



Vestronidase alfa til behandling av mukopolysakkaridose VII (Slys sykdom)

Kategori i MedNytt: Legemiddel

Område i MedNytt: Sjeldne diagnoser

Generisk navn: vestronidase alfa

Handelsnavn:

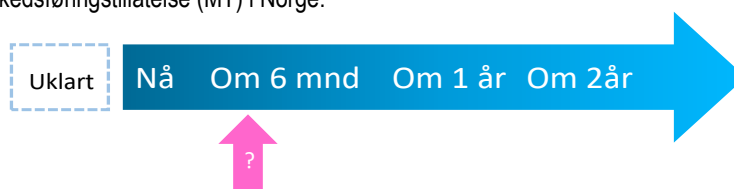
MT søker/innehaver: Ultragenyx (1)

Synonymer virkestoff: UX 003; rhGUS; recombinant human beta glucuronidase

Synonymer indikasjon: Mukopolysakkaridose VII; Slys sykdom; Slys syndrome; beta-glukuronidase-mangel

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 og USA(1).

Forventet finansieringsordning

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

Beskrivelse av den nye metoden

Metoden omfatter enzymerstatningsterapi til behandling av Mukopolysakkaridose type VII (MPS VII, Slys sykdom) (3). Behandlingen er kontinuerlig og livslang. Vestronidase alfa administreres som intravenøs infusjon.

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

MPS VII er en genetisk lidelse karakterisert ved mangel på enzymet beta-glukuronidase, noe som fører til manglende nedbrytning av mucopolysakkarider og progressiv akkumulering av giftige glykolipider i forskjellige vev og organer. Sykdommen har mange ulike symptomer slik som veksthemming etter fødselen, spesielle ansiktstrekk, stor lever og milt, uklårheter i hornhinnen (især i alvorlige tilfeller), forandringer ved hjerteklaffene, stort hode, vannhode, lyskebrokk og kontrakturer av ledd. Fosterdød og tidlig død i barndommen forekommer hyppig. Sykdommen er svært sjelden og forekomsten oppgis å være omlag 0,1 per 100.000 i befolkningen (1-3).

Dagens behandling

Tidligere har det ikke vært noen godkjent behandling for tilstanden. Pasientene mottar symptomatisk behandling (4).

Status for dokumentasjon

Metodevurderinger eller systematiske oversikter -norske

- Ingen relevante identifisert

Metodevurdering eller systematiske oversikter -internasjonale

- Ingen relevante identifisert

Metodevarsler

Det foreligger flere internasjonale metodevarsler (1,3).

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
Pasienter med MPS VII med bekreftet diagnose. (N=20)	Vestronidase alfa (4 mg/kg) annenhver uke.	Ingen	Forekomst av bivirkninger	NCT02432144 Fase III	Desember 2018
Pasienter med MPS VII med bekreftet diagnose.(N=12)	Vestronidase alfa (4 mg/kg) annenhver uke 4 armer med ulike oppstartstidspunkter: A: oppstart uke 1 B: oppstart uke 8 C: oppstart uke 16. D: oppstart uke 24	Frem til oppstart med vestronidase fikk pasientene placebobehandling	Symptomatisk individuell respons	NCT02230566 fase III	Avsluttet mai 2016

*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 checked="" type="checkbox"/>	Særsilt liten pasientgruppe med høy alvorlighet.

Hva slags metodevurdering kan være aktuell

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

Hovedkilder til informasjon

- (1) Specialist Pharmacy Service, NHS. Hentet 20.10.2017 fra: <https://www.sps.nhs.uk/medicines/vestronidase-alfa/>
- (2) Senter for sjeldne sykdommer FRAMBU. Hentet 23.10.2017 fra: <http://www.frambu.no/hovedmeny/diagnoser/slys-sykdom-mps-vii/beskrivelse-av-diagnosen/9e58aa97-4662-4913-8df5-7da5ca1eddf8>
- (3) *Vestronidase alfa (UX-003) for mucopolysaccharidosis type VII (MPS 7; Sly syndrome)*. (2017). (NIHRIO (HSRIC) ID: 11463). Newcastle: NIHR Innovation Observatory. Hentet 23.10.2017 fra <http://www.io.nihr.ac.uk/topics/vestronidase-alfa-ux-003-for-mucopolysaccharidosis-type-vii-mps-7-sly-syndrome/>
- (4) Uptodate.com Hentet 23.10.2017 fra: https://www.uptodate.com/contents/mucopolysaccharidoses-treatment?source=search_result&search=Mucopolysaccharidosis%20VII&selectedTitle=2-6#H2160263086

Se [Mer om MedNytt](#) for informasjon om prosess og prosedyre for metodevarsling.

Første varsel 01.11.2017 Utkast fra Legemiddelverket

Siste oppdatering 09.11.2017