

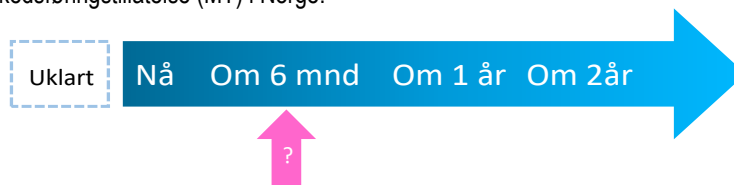


Somapacitan til hormonsubstitusjonsbehandling ved veksthormonmangel hos voksne (AGHD)

Type metode: Legemiddel
 Område: Endokrinologi
 Virkestoffnavn: Somapacitan
 Handelsnavn:
 ATC-kode: H01AC (Somatropin and somatropin agonists)
 MT søker/innehaver: Novo Nordisk A/S (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) (1). Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) (2).

Beskrivelse av den nye metoden

Somapacitan er et langtidsvirkende derivat av humant veksthormon (somatropin) som administreres subkutan en gang per uke. For å muliggjøre en ukentlig dosering har somapacitan en liten albuminbindende enhet festet til veksthormonet. Dette gir en lettere og reversibel binding til sirkulerende albumin, noe som reduserer utskillelsen og forlenger halveringstiden. Den samme teknikken har tidligere blitt brukt til å forlenge halveringstider for insulin og GLP-1-analoger (2,3).

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Veksthormonmangel er en sykdom som skyldes at pasienter produserer mindre veksthormon enn normalt. Veksthormon dannes i hypofysen og har stor betydning for normal utvikling og lengdevekst hos barn og ungdom. Hos voksne kan veksthormonmangel påvirke en rekke andre funksjoner som stoffskiftet, hjerte, muskler, sinnsstemning (angst og depresjon) med mer (2,4). Både hos voksne og barn fører mangel på veksthormon til nedsatt muskelmasse og økt mengde kroppsfett. Ubehandlet har veksthormonmangel hos voksne (adult growth hormone deficiency; AGHD) blitt knyttet til økt sykkelighet og tidlig død (3). Sykdommen utvikles vanligvis i forbindelse med en betennelse eller forekomst av svulster nær hypofysen, mens andre bidragsfaktorer er strukturelle endringer forårsaket av strålebehandling eller hodeskade. AGHD diagnostiseres ved hjelp av blodprøver hvor mengden veksthormon måles etter ulike stimuleringsstester (4,5).

Somapacitan ble tilkjent orphan designation i 2018 for behandling av veksthormonmangel. I EU er det anslått at 4.7 av 10 000 personer har veksthormonmangel (2). AGHD alene har blitt estimert å påvirke 1 av 100 000 personer årlig, hvor insidensen øker til rundt 2 per 100 000 når veksthormonmangel fra barnealder inkluderes (1). Det er usikkert hvor mange norske pasienter som vil være aktuell for metoden.

Dagens behandling

Veksthormonmangel behandles med daglige injeksjoner av veksthormon. For å etterligne kroppens naturlige utskillelse av veksthormon, som i stor grad skjer i løpet av natten, er det best å foreta injeksjonen om kvelden (4). Behandlingen av pasienter med AGHD kan i prinsippet vare livet ut, men dette vurderes individuelt avhengig av responsen. Hvis ingen tilsynelatende gunstig effekt kan finnes etter minst 1 års behandling, kan det være hensiktsmessig å avslutte hormonsubstitusjonsbehandlingen (6).

Status for dokumentasjon

Metodevurderinger eller systematiske oversikter –norske

- Ingen relevante identifisert

Metodevurdering eller systematiske oversikter -internasjonale

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. Statens legemiddelverk har ansvar for innholdet i metodevarslere om legemidler som fremstiller et overordnet bilde av det kommende legemidlet på et tidlig tidspunkt. MedNytt er Folkehelseinstituttets publiseringsplattform for metodevarslere. For mer informasjon om metodevarslere, se [Om MedNytt](#).

- Det foreligger minst en relevant internasjonal metodevurdering eller systematisk oversikt (7)

Metodevarsler

- Vi har identifisert et metodevarsel om indikasjonen, men med et annet virkestoff (se Nye Metoder [ID2018_046](#))
- Det foreligger minst ett internasjonalt metodevarsel (1)

Klinisk forskning

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

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Utfallsmål	Studienavn og nummer* (fase)	Tidsperspektiv resultater
Voksne (23-79 år), veksthormonnaive pasienter diagnostisert med veksthormonmangel (AGHD) n=301	Somapacitan injeksjon ukentlig i 34 uker + 52 uker	<i>Hovedperiode (34 uker):</i> Somatropin injeksjon daglig i 34 uker Placebo injeksjon ukentlig i 34 uker <i>Forlengelsesperiode (52 uker):</i> Placebo → somapacitan Somatropin → re-randomisering 1:1 til somatropin injeksjon daglig eller somapacitan injeksjon ukentlig	Endring i trunkal fettprosent fra baseline til 34 uker	REAL 1 NCT02229851 (Fase 3)	Studie avsluttet 7.mai 2018. Resultater foreligger (3)

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

Klinisk effekt relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	Nytt virkestoff, lengre doseringsintervall sammenlignet med dagens behandling
Sikkerhet relativt til komparator	<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"/>	Legemiddelverket foreslår å avvente bestilling
Fullstendig metodevurdering	<input type="checkbox"/>	

Hovedkilder til informasjon

1. Somapacitan: Specialist Pharmacy Service, NHS. [oppdatert 10. oktober 2019]. Tilgjengelig fra <https://www.sps.nhs.uk/medicines/somapacitan/>
2. Somapacitan: EMA [oppdatert 24. august 2018]. Tilgjengelig fra <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3182068>
3. Johannsson G, et al. Once-weekly somapacitan is effective and well tolerated in adults with GH deficiency: a randomized phase 3 trial. The Journal of clinical endocrinology and metabolism. 2020.
4. Veksthormonmangel: Felleskatalogen [oppdatert 1. september 2015]. Tilgjengelig fra <https://www.felleskatalogen.no/medisin/sykdom/mangel-veksthormon>
5. Melmed S. Pathogenesis and Diagnosis of Growth Hormone Deficiency in Adults. 2019;380(26):2551-62.
6. Molitch ME, et al. Evaluation and Treatment of Adult Growth Hormone Deficiency: An Endocrine Society Clinical Practice Guideline. The Journal of Clinical Endocrinology & Metabolism. 2011;96(6):1587-609.
7. Yuen KCJ, et al. (2019) Adult growth hormone deficiency: clinical advances and approaches to improve adherence, Expert Review of Endocrinology & Metabolism, 14:6, 419-436.

Dato for første publisering 27.03.2020
Siste oppdatering 27.03.2020