

Metodevarsel

1. Status og oppsummering

Metreleptin (Myalepta) til behandling av lipodystrofi

1.1 Oppsummering

Metoden omfatter et nytt virkestoff. Metoden har MT i Norge, EU og i USA og er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) (1).

1.2 Kort om metoden

ATC-kode: A16AA07
Virkestoffnavn: metreleptin
Handelsnavn: Myalepta
Legemiddelform: Pulver til injeksjonsvæske
MT-søker/innehaver: Novelon Therapeutics (1)

1.3 Type metode

Legemiddel
 Diagnostikk
 Medisinsk utstyr
 Annet:
Genterapi/Vaksine

1.4 Finansieringsansvar

Spesialisthelsetjenesten
 Folketrygd: blåresept
 Kommune
 Annet:

1.5 Fagfelt i MedNytt

Endokrinologi,
hormonsykdommer

1.6 Bestillingsanbefaling

Metodevurderinger

Fullstendig metodevurdering
 Hurtig metodevurdering (CUA)
 Forenklet vurdering
 Avvente bestilling
 Ingen metodevurdering

Kommentar:

1.7 Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

Klinisk effekt relativ til komparator
 Sikkerhet relativ til komparator
 Kostnader / Ressursbruk
 Kostnadseffektivitet
 Juridiske konsekvenser
 Etske vurderinger
 Organisatoriske konsekvenser
 Annet

Kommentar:

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. MedNytt er Folkehelseinstituttets publiseringsplattform for metodevarsler. Metodevarsler som skal vurderes på nasjonalt nivå i Bestillerforum RHF til spesialisthelsetjenesten publiseres på nyemetoder.no. For mer informasjon om identifikasjon av metoder, produksjon av metodevarsler og hvordan disse brukes, se [Om MedNytt](#).

2. Beskrivelse av metoden

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Lipodystrofi (LD) tilhører en gruppe svært sjeldne syndromer som kjennetegnes av tap av fettvev, spesielt under huden. Tap av fettvev orårsaker et underskudd i hormonet leptin som kan variere fra tilnærmet fullstendig tap (generalisert), til tap av fett i bare noen deler av kroppen (partiell). Uten tilstrekkelig fettvev eller leptin, reduseres kroppens evne til regulering av energibruk og energilagring, noe som resulterer i alvorlige abnormaliteter i metabolismen. (2,3).

Det er estimert at 0,1 av 10 000 pasienter er aktuelle for metoden i Europa (3).

Dagