

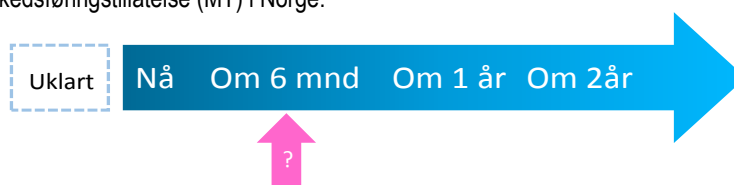


Tocilizumab (RoActemra) til behandling av barneleddgikt

Type metode: Legemiddel;
Område: Barn og Unge, Muskel og skjelett
Virkestoffnavn: tocilizumab
Handelsnavn: RoActemra
ATC-kode: L04AC07 (interleukin hemmere)
MT søker/innehaver: Roche Registration GmbH (1)
Finansieringsansvar: Spesialisthelsetjenesten

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden omfatter en indikasjonsutvidelse til barn fra ett år. Metoden har foreløpig ikke MT i Norge, EU og USA, men fikk positivt opinion hos det Europeiske Legemiddelbyrået (EMA) i september 2018 (1).

Beskrivelse av den nye metoden

RoActemra inneholder virkestoffet tocilizumab, en biologisk medisin som består av et humanisert rekombinant monoklonalt antistoff. Antistoffet hemmer interaksjoner mellom et spesifikt signaliseringsprotein (cytokin), som kalles interleukin-6 (IL-6), og dets reseptor (IL-6R). IL-6/IL-6R interaksjoner er involvert i kroppens betennelsesprosesser og ved å blokkere disse interaksjonene kan betennelsen (inflammasjonen) i kroppen reduseres. RoActemra har norsk markedsføringstillatelse for behandling av reumatoid artritt (RA), aktiv systemisk juvenil idiopatisk artritt (sJIA) hos barn to år og oppover. – også kalt Stills sykdom), polyartikulær juvenil idiopatisk artritt (pJIA) hos barn 2 år og oppover og behandling av voksne og barn med alvorlig eller livstruende cytokinfrigjøringsyndrom (CRS) som er en bivirkning hos pasienter behandlet med kimær antigenreseptor (CAR) T-celleterapi. Indikasjonsutvidelsen innebærer behandling av barn fra ett til sytten år med aktiv sJIA som ikke har respondert tilstrekkelig til tidligere behandling. Legemidlet (162mg injeksjonsvæske) administreres som injeksjon under huden (subkutant) ved bruk av ferdigfylt penn (ACTPen). Behandling kan brukes alene (monoterapi) eller i kombinasjon med methotrexate (MTX) (1).

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Aktiv systemisk juvenil idiopatisk artritt (sJIA), en form for barneleddgikt, er en kronisk sykdom som forårsaker betennelse i ett eller flere ledd (artritt), og hvor sykdommen starter før fylte 16 år. Her i Norge oppdages sykdommen hos omtrent 140 barn hvert år. Totalt har ca. 100 barn i en befolkning på 100.000 barneleddgikt. Det er to ganger flere jenter enn gutter som rammes av sykdommen. sJIA utgjør 5-10% av barneleddgikt former og angriper ikke bare ledd, men også andre organer som hjerte, lever, lunger og lymfeknuter (2)

Dagens behandling

Det finnes en rekke medisiner og øvelser som kan brukes. Medisinene omfatter både betennelsesdempende midler, smertestillende medisiner, kortison og cellegifter. Den medikamentelle behandlingen har gjennomgått store endringer de senere årene med sterkt forbedrede muligheter til å gi kontinuerlig god eller fullstendig sykdomskontroll. Særlig gjelder det en ny type legemidler som betegnes biologiske medisiner f.eks tocilizumab. Hvilken behandling som er den beste, varierer fra tilfelle til tilfelle. Fysioterapi og ergoterapi er viktig, og kan forhindre eller bremse funksjonsnedsettelsen (2).

Status for dokumentasjon

Metodevurderinger eller systematiske oversikter -norske

Vi har identifisert en norsk metodevurdering om virkestoffet, men med en annen indikasjon/andre indikasjoner (se Nye metoder [ID2017_023](#) Tocilizumab (RoActemra)).

Vi har identifisert en norsk metodevurdering om indikasjonen, men med et annet virkestoff/andre virkestoffer (se Nye metoder [ID2017_063](#) Anakinra (Kineret)).

Metodevurdering eller systematiske oversikter -internasjonale

Det foreligger minst en relevant internasjonal metodevurdering eller systematisk oversikt (3,4)

Metodevarsler

Ingen relevante metodevarsler for barn fra ett år og eldre.

Det foreligger minst ett internasjonalt metodevarsel for barn over 2 år (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
Multi-senter, åpen studie (n=52) Barn 1-17 år	tocilizumab (RoActemra) subkutant	Ingen	Sikkerhet, farmakokinetikk farmakodynamikk	NCT01904292 (fase 1)	Avsluttet 13. juni 2017** (**Studien er basis for indikasjons-utvidelsen)
multi-senter, åpen studie (n=11) barn <2 år med aktiv sJIA	tocilizumab (RoActemra) intravenøst	Ingen	Sikkerhet, farmakokinetikk	NCT01455701 (fase 1)	Avsluttet 13. juli 2017** (**Samme aldersgruppe men administrert intravenøst)

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

Klinisk effekt relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	Indikasjonsutvidelse til barn 1 år – 17 år i stedet for 2 -17 år, i tillegg til subkutan administrasjon.
Sikkerhet relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	
Kostnader/ressursbruk	<input checked="" type="checkbox"/>	
Kostnadseffektivitet	<input checked="" type="checkbox"/>	
Organisatoriske konsekvenser	<input checked="" 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. RoActemra, pending EU decision. EMA [Oppdatert 20. september 2018]. Tilgjengelig fra https://www.ema.europa.eu/documents/smop/chmp-post-authorisation-summary-positive-opinion-roactemra-ii-76_en.pdf [Hentet 27. oktober 2018]
2. Bameleddgikt – systemisk type. Norsk Helseinformatikk [Oppdatert 24. november 2011]. Tilgjengelig fra <https://nhi.no/sykdommer/barn/bein-og-ledd/bameleddgikt-systemisk/> [Hentet 27. oktober 2018].
3. Shepherd J, Cooper K, Harris P, Picot J, Rose M. The clinical effectiveness and cost-effectiveness of abatacept, adalimumab, etanercept and tocilizumab for treating juvenile idiopathic arthritis: a systematic review and economic evaluation. Health Technol Assess 2016;20(34)
4. Tocilizumab for the treatment of systemic juvenile idiopathic arthritis. Technology appraisal guidance [TA238]. [London]: National Institute for Health and Care Excellence. [Publisert 14. desember 2011] Tilgjengelig fra <https://www.nice.org.uk/guidance/ta238> [Hentet 27. oktober 2018]
5. Subcutaneous tocilizumab (RoActemra) with or without methotrexate for the treatment of inadequate responders in juvenile idiopathic arthritis (Evidence Briefing). Newcastle upon Tyne: National Institute for Health Research Innovation Observator. NICE ID: 7923 [Publisert november 2017]. Tilgjengelig fra <http://www.io.nihr.ac.uk/wp-content/uploads/2017/12/10891-Tocilizumab-for-Juvenile-Idiopathic-Arthritis.pdf> [Hentet 27. oktober 2018].

Dato for første publisering 12.11.2018
Siste oppdatering 12.11.2018