



## Masitinib til behandling av mastocytose

Kategori: Legemiddel

Bruksområde og fagområde: Spesialisthelsetjenesten; Behandling; Revmatologi

Generisk navn: Masitinib

Produktnavn:-

Produsent: AB Science

Nøkkelord: **masitinib**; AB 1010; **Mastocytosis**; Mast cell disease; mastocytose; mastcelle sykdom

### Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Masitinib har markedsføringstillatelse i EU som veterinærmedisin under indikasjon behandling av mastcelle tumor hos dyr (Masivet). Søknad om markedsføringstillatelse som humanmedisin til behandling av mastocytose (orphan drug) i Europa ble levert sommeren 2016 (1).

### Forventet finansieringsordning

Sykehus	<input checked="" type="checkbox"/>
Blå resept	<input type="checkbox"/>
Egenfinansiering	<input type="checkbox"/>
Usikkert	<input type="checkbox"/>

### Beskrivelse av den nye metoden

Masitinib er en tyrosin kinase inhibitor (TKI) som hemmer cellevekst blant annet av mastceller via mastcellevekstfaktor reseptor også kalt tyrosin kinase reseptor c-Kit. Ca. 80% av alle med systemisk mastocytose har en ervervet mutasjon i arveanlegget for c-Kit reseptor (KIT mutasjon, KIT D816V mutasjon). Mutasjonen gjør at mastcellen stimuleres til celledeling, som medfører akkumulering i vev. Masitinib medfører stans i celleproliferasjon, hemming av cellesyklusprogresjon og induksjon av apoptose, og således antatt å redusere mastcelle akkumulering i kroppsvev. Masitinib er formulert som tablett og tas peroralt (1,2).

### Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Mastocytose er en tilstand karakterisert ved økt invasjon av mastceller i kroppens organer. Mastceller er en type hvite blodceller som dannes i benmargen og finnes i nesten alle kroppens organer. Mastcellene produserer histamin samt andre stoffer som forårsaker allergiske og anafylaktiske reaksjoner. Akkumulering av mastceller i kroppens organer kan hemme organets funksjonalitet og medføre organsvikt. Mastocytose kan inndeles i systemisk form der hele kroppen er påvirket, som er den mest alvorlige formen, eller kutan form, der kun huden er påvirket. Systemisk mastocytose er en sjelden tilstand, basert på anslag er trolig færre enn 500 voksne i Norge rammet. Systemisk mastocytose rammer nesten aldri barn, mens kutan mastocytose opptrer først og fremst hos barn (2,3).

### Dagens tilbud

Det finnes foreløpig ingen kurativ behandling av mastocytose, og dagens behandling har som formål å redusere symptomer og forbedre livskvalitet. Behandlingstilbud består hovedsakelig av antihistaminer, ved ytterligere behov kan okklusjonsbehandling med kortisonholdig krem og lysterapi benyttes. Ved systemisk mastocytose brukes det også mastcellestabilisatorer (natriumkromoglikat mikstur), leukotrienerantagonist, og benzodiazepiner. Ved alvorligere former kan det være behov for behandling med cytostatika og tyrosinkinasehemmer (imatinib) for reduksjon av antall mastceller (2, 3 og personlig kommunikasjon).

## Status for dokumentasjon

### Metodevurdering

- Metoden har ikke vært vurdert i Norge tidligere.
- Vi kjenner til en engelsk tidlig-vurdering fra 2013, men har ikke kjennskap til andre internasjonale systematiske oversikter eller metodevurderinger som omfatter metoden. Vi kan ikke utelukke at dette foreligger.

### Kliniske studier

Vi har identifisert fire relevante kliniske studier registrert i WHO [ICTRP](#), inkludert en randomisert kontrollert fase-III studie (NCT00814073 se tabell nedenfor) og to fase-II dose-responsstudier (se tabell nedenfor). Data fra fase-III studien foreligger (1), men er foreløpig ikke publisert. Det foreligger en publikasjon fra en eller begge fase-II studiene (uklart fra gjennomgått informasjon).

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer*	Forventet ferdig
Pasienter med diagnostisert systemisk og kutant mastocytose (N= 200)	Masitinib (AB1010) 6 mg/kg/day	Placebo	Behandlingsrespons ved uke 24; QoL C-30; respons i mastocytose variabler	<a href="#">NCT00814073</a>	Des 2018 Foreløpige data foreligger.
Pasienter med påvist mastocytose og funksjonshemmende symptomer (N= 25)	Masitinib 3 eller 6 mg / kg / dag i 12 uker	Ingen kontrollgruppe uten masitinib	Endring av kliniske symptomer fra baseline; QoL C-30; Bivirkninger	<a href="#">NCT00831974</a> og <a href="#">NCT01266369</a> (uklart for oss fra hvilken av disse to publikasjonen stammer )	Avsluttet, publiserte data foreligger (se <a href="#">pubmed/21108325</a> )

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

## Hvilke aspekter er relevante for en metodevurdering

Klinisk effekt	<input checked="" type="checkbox"/>	Mastocytose kan gi betydelig nedsatt funksjonsevne og livskvalitet, men påvirker i liten grad dødelighet (1,2,3).
Sikkerhet/bivirkninger	<input checked="" type="checkbox"/>	Bivirkninger er vanlige, alvorlige bivirkninger er antatt å kunne forekomme (se dose-responsstudie)
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 checked="" type="checkbox"/>	Kommentar Folkehelseinstituttet: Det er registrert flere studier med bruk av masitinib til ulike andre indikasjoner (se <a href="#">ICTRP</a> registeret).

## Hva slags metodevurdering er aktuell

Hurtig metodevurdering	<input checked="" type="checkbox"/>
Fullstendig metodevurdering	<input type="checkbox"/>

## Hovedkilder til informasjon

1. [Specialist Pharmacy Service, UK Masitinib \(oppdatert oktober 2016\)](#)
2. National Horizon Scanning and Intelligence Centre, UK [Masitinib for mastocytosis – second or subsequent line April 2013](#)
3. [Senter for sjeldnediagnose, Systemisk mastocytose](#)

Se under arkfanen [mer om oss](#) for mer informasjon om prosess og prosedyre for metodevarslng.

Første varsel Tittel med lenke til engelsk tidlig-vurdering (2) publisert i MedNytt i september 2013  
Siste oppdatering 04.11.2016 Norsk metodevarsel, alle lenker sjekket