



## Meksiletin til symptomatisk behandling av myotoni hos voksne pasienter med non-dystrofiske myotone forstyrrelser.

Type metode: Legemiddel

Område i MedNytt: Muskel og skjelett; Sjeldne diagnoser

Generisk navn: Meksiletin

Handelsnavn:

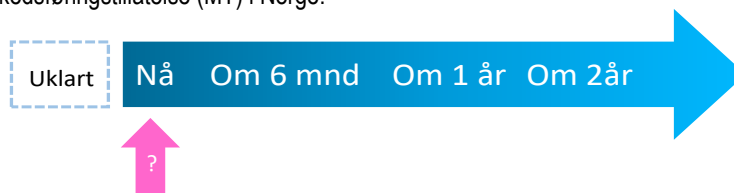
MT søker/innehaver:

Synonymer virkestoff: N/A

Synonymer indikasjon: **NO**: Myotone forstyrrelser; Myotonia fluctuans; Medfødt paramyotoni; Eulenburg-sykdom; Paramyotonia congenital, **ENG**: Myotonic Disorders; Myotonic Dystrophy; Eulenburg Disease; Myotonic Myopathies; Myotonia Fluctuans; Paralysis Periodica Paramyotonia; Paramyotonia Congenita

### Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden omfatter en ny markedsføringstillatelse av et kjent virkestoff. Metoden har MT i Norge og EU. Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) (1).

### Forventet finansieringsordning

Sykehus	<input checked="" type="checkbox"/>	Overført til sykehusfinansiering fra 01.02.2019
Blå resept	<input type="checkbox"/>	
Egenfinansiering	<input type="checkbox"/>	
Usikkert	<input type="checkbox"/>	

### Beskrivelse av den nye metoden

Meksiletin er klassifisert som et antiarytmika og virker ved å blokkere natriumkanaler, og dermed hemme tilstrømming av natriumioner i muskelceller. Dette reduserer aksjonspotensialets varighet og resulterer i at muskelcellene relaxerer (2).

Preparater med meksiletin fins i dag på markedet i enkelte europeiske land til behandling av ventrikulær takykardi. I Frankrike har meksiletin vært godkjent til behandling av myotone forstyrrelser siden 2010. I den foreliggende MT-søknaden søkes det om godkjenning av meksiletin til behandling av myotone forstyrrelser i hele EU. Meksiletin er formulert som harde kapsler og administreres peroralt.

### Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Myotone forstyrrelser er arvelige, sjeldne sykdommer som forårsakes av funksjonssvikt i skjelettmuskulaturens ionekanaler. Myotone forstyrrelser omfatter sykdomsgruppene dystrofisk myotoni (DM) og nondystrofisk myotoni (NDM). Felles for dem er vansker med avslapning av muskulatur etter muskelsammentrekning og økt krampetendens. Både DM og NDM kan igjen deles inn i en rekke undergrupper avhengig av hvilket gen som gir opphav til funksjonssvikten. Symptomer, sykdomsforløp og prognose vil avhenge av hvilken spesifikk undergruppe pasienten tilhører, og kan variere fra tilstander med kun milde plager til tilstander med alvorlige symptomer og høy risiko for tidlig død (3, 4).

Det anslås at forekomsten av dystrofe myotonier er i størrelsesorden 5-10/100 000 (3). Forekomsten av nondystrofe myotonier er ikke kjent, men antas å være enda lavere enn dette (5).

### Dagens behandling

Det finnes i dag ingen kurativ behandling for myotone forstyrrelser. Strukturert oppfølging av helsepersonell anbefales for å overvåke sykdomsutviklingen og tilpasse tiltak og behandlingsopplegg. Off-label bruk av meksiletin på godkjenningsfritak er i dag et alternativ som symptomlindrende behandling ved myotone forstyrrelser (6).

### Status for dokumentasjon

#### Metodevurderinger eller systematiske oversikter -norske

Ingen relevante norske systematiske oversikter eller metodevurderinger er identifisert.

