



Pacritinib til behandling av pasienter med myelofibrose

Kategori: Legemiddel

Bruksområde og fagområde: Spesialisthelsetjenesten; Blod; Kreft; Muskel og skjelett

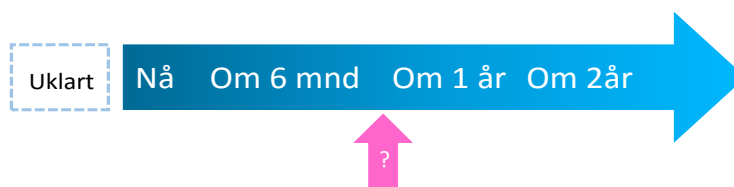
Generisk navn: pacritinib

Produsent: Baxalta Innovations GmbH

Søkestermer/synonymer: pacritinib; SB1518; **Myelofibrosis**; Kronisk idiopatisk myelofibrose; Myelofibrose; Myelosklerose; Myeloid metaplasia; primær; post-polycytemia vera; post-essensiell trombocytomi

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden har foreløpig ikke MT, men er under vurdering av Det europeiske legemiddelbyrået (EMA) og FDA i USA (1).

Forventet finansieringsordning

Sykehus	<input checked="" type="checkbox"/>	Anbefalt overført til RHF
Blå resept	<input type="checkbox"/>	
Egenfinansiering	<input type="checkbox"/>	
Usikkert	<input type="checkbox"/>	

Beskrivelse av den nye metoden

Pacritinib er en ny Janus kinase 2- og fms-lignende reseptor tyrosin kinase 3 (JAK2/FLT3) -hemmer formulert som orale kapsler. Pacritinib er antatt å virke ved å dempe effekten av mutasjoner i JAK2-genet. Forventet indikasjon er: behandling av forstørret milt (splenomegali) og andre symptomer hos voksne pasienter med myelofibrose (MF), både primær MF og MF sekundært til polycytemia vera (PV) og essensiell trombocytomi (ET) (1,2).

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

MF er en alvorlig og malign sykdom hvor beinmargen gradvis erstattes av bindevev og mister evnen til å danne blodceller. Samtidig begynner stamceller å danne blodceller utenfor beinmargen. Symptomer omfatter blant annet utmattelse, blødninger og forstørret milt. Sykdommen oppstår i en pluripotent hematopoietisk stamcelle (morcellen), og gir en uregulert økning i antallet erythrocytter, leukocyter eller blodplater, alene eller i kombinasjon. Hos omtrent halvparten av pasientene finnes en genfeil (JAK2-mutasjon) som fører til at morcellen blir overaktiv. MF klassifiseres som: primær MF, MF oppstått etter PV (post-PV) og MF oppstått etter ET (post-ET). Transformasjon til akutt myelogen leukemi kan også oppstå (2,3).

MF er en sjelden tilstand, om lag 0,75 rammes per 100.000. Gjennomsnittlig diagnosetidspunkt er mellom 50 og 70 år. Forventet overlevelse ved PV og ET er generelt gode, men ved transformasjon til MF er den adskillig kortere, men varierer. Median overlevelse ved MF har blitt estimert til 5 år (3).

Dagens tilbud

Når det er behov for medikamentell behandling for PMF, MF etter PV og MF etter ET, velges ofte hydroksyurea først, deretter interferon-alfa. I henhold til nasjonalt handlingsprogram for maligne blodsykdommer er Jakvi et alternativ som deretter kan forsøkes (3). Eneste kurative behandling er hematopoietisk stamcelletransplantasjon (HSCT), men dette kan bare gis til pasienter som tåler en slik behandling.

Status for dokumentasjon

Metodevurdering

- Metoden har ikke tidligere vært vurdert i Norge.
- Vi har identifisert en engelsk tidlig-vurdering fra 2014 (2)

Kliniske studier

De viktigste studiene for å vurdere metoden (1) er antatt å være to randomiserte kontrollerte fase III-studier (se tabell nedenfor). Vi kjenner ikke til fagfelleverderte publikasjoner fra studiene.

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer*	Forventet ferdig
Pasienter med intermedier eller høy risiko myelofibrose (N=327)	Pacritinib 400 mg en gang daglig	BAT (Best Available Therapy)	≥35 % reduksjon i miltvolum (SVR)	NCT01773187	Jan 2018 Data foreligger
Pasienter med trombocytose (N=300)	Pacritinib 400mg en gang daglig eller 200mg to ganger daglig	BAT (Best Available Therapy)	≥35 % reduksjon i miltvolum (SVR)	NCT02055781	Aug 2019 Data foreligger

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

Hvilke aspekter er relevante for en metodevurdering

Klinisk effekt	<input checked="" type="checkbox"/>	Potensielt symptomdempende effekt
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 er aktuell

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

Hovedkilder til informasjon

1. Specialist Pharmacy Service, UK [Pacritinib](#) (oppdatert juli 2016)
2. The National Horizon Scanning and Intelligence Centre, UK [Pacritinib for myelofibrosis](#) Feb 2014
3. Helsedirektoratet [Nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av maligne blodsykdommer](#) (2016)

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

Første varsel Norsk tittel med lenke til engelsk tidlig-vurdering (2) ble publisert i MedNytt i april 2014
Siste oppdatering 30.11.2016