

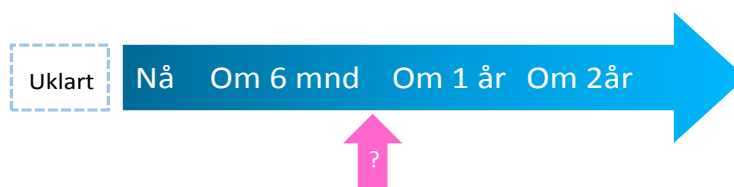


Masitinib til behandling av amyotrofisk lateral sklerose (ALS)

Type metode: Legemiddel
 Område i MedNytt: Muskel og skjelett; Neurologi
 Generisk navn: Masitinib
 Produsent: AB Science (1)

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden omfatter en indikasjonsutvidelse. 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) (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

Masitinib er en tyrosin kinase-hemmer (TKI), som utøver effekt gjennom å hemme kolonistimulerende faktor 1 reseptor (CSF1R) på glialceller, og på denne måten hemme proliferasjon av glialceller, inkludert avvikende mikroglialceller som er sterkt assosiert med motornevrond degenerering. En sekundær virkningsmekanisme er at masitinib nedregulerer inflammasjon i glialceller gjennom hemming av c-Kit/SCF- og LYN/FYN-signalveiene. Masitinib i kombinasjon med riluzol har søkt indikasjon til behandling av voksne pasienter med amyotrofisk lateral sklerose (ALS), er formulert som tablett og tas peroralt.

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Amyotrofisk lateral sklerose (ALS) er en sykdom som fører til muskelsvinn fordi nervecellene som sender signaler fra hjernen til musklene blir ødelagt. Dette fører til at musklene som mister sin nerveforsyning blir gradvis svakere og tynnere. De første symptomene manifesterer seg vanligvis ved svekkelse i en arm, et ben eller som utydelig tale. Derfra vil symptomene forverres, og pasienter med ALS vil etter hvert få problemer med å gå og det kan bli vanskelig å bruke armene. Musklene i svelget kan lammes, som fører til vansker med å svelge mat og drikke (2). Kun de viljestyrte musklene rammes, noe som fører til at intellekt, hjertemuskelatur, øyemuskelatur, blærefunksjon og tarmfunksjon ikke blir påvirket av sykdommen (3).

Sykdommen forekommer oftest hos personer i alderen 40-70 år, og opptrer oftere hos menn enn hos kvinner. Det oppstår ca 1-2 tilfeller pr 100 000 innbygger hvert år, og i Norge er det ca 300-400 pasienter med diagnose ALS til enhver tid (4). Om lag 5-10 % av pasientene er i live etter 10 år men de fleste pasienter med ALS dør av luftveisinfeksjoner og sviktende lungefunksjon (4).

Dagens tilbud

Eneste tilgjengelige legemiddelbehandling mot ALS er riluzol, som er dokumentert å kunne forsinke tiden fra diagnose til død med ca. 6 måneder dersom behandling startes tidlig i forløpet (5).

Status for dokumentasjon

Norsk metodevurdering

Metodevurdering av masitinib til behandling av mastocytose ble bestilt av Bestillerforum 12.12.2016 (se Nye metoder [ID2016_088](#)). I etterkant har legemidlet fått negativ anbefaling av EMA til denne indikasjonen (6).

Vi har identifisert en norsk metodevurdering om indikasjonen, men med et annet virkestoff/andre virkestoffer (se Nye metoder [ID2017_089](#)).

Registrerte og pågående studier

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer*	Forventet ferdig
Voksne pasienter med familiær eller sporadisk ALS på en stabil riluzol-dose (100 mg/dag de siste 30 dager (N = 394)	Masitinib 3 mg/kg/dag + riluzol Masitinib 4,5 mg/kg/dag + riluzol	Placebo + riluzol	Endring i ALSFRS-R (funksjonsskala) fra baseline til uke 48	NCT02588677 Fase II/III	Avsluttet mars 2017

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

Hvilke aspekter er 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 er aktuell

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

Hovedkilder til informasjon

Hovedkilder for metodevarselet er:

1. Specialist Pharmacy Service – [Masitinib](#) (oppdatert mars, 2018)
2. Helsenorge.no – [ALS – muskelsvinnsykdom](#) (oppdatert juni, 2017)
3. Kunnskapssenteret - [Forskning om Amyotrofisk lateral sklerose \(ALS\) - en gjennomgang og oppsummering om behandling, tilrettelegging/hjelpemidler \(f.eks pustemaskin, bi-pap\) og etiske utfordringer](#) (november, 2014)
4. Norsk Elektronisk Legehåndbok – [Amyotrofisk lateral sklerose ALS](#) (oppdatert oktober, 2017)
5. Norsk legemiddelhandbok – [T6.6 Amyotrofisk lateralsklerose](#) (april, 2016)
6. EMA; Refusal of the marketing authorisation for Masipro (masitinib); Hentet 27.03.18 fra: http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Summary_of_opinion_-_Initial_authorisation/human/004159/WC500228053.pdf

Første varsel 20.02.2017

Siste oppdatering 27.03.2018 (finansiering overført fra Folketrygd til sykehus)

Om metodevarslingsfunksjonen

Folkehelseinstituttet har i samarbeid med Statens legemiddelverk ansvar for den nasjonale funksjonen for metodevarsling. Metodevarsling skal sikre at nye og viktige metoder for norsk helsetjeneste blir identifisert og prioritert for metodevurdering. Et metodevarsel er ingen vurdering av metoden. Statens legemiddelverk har ansvar for informasjonen gitt i metodevarsler om legemidler. MedNytt er Folkehelseinstituttets publiseringsplattform for metodevarsler. For mer informasjon om identifikasjon av metoder, produksjon av metodevarsler og hvordan disse brukes, se [Om MedNytt](#).