



Ropeginterferon alfa 2b til behandling av polycytemia vera

Kategori i MedNytt: Legemiddel

Område i MedNytt: Kreft; Blod

Generisk navn: ropeginterferon alfa 2b

Handelsnavn:

MT søker/innehaver: AOP Orphan Pharmaceuticals AG (1)

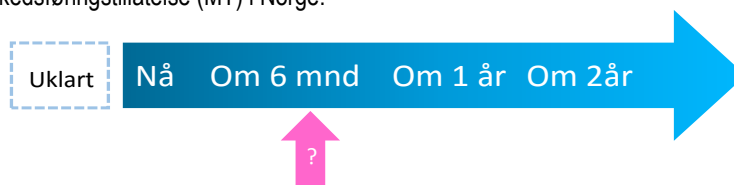
Synonymer virkestoff: ropeginterferon alfa 2b; Peg-P-IFN-alpha-2b; AOP2014; P1101

Synonymer indikasjon: ENG: Primary Polycythemia; Polycythemia Rubra Vera; Polycythemia Rubra Vera; Osler-Vaquez Disease; Erythremia. NO:

Polycythaemia vera; Polycythaemia rubra vera; Polycythemia vera; Polycythemia rubra vera

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden omfatter et nytt virkestoff. Metoden har foreløpig ikke MT i Norge, EU eller i USA, men er under vurdering hos det Europeiske legemiddelbyrået (EMA). Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) i EU (1,2)

Forventet finansieringsordning

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

Beskrivelse av den nye metoden

Ropeginterferon alfa 2b er et monopegylert, langtidsvirkende, rekombinant interferon alfa. Interferoner er en gruppe cytokiner med antivirale, immunmodulerende og celleveksthemmende egenskaper. Bindingen av interferon alfa til type I interferonreseptorer aktiverer Janus kinase (JAK) signalkaskader som regulerer transkripsjonen av en rekke gener. Virkningen av interferon på myeloproliferative sykdommer som polycytemia vera skyldes sannsynligvis påvirkning på gener som hemmer celleveksten til hematopoetiske forløperceller (3). Ropeginterferon alfa 2b søkes brukt som førstelinjebehandling av polycytemia vera og antas administrert annenhver uke som subkutan injeksjon i ferdigfylte penner.

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Polycytemia vera (PV) er en malign myeloproliferativ neoplasie som forårsaker overproduksjon av erytrocytter, men også økt produksjon av hvite celler (myeloide) og blodplater (megakaryocytt). Konsekvensene av dette er hyperviskositet, redusert blodstrøm, forhøyet blodtrykk og tromboser. Sykdommen er oftest lite aggressiv, men pasientene har økt risiko for overgang til mer maligne neoplasier. PV påvises blant annet ved funn av høye nivåer av hemoglobin og hematokrit (erytrocyttvolumfraksjon), beinmargsbiopsi som viser hypercellularitet i forhold til alder, og ved påvisning av mutasjon (i hovedsak V617F) i genet for JAK2 (4). Årlig insidens i Norge er mellom 1:50 000 og 1:200 000. De fleste tilfellene opptrer hos middelaldrende eller eldre pasienter, medianalder er 60 år, men tilstanden kan forekomme i alle aldersgrupper (4).

Dagens behandling

Behandlingsmålet for PV er å redusere risikoen for trombotiske- og blødningskomplikasjoner, redusere symptomer, samt å minimalisere risikoen for senere overgang i akutt myelogen leukemi og beinmargsfibrose. Venesection (innsnitt i vene for å kunne tappe blod) anbefales for å holde hematokrit <45 % og acetylsalisylsyre anbefales for å unngå trombose med mindre det foreligger kontraindikasjoner. Cytoreduksjon kan også være aktuelt. Hydroksyurea er det best dokumenterte medikamentvalget, men anbefales ikke til pasienter <60-65 år. Hos pasienter <60-65 år anbefales interferon alfa som førstelinjebehandling. Ruxolitinib (selektiv JAK1/2 hemmer) er godkjent til behandling av PV som er resistent mot eller intolerant overfor hydroksyurea. Hemmere av JAK2 tyrosinkinase er aktuelt hos pasienter som har en myelofibrotisk komponent eller ved persisterende symptomgivende splenomegali. Busulfan (cytostatikum) kan anvendes, men gir økt risiko

for sekundær akutt myelogen leukemi etter tidligere behandling med hydroksyurea. Anagrelid (syklisk AMP fosfodiesterase III-hemmer) har kun effekt på trombocytose og må oftest anvendes i kombinasjon med andre medikamenter (4, 5).

Status for dokumentasjon

Metodevurderinger eller systematiske oversikter – norske

Ingen relevante identifisert.

Metodevurdering eller systematiske oversikter - internasjonale

Ingen relevante identifisert.

Metodevarsler

Det foreligger minst ett internasjonalt metodevarsel (1).

Klinisk forskning

De antatt viktigste studiene for vurdering av metoden er vist i tabellen under:

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer* og fase	Forventet ferdig
N=170	Ropeginterferon alfa 2b	Beste tilgjengelige terapi	Sykdomsrespons (hver 3. måned)	NCT02218047 (fase III)	Juni 2019
N=257	Ropeginterferon alfa 2b som subkutan injeksjon hver annen uke	Hydroksyurea som daglig peroral behandling	Sykdomsrespons	NCT01949805 (fase III)	Avsluttet
N=30	Ropeginterferon alfa 2b som subkutan injeksjon fra ferdigfylt sprøyte	-	Evaluering av selvadministrering	NCT02523638 (fase III)	Avsluttet

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

Hvilke aspekter kan være relevante for en metodevurdering

Klinisk effekt	<input checked="" type="checkbox"/>
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 kan være aktuell

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

Hovedkilder til informasjon

1. Ropeginterferon alfa-2b: Polycythemia vera - first-line. (30.03.2017). [London]: Specialist Pharmacy Service, NHS. Hentet 27.06.2017 fra <https://www.sps.nhs.uk/medicines/ropeginterferon-alfa-2b/>
2. European Medicines Agency, Committee for medicinal products for human use (CHMP), Minutes of the meeting on 20-23 February 2017. Hentet 11.10.2017 fra http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Minutes/2017/04/WC500225884.pdf
3. Interferon alfa-2, peginterferon alfa-2 (revidert 03.10.2017). Norsk legemiddelhandbok. Hentet 11.10.2017 fra <http://legemiddelhandboka.no/Legemidler/77708>
4. Polycythemia vera (revidert 11.04.2017). Norsk Elektronisk Legehåndbok. Hentet 18.08.2017 fra <https://legehandboka.no/handboken/kliniske-kapitler/blod/tilstander-og-sykdommer/ulike-sykdommer/polycythemia-vera/>
5. Nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av maligne blodsykdommer (2016). (Nasjonale faglige retningslinjer IS-2542). Oslo: Helsedirektoratet. Hentet 11.10.2017 fra <https://helsedirektoratet.no/retningslinjer/nasjonalt-handlingsprogram-med-retningslinjer-for-diagnostikk-behandling-og-oppfolging-av-maligne-blodsykdommer>

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

Første varsel Utkast fra legemiddelverket 09.10.2017

Siste oppdatering 11.10.2017