

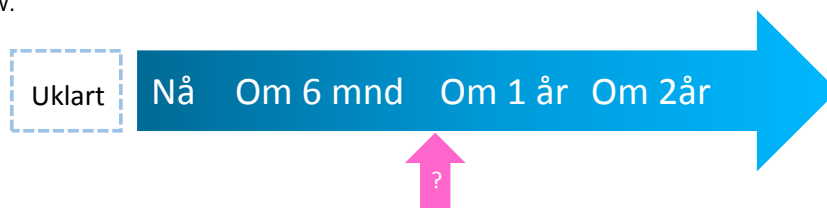
1014 Panobinostat (Farydak) i behandling av tilbakevendende eller refraktær myelomatose (multipel myeloma)

Legemiddel, behandling, hud, kreft, spesialisthelsetjenesten

Panobinostat/ Farydak/- (Novartis)

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv:



Produsenten ([Novartis](#)) har søkt om markedsføringstillatelse i EU i behandling av tilbakevendende eller refraktær myelomatose (multipel myeloma) (dette varselet). Panobinostat undersøkes også for effekt hos pasienter med Hodgkin's lymfom, akutt myloid leukemi, ikke-småcellet lungekreft, brystkreft og flere andre kreftformer.

Status for dokumentasjon

Metodevurdering

Metoden er ikke tidligere vurdert i Norge. Metoden er under vurdering gjennom [Nasjonalt system for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten](#) som hurtig metodevurdering (ID2014_040).

Vi identifiserte en engelsk «tidlig vurdering» publisert i 2012 (se kilde nedenfor).

Publisert forskning

Fagfellevurderte og publiserte resultater omfatter fase II studien PANORAMA-II (NCT01083602).

Registrerte og pågående studier

Fase II studien PANORAMA-II og fase III studiene PANORAMA-I pågår fortsatt. I studiene prøves panobinostat i kombinasjonsterapi med bortezomib + dexametason i behandling av pasienter med tilbakevendende multiple myelom som til tross for behandling. Resultater for total overlevelse (OS) foreligger ikke per dags dato

Intervensjon/kontrollgruppe (forventet antall deltagere)	Studienummer ¹	Forventet ferdigstilt
Panobinostat+bortezomib+dexametason/ placebo+bortezomib+dexametason (768) ²	NCT01023308	Mars 2015
Panobinostat+bortezomib+dexametason (55)	NCT01083602	Desember 2013

¹ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov, ²Studien er en randomisert kontrollert studie (RCT)

Beskrivelse av den nye metoden, aktuell pasientgruppe og dagens tilbud

Metoden

Panobinostat er en pan-deacetylase hemmer (DACi) med aktivitet mot histon deacetylase enzymer, som er en viktig komponent i signalveien til kreftceller. DACi er en ny klasse kreftlegemidler som er rettet mot epigenetiske endringer via modulering av genuttrykk. Panobinostat har flere forskjellige virkemekanismer som leder til anti-tumor effekter ved induksjon av celledød (apoptose), autofagi og differensiering, cellesyklus stopp, og hemming av tumor vaskularisering.

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

I 2012 ble det diagnostisert 383 nye tilfeller av myelomatose i Norge. Sykdommen har en litt høyere frekvens hos menn enn kvinner. Omtrent 15 % av pasientene er over 60 år og ca 25 % er i alderen 60-65 år. Mindre enn 2 % er under 40 år ved diagnosetidspunktet

Alvorlighetsgrad

I de fleste tilfeller er myelomatose fortsatt en uheldelig sykdom. Gjennomsnittlig overlevelse er 3-5 år. Enkelte pasienter kan leve 5-10 år med god livskvalitet med standard behandling.

Dagens tilbud

Dagens behandling har som mål å forlenge livet og øke pasientens livskvalitet. Valg av behandlingsmetode styres blant annet av pasientens alder og helsetilstand, tidligere behandlinger samt sykdommens utbredelse og komplikasjoner.

For pasienter under 65 år tilbys høydose kjemoterapi med autolog stamcellestøtte. Ettersom median alder for diagnose er 70 år, vil mange pasienter ikke tilbys denne type behandling. Aktuelle antimyelom-medikamenter som melfalan, prednisolon dexametason, bortezomib, cyklofosamid, thalidomid og lenalidomid i ulike kombinasjoner er aktuelt ved tilbakefall. Det er ingen kjent optimal rekkefølge for behandlingsregimene og praksis bygger hovedsakelig på skjønn, tradisjoner og lavere rangerte studier.

Forventet helsegevinst, risiko, kostnader og andre mulige egenskaper (ikke vurdert)

Klinisk effekt

Resultater fra fase I og fase II studier tyder på at kombinasjonen panobinostat+bortezomib+dexametason hos pasienter med relapserende eller refraktær myelomatose har god respons. I fase III studien ble det rapportert en signifikant progresjonsfri overlevelse mellom behandlingsarmene (10,2 måneder versus 7,5 måneder).

Risiko/bivirkninger

Effekt og sikkerhet av panobinostat i kombinasjon med bortezomib og dexametason er evaluert i en randomisert, dobbelblindet, placebokontrollert fase III studie. De vanligste ikke-hematologiske bivirkningene inkluderte diare, utmattelse, kvalme og oppkast. Hematologiske bivirkninger var mer vanlige i panobinostat-gruppen enn i placebo-gruppen, dette inkluderte bivirkninger som trombocytopeni, lymfopeni og nøytropeni.

Kostnader

Kostnadene av panobinostat er ikke kjent.

Andre konsekvenser

Det vil være behov for å oppdatere de nasjonale faglige retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av maligne blodsykdommer.

Metode for utforming av varsel og hovedkilder til informasjon

Varslet er basert på gjennomgang av utvalgte kilder, søk etter registrerte studier i [ICTRP](#) databasen og gjennomgang av produsentenes hjemmesider. Metoden er beskrevet under [Prosedyrer MedNytt](#). Vi har ikke gjennomført et systematisk litteratursøk og vi har ikke vurdert kvaliteten av dokumentasjonen.

Hovedkilder er:

1. [Panobinostat \(Faridak\) for relapsed or refractory multiple myeloma](#)
2. New drugs online: http://www.ukmi.nhs.uk/applications/ndo/record_view_open.asp?newDrugID=4922 (sjekket 16.12.2014)

Første varsel 08.10.2014

Siste oppdatering 16.12.2014

Metoden følges. Omtalen oppdateres etter behandling av hurtig metodevurdering (ID2014_040) i Beslutningsforum for Nasjonalt system for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten.