



Avacopan til behandling av granulomatøs polyangitt (Wegeners granulomatose, GPA) og mikroskopisk polyangitt (MPA)

Type metode: Legemiddel

Område: Hjerte og kar

Virkestoffnavn: Avacopan

Handelsnavn:

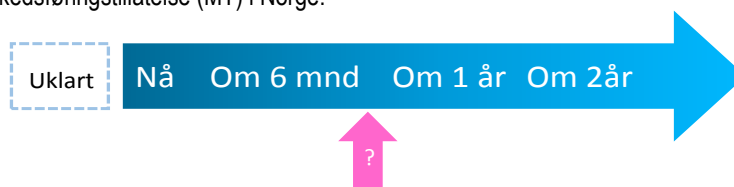
ATC-kode: Ikke tildelt

MT søker/innehaver: ChemoCentryx (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, EU eller i USA, men er under vurdering hos det Europeiske Legemiddelbyrået (EMA). Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) (2).

Beskrivelse av den nye metoden

Avacopan er en småmolekylær hemmer av komplement C5a reseptoren (C5aR) som fins på overflaten av en rekke ulike celler i immunsystemet. C5aR er en reseptor for proteiner i komplementsystemet, som er en del av det medfødte immunforsvaret. Ved å blokkere C5aR, bidrar avacopan til å redusere den betennelses-induserte skaden som kan oppstå ved enkelte autoimmune sykdommer, inkludert former for antistoff-assosiert vaskulitt (AAV) (3).

Det antas at avacopan vil bli brukt til behandling av granulomatøs polyangitt (GPA) og mikroskopisk polyangitt (MPA), som begge er former for AAV. Avacopan er formulert som kapsler og administreres peroralt.

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Granulomatøs polyangitt (Wegeners granulomatose, GPA) og mikroskopisk polyangitt (MPA) er to former for betennelse i blodårer (vaskulitt) som hovedsakelig påvirker lunger og nyrer, men av og til også andre organer. Vaskulitt kjennetegnes av at inflammatoriske celler infiltrerer veggene i blodkar og forårsaker nekrose. GPA har ofte en tidlig fase som kan vare i flere år med kroniske bihulebetennelser og ørebetennelser. Begge sykdommene er sjeldne, men alvorlige, med høy morbiditet og mortalitet behandlet (4). GPA har en forekomst på ca 0,5-0,8/100 000 per år som er økende, og en prevalens på 3/100 000 (5). Vi har ikke funnet tall for forekomsten av MPA i Norge.

Dagens behandling

Dagens behandling består av glukokortikoider (lavdose prednisolon ofte kombinert med intravenøs metylprednisolon ved høy sykdomsaktivitet) som oftest kombinert med immunsuppressiver slik som azatioprin, syklofosamid (peroralt eller intravenøst), metotreksat eller mykofenolatmofetil. Biologiske preparater er under utprøving (5).

Status for dokumentasjon

Metodevurderinger eller systematiske oversikter -norske

Ingen relevante identifisert.

Metodevurdering eller systematiske oversikter -internasjonale

Det er identifisert minst ett relevant pågående internasjonalt prosjekt (6).

Metodevarsler

Det foreligger et relevant norsk metodevarsel for indikasjonen, men med et annet virkestoff (7).

Det foreligger flere relevante internasjonale metodevarsler (3), (8).

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 pasienter med diagnostisert GPA, MPA eller renal begrenset vaskulitt (N=67)	To grupper: 1: Avacopan 30 mg 2 x daglig + rituximab eller syklofosfamid + lavdose prednison 2: Avacopan 30 mg 2 x daglig + syklofosfamid eller rituximab	Syklofosfamid eller rituximab + høydose prednison	BVAS ¹ -respons ved uke 12	NCT01363388 Fase II	Januar 2016
Voksne pasienter med diagnostisert GPA, MPA eller renal begrenset vaskulitt (N=42)	To grupper: 1: Avacopan 10 mg 2 x daglig + syklofosfamid eller rituximab + høydose prednison 2: Avacopan 30 mg x 2 daglig + syklofosfamid eller rituximab + høydose prednison	Syklofosfamid eller rituximab + høydose prednison	BVAS ¹ -respons ved uke 12	NCT02222155 Fase II	September 2016

¹Birmingham Vasculitis Activity Score *ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

Klinisk effekt relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	Ny virkningsmekanisme og nytt behandlingsprinsipp
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 type="checkbox"/>	

Hva slags metodevurdering kan være aktuell

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

Hovedkilder til informasjon

- (1) Pipeline: ChemoCentryx. Hentet 23.05.2018. Tilgjengelig fra: <http://www.chemocentryx.com/pipeline/>
- (2) Avacopan – Anti-neutrophil cytoplasmic antibody-associated vasculitis (oppdatert 18.01.2018. Specialist Pharmacy Service, NHS. Hentet 23.05.2018. Tilgjengelig fra: <https://www.sps.nhs.uk/medicines/avacopan/>
- (3) Avacopan for ANCA-associated vasculitis – first and subsequent line. (desember 2016). Birmingham: Horizon Scanning Research & Intelligence Centre. Hentet 23.05.2018. Tilgjengelig fra: <http://www.io.nihr.ac.uk/wp-content/uploads/migrated/Avacopan-Dec16.pdf>
- (4) T17.7.2 Andre vaskulitter (oppdatert 19.01.2018). Norsk Legemiddelhandboka. Hentet 23.05.2018. Tilgjengelig fra: <http://legemiddelhandboka.no/Terapi/s%C3%B8ker/+%2Bwegeners/21633>
- (5) Granulomatøs polyangitt (GPA) (oppdatert 23.12.2017). Norsk Elektronisk Legehåndbok. Hentet 23.05.2018. Tilgjengelig fra: <https://legehåndboka.no/handboken/cliniske-kapitler/revmatologi/tilstander-og-sykdommer/systemiske-inflammasjoner/granulomatøs-polyangitt-gpa/>
- (6) Avacopan for treating anti-neutrophil cytoplasmic antibody-associated vasculitis ID1178. (27. mars 2018). [proposed health technology appraisal]. [London]: National Institute for Health and Care Excellence. Hentet 23.05.2018. Tilgjengelig fra: <https://www.nice.org.uk/guidance/gid-ta10199/documents/draft-scope-pre-referral-2>
- (7) Rituximab (MabThera) til behandling av granulomatøs polyangitt (Wegeners granulomatose, GPA) og mikroskopisk polyangitt (MPA) (2018). Helsebiblioteket. Hentet 23.05.2018. Tilgjengelig fra: <http://www.helsebiblioteket.no/mednytt/legemidler/rituximab-mabthera-til-behandling-av-granulomatøs-polyangitt-wegeners-granulomatose-gpa-og-mikroskopisk-polyangitt-mpa>
- (8) Orientering om nyt lægemiddel: Avacopan. (08.02.2018). Horizon Scanning, Amgros. Hentet 23.05.2018. Tilgjengelig fra: <http://www.amgros.dk/media/46140/avacopan-granulomatosis-with-polyangiitis.pdf>

Dato for første publisering	21.06.2018
Siste oppdatering	21.06.2018