#### Metodevurdering eller systematiske oversikter -internasjonale

Det foreligger minst én relevant internasjonal systematisk oversikt (7).

#### Metodevariser

Det foreligger minst ett internasjonalt metodevarsel (8).

#### Klinisk forskning

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

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer* og fase	Forventet ferdig
Voksne pasienter med én av to typer NDM som er genetisk bekræftet: myotonia congenita eller paramyotonia congenita (N=24)	Meksiletin daglig i 18 dager (fase I). Etter en firedagers «wash out»-periode, ble placebo administrert daglig i 18 nye dager (fase II).	Placebo daglig i 18 dager (fase I). Etter en firedagers «wash out»-periode, ble meksiletin administrert daglig i 18 nye dager (fase II).	Egenrapportert muskelstivhet angitt på en visuell analog skala ved studiestart og etter fase I og II	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02336477">NCT02336477</a> , Fase III	Avsluttet

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

### Hvilke aspekter kan være relevante for en metodevurdering

Klinisk effekt	<input checked="" type="checkbox"/>
Sikkerhet/bivirkninger	<input checked="" type="checkbox"/>
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"/>
Fullstendig metodevurdering	<input type="checkbox"/>

### Hovedkilder til informasjon

- (1) *Mexiletine hydrochloride*. Community register of orphan medicinal products. Hentet 28.02.2018, fra <http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/o1353.htm>
- (2) *Mexiletine Hydrochloride*. Drugs.com. Hentet 28.02.2018, fra <https://www.drugs.com/pro/mexiletine.html>
- (3) *Dystrofia myotonika type 1*. Frambu kompetansesenter for sjeldne diagnoser. Hentet 28.02.2018, fra <http://www.frambu.no/hovedmeny/diagnoser/dystrofia-myotonika-type-1/medisinsk-beskrivelse-type-1/ce9af66a-3e4a-4c84-bc1d-f7727007720f>
- (4) *Dystrofia myotonika type 2*. Frambu kompetansesenter for sjeldne diagnoser. Hentet 28.02.2018, fra <http://www.frambu.no/hovedmeny/diagnoser/dystrofia-myotonika-type-2/beskrivelse-av-diagnosen/c7f8dad0-72b2-4a7a-a54d-ae49541416e5>
- (5) *Myotonier (nondystrofe)* (oppdatert 07.11.2016). Norsk Elektronisk Legehåndbok. Hentet 28.02.2018, fra <http://nevro.legehandboka.no/handboken/sykdommer/nevromuskulare-sykdommer/sykdommer-og-symptomer/myotonier-nondystrofe/>
- (6) *Dystrophia Myotonica (DM1) – Skandinavisk konsensusprogram* (oppdatert 07.01.2010). Hentet 28.02.2018, fra [https://oslo-universitetssykehus.no/seksjon/nasjonal-kompetansetjeneste-for-sjeldne-diagnoser/Documents/Konsensusprogra\\_Dystrofia\\_myotonika\\_type1.pdf](https://oslo-universitetssykehus.no/seksjon/nasjonal-kompetansetjeneste-for-sjeldne-diagnoser/Documents/Konsensusprogra_Dystrofia_myotonika_type1.pdf)
- (7) *Drug treatment for myotonia* (oppdatert 25.01.2006). The Cochrane Library. Hentet 28.02.2018, fra <http://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1002/14651858.CD004762.pub2/abstract;jsessionid=96FF920D6D48FD471B553D1A7836FFDB.f01t02>
- (8) *Orientering om nyt lægemiddel: Mexiletine*. (26. oktober 2017). København: Amgro. Hentet 13.02.2018, fra <http://www.amgro.dk/media/46008/mexiletine-myotonia.pdf>

Siste oppdatering

23.06.2020

### Om metodevarslingsfunksjonen

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. Statens legemiddelverk har ansvar for informasjonen gitt i metodevarsler om legemidler. MedNytt er Folkehelseinstituttets publiseringsplattform for metodevarsler. For mer informasjon om identifikasjon av metoder, produksjon av metodevarsler og hvordan disse brukes, se [Om MedNytt](#).