



Macimorelin til bruk ved diagnostisering av veksthormonmangel hos voksne

Type metode: Legemiddel; Diagnostikk

Område: Endokrinologi

Virkestoffnavn: Macimorelin

Handelsnavn:

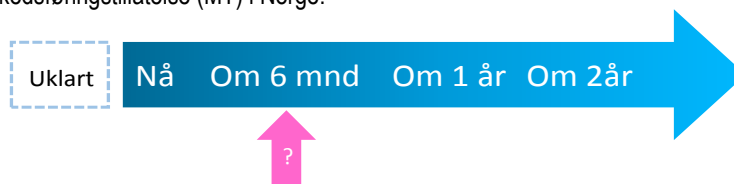
ATC-kode: V04CD06

MT søker/innehaver: Aeterna Zentaris GmbH (1)

Finansieringsansvar: Spesialisthelsetjenesten

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden omfatter et nytt virkestoff. Metoden har foreløpig ikke MT i Norge eller EU, men er under vurdering hos det Europeiske Legemiddelbyrået (EMA). Metoden er godkjent av Food and Drug Administration (FDA) og MT i USA (1).

Beskrivelse av den nye metoden

Macimorelin er en ghrelinagonist som stimulerer sekresjon av veksthormon fra hypofysen. Antatt indikasjon er som diagnostisk verktøy for å påvise veksthormonmangel hos voksne (AGHD). Etter oral administrasjon av macomorelin måles mengde veksthormon i blodet. Nedsatt evne til produksjon av veksthormon gjenspeiles av at macimorelin ikke gir den forventede økningen av veksthormon i blodet. Macimorelin administreres peroralt(1).

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Veksthormonmangel er en sykdom som skyldes at pasienten produserer mindre veksthormon enn normalt. Veksthormon blir dannet i hypofysen og virker inn på stoffskiftet, muskler, sinnsstemning og lengdevekst. Både hos barn og voksne fører mangel på veksthormon til at de får nedsatt muskelmasse og økt mengde kroppsfett. Gradvis utvikler man muskelsvekkelse, nedsatt energi og i noen tilfeller en unormal tretthet. På litt lengre sikt kan sykdommen føre til tidlig åreforkalkning.

I sjeldne tilfeller er sykdommen medfødt, men det vanligste er utvikling i forbindelse med betennelse eller svulster nær hypofysen. Veksthormonmangel kan også oppstå etter strålebehandling av f.eks. blodkreft eller svulster i munnen og halsregionen(2).

Dagens behandling

Veksthormonmangel diagnostiseres ved at mengden av veksthormon måles i blodet etter en såkalt stimuleringsstest, som undersøker hypofysens evne til å avgi veksthormon. Det finnes flere ulike stimuleringsstester inkludert insulin toleranse test, men alle krever en hel rekke blodprøver som du må ta i løpet av 2-3 timer. De innebærer dessuten intravenøs behandling og er forbundet med en del bivirkninger (2, 3).

Status for dokumentasjon

Metodevurderinger eller systematiske oversikter -norske

- Ingen relevante identifisert

Metodevurdering eller systematiske oversikter -internasjonale

Det foreligger minst en relevant systematisk oversikt (3)

Metodevarsler

Det foreligger minst ett internasjonalt metodevarsel (1, 4)

Klinisk forskning

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

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Utfallsmål	Studienavn og nummer* (fase)	Tidsperspektiv resultater
Voksne (18-65 år) med mistenkt veksthormonmangel. Matchende friske kontrollpersoner (N= 157)	Test etter inntak macimorelin (0,5 mg/kg) som drikkbar væske Deretter test etter inntak av insulin (0,1 U/kg) som intravenøs injeksjon	Test etter inntak av insulin (0,1 U/kg) som intravenøs injeksjon Deretter test etter inntak av macimorelin (0,5 mg/kg) som drikkbar væske	Prosent positivt samsvar mellom testene etter inntak av macimorelin (macimorelin-GHST) og insulin (ITT) Tilsvarende prosent negativt samsvar	NCT02558829 (Fase III)	Avsluttet november 2016 Resultater foreligger
Voksne (over 18 år) med veksthormonmangel og matchede friske kontrollpersoner (N= 100)	Test etter inntak macimorelin (0,5 mg/kg) som drikkbar væske	L-arginine-GHRH som intravenøs bolusdose etterfulgt av 30 min infisjon av L-ARG veksthormon stimuleringsstest	Sensitivitet, spesifisitet og misklassifisering med macimorelin	NCT00448747 (Fase III)	Avsluttet juli 2011 Resultater foreligger

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

Klinisk effekt relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	Nytt prinsipp for diagnose av veksthormonmangel
Sikkerhet relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	Ny bivirkingsprofil
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"/>	Oral administrasjon

Hva slags metodevurdering kan være aktuell

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

Hovedkilder til informasjon

1. *Macimorelin: Macrilen - Growth hormone deficiency in adults (test)*. (01. februar 2018). Specialist Pharmacy Service, NHS. Hentet 09. april 2018, fra <https://www.sps.nhs.uk/medicines/macimorelin/>
2. *Veksthormonmangel*, Felleskatalogen. Hentet 29.04.2018 fra: <https://www.felleskatalogen.no/medisin/sykdom/mangel-veksthormon>
3. Hazem A, et al. (2011). *The accuracy of diagnostic tests for GH deficiency in adults: a systematic review and meta-analysis*. *Eur J Endocrinol.* 165(6), 841-849.
4. *Orientering om nyt lægemiddel: Macimorelin*. (30. januar 2018). (Horizon Scanning): København: Amgros

Dato for første publisering 14.05.2018
Siste oppdatering 14.05.2018