

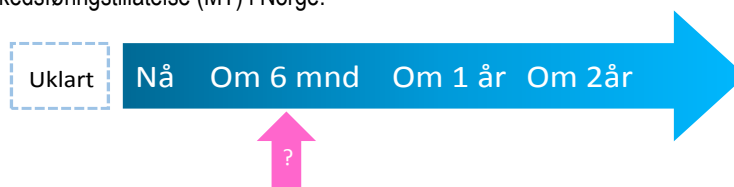


# Tagraxofusp til behandling av blastisk plasmacytoid dendrittisk celle-neoplasi (BPDCN)

Type metode: Legemiddel  
Område: Blod; Hud; Kreft;  
Virkestoffnavn: tagraxofusp  
Handelsnavn:  
ATC-kode: L01X (OTHER ANTINEOPLASTIC AGENTS)  
MT søker/innehaver: TMC Pharma (EU) Limited / Stemline Therapeutics, Inc (1).  
Finansieringsansvar: Spesialisthelsetjenesten

## Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden omfatter et nytt virkestoff. Metoden har foreløpig ikke MT i Norge eller EU, men er under vurdering hos det Europeiske Legemiddelbyrået (EMA). Metoden er godkjent i USA. Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) (1).

## Beskrivelse av den nye metoden

Tagraxofusp er et diphtheria toxin - interleukin 3 (IL-3) fusjonsprotein. CD123 (IL3 reseptor) er høyt uttrykt i BPDCN med minimal forekomst i normale celler. Tagraxofusp binder via IL-3 til CD123 på overflaten til maligne celler. Denne tas så opp av cellen noe som fører til inhibering av protein syntesen etterfulgt av celledød (2).

Tagraxofusp administreres intravenøst (2).

## Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

BPDCN antas å representere mindre enn 1% av alle hematologiske maligne sykdommer med 1000-1400 tilfeller årlig i USA og EU tilsammen. BPDCN er en sjelden og aggressiv hematologisk krefttype som karakteriseres ved malign proliferasjon av plasmacytoide dendritiske celler. Den presenteres i beinmarg, perifert blod og/eller hud (2).

Omtrent 90% av pasientene blir diagnostisert med asymptomatiske hudlesjoner (3). Median overlevelse etter diagnose er omtrent et år (3). Gjennomsnittsalder for diagnose er midten av 60-årene og tre ganger så mange menn som kvinner blir diagnostisert med BPDCN.

## Dagens behandling

Det er ingen godkjent eller etablert standard behandling for BPDCN og sykdommen er heller ikke beskrevet i norske retningslinjer for behandling av maligne blodsykdommer. Akutt leukemi basert kjemoterapi anbefales for pasienter som tåler dette (3). Langtidsremisjon kan ses ved stamcelletransplantasjon.

## Status for dokumentasjon

### Metodevurderinger eller systematiske oversikter –norske

- Ingen relevante identifisert

### Metodevurdering eller systematiske oversikter -internasjonale

- Det foreligger minst en relevant internasjonal metodevurdering eller systematisk oversikt (4)

### Metodevarsler

- Det foreligger minst ett internasjonalt metodevarsel (1,5)

### Klinisk forskning

De antatt viktigste studiene for vurdering av metoden er vist i tabellen under:

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Utfallsmål	Studienavn og nummer* (fase)	Tidsperspektiv resultater
Voksne pasienter med AML (akutt myelogen leukemi) og BPDCN (N = 47 with BPDCN) (4)	SL-401 (tagraxofusp)	ingen	Ikke spesifisert annet enn at det inkluderer både effekt og sikkerhet	<a href="#">NCT02113982</a> Fase 1 og fase 2	Resultater foreligger

\*ClinicalTrials.gov Identifier [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)

#### Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

Klinisk effekt relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	Ingen komparator
Sikkerhet relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	Ingen komparator
Kostnader/ressursbruk	<input checked="" type="checkbox"/>	
Kostnadseffektivitet	<input checked="" type="checkbox"/>	
Organisatoriske konsekvenser	<input type="checkbox"/>	
Etikk	<input type="checkbox"/>	
Juridiske konsekvenser	<input type="checkbox"/>	
Annet	<input type="checkbox"/>	

#### Hva slags metodevurdering kan være aktuell

Hurtig metodevurdering	<input checked="" type="checkbox"/>	Legemiddelverket foreslår kostnad-nytte analyse
Fullstendig metodevurdering	<input type="checkbox"/>	

#### Hovedkilder til informasjon

1. *Tagraxofusp*. (05. mars 2019). Specialist Pharmacy Service, NHS. Hentet 09. mai 2019, fra <https://www.sps.nhs.uk/medicines/tagraxofusp/>
2. *Tagraxofusp*. Drugs.com. Hentet 30. mai fra <https://www.drugs.com/search.php?searchterm=tagraxofusp&a=1>
3. *Facts about blastic plasmacytoid dendritic cell neoplasm*. Leukemia ans lymphoma society; Hentet fra [https://www.lls.org/sites/default/files/National/USA/Pdf/Publications/FSHP2\\_BPDCN.pdf](https://www.lls.org/sites/default/files/National/USA/Pdf/Publications/FSHP2_BPDCN.pdf)
4. Pammaraju N et al, Tagraxofusp in Blastic Plasmacytoid Dendritic-Cell Neoplasm, *New England Journal of Medicine*, 2019; 380:1628-1637
5. [Tagraxofusp for blastic plasmacytoid dendritic cell neoplasm](#). (2018). (Evidence Briefing). Newcastle upon Tyne: NIHR Innovation Ooservatory.

Dato for første publisering 21.06.2019  
Siste oppdatering 21.06.2019