



Begelomab (Begedina) til behandling av steroidresistent graft-versus-host sykdom (GvHD) hos voksne pasienter som har gjennomgått allogene stamcelletransplantasjon

Kategori: Legemiddel

Bruksområde og fagområde: Spesialisthelsetjenesten; Kreft

Generisk navn: begelomab

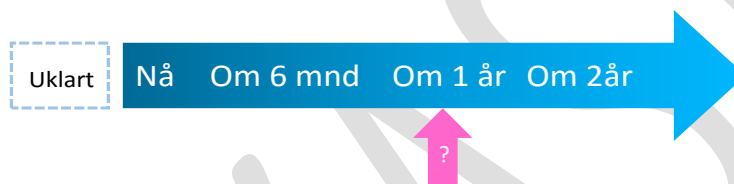
Produktnavn: Begedina

Produsent: Adienne S.A

Søke termer/synonymer: begelomab; Begedina; BT5/9; murine anti-CD26 BT5/9; SAND26; **Graft vs Host Reaction**; graft-versus-host-reaksjon; transplantat-mot-pasient-reaksjon; transplantat-mot-vert-reaksjon

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Søknad om MT i EU ble levert i september 2015 (1). Metoden har orphan-status i både USA og EU (2), det innebærer at metoden følger et godkjenningssløp tilpasset legemidler for behandling av sjeldne tilstander.

Forventet finansieringsordning

- Sykehus
- Blå resept
- Egenfinansiering
- Usikkert

Beskrivelse av den nye metoden

Begelomab er et nytt legemiddel og behandlingsprinsipp foreslått brukt ved steroidresistent graft-versus-host sykdom (GvHD) hos pasienter som nylig har fått transplantert stamceller. Begelomab er et monoklonalt antistoff mot T-cellemarkøren CD26. CD26-antigenet representerer en viktig signalbane for T-celleproliferasjon (celledeling/ekspansjon). Ved å binde CD26 hemmer begelomab T-celleproliferasjon, noe som igjen avverger en immunrespons mot pasientens vev. I studier er behandlingen gitt som infusjon i en periode på fem dager.

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Stamcelletransplantasjon er et behandlingsalternativ ved blodkreftsykdommer som leukemi, lymfom eller multiple myelomer. Ved allogene stamcelletransplantasjon får den syke stamceller fra en frisk og vevsforlikelig giver. Stamcellene injiseres i blodet, og starter produksjon av friske celler i beinmargen. Hvis donorcellene (graft) gjenkjenner pasientens vev (host) som fremmed kan en avstøtning forekomme. En graft-versus-host-reaksjon kan skade ethvert organ i kroppen, vanligvis huden (utslett, likner på solbrenthet), fordøyelseskanalen (munnsår, magesmerter, diare, kvalme eller brekninger), leveren (gulsott), lungene (blokkerte luftveier) eller øynene (irritasjon og lysømfintlighet). Det kan føre til en kronisk ustabil tilstand på grunn av organskade eller infeksjoner og kan være livstruende. Behandlingen forebygges ved å gi immundempende medikamenter til pasienten de første 3-6 månedene etter transplantasjonen.

Metoden er aktuell for en liten undergruppe pasienter med GvHD etter allogene stamcelleterapi som ikke responderer på immundempende behandling med kortikosteroide. Antall pasienter som fikk stamcelleterapi i femårsperioden 2007-2012 ved Oslo Universitetssykehus var 55 per år. Omtrent halvparten av disse utviklet akutt GvHD (3). I følge et engelsk metodevarsel kan pasientgrunnlaget være ca 10-12 % av pasienter med GvHD (1).

Dagens tilbud

Dagens behandling består av kortikosteroider (2), men for pasienter som ikke responderer på dette foreligger ingen effektiv behandling. Metoden vil, dersom den får markedsføringstillatelse, bli det første legemidlet med indikasjon for denne pasientgruppen.

Status for dokumentasjon

Metodevurdering

Metoden er ikke tidligere vurdert i Norge. Vi kjenner ikke til utenlandske metodevurderinger eller systematiske oversikter. Vi fant et engelsk metodevarsel (1).

Kliniske studier

Kliniske studier omfatter en pågående faseII/III studie (se tabell under).

| Populasjon (N =antall deltagere) | Intervensjon | Kontrollgruppe | Hovedutfall | Studienummer* | Forventet ferdig |
|---|----------------------------------|--|---|--|------------------|
| Voksne (18-65år) med GvHD etter gjennomgått allogen stamcellebehandling (184) | Begelomab infusjoner i fem dager | Konvensjonell andrelinjeterapi – Ingen anbefaling for effektiv behandling foreligger | Total responsrate (komplett + partiell respons); Transplantat relatert dødelighet; Bivirkninger | NCT02411084 ** FaseII/III | August 2018 |

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov**Studien er en randomisert kontrollert studie (RCT). Vi kjenner ikke til fagfelleverderte publikasjoner eller om det foreligger andre relevante studier, men kan ikke utelukke dette.

Hvilke aspekter er relevante for en metodevurdering

| | | |
|------------------------------|-------------------------------------|--|
| Klinisk effekt | <input checked="" type="checkbox"/> | Det finnes ingen effektiv behandling for tilstanden. Få pasienter med en alvorlig tilstand. Nytt behandlingsprinsipp. Metoden påvirker anbefalinger i nasjonale retningslinjer (3) |
| 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 checked="" type="checkbox"/> | |

Hva slags metodevurdering er aktuell

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

Hovedkilder til informasjon

Hovedkilder for metodevarselet er:

1. Metoden er omtalt på [European Medicines Agency](#) sine sider.
2. New Drugs Online - [begelomab](#)
3. [Husøy mfl. Allogen stamcelletransplantasjon hos voksne 1985 – 2012 Tidsskr for Nor Legefor 2014; 134:1569-75](#)
4. [Nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk behandling og oppfølging av maligne blodsykdommer](#)

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

Første varsel 17.06.2016

Siste oppdatering 17.06.2016 –alle lenker sjekket