gid-ta10887/documents>

5. Versjonslogg

5.1 Dato	5.2 Endringer gjort i dokument
13.05.2022	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. Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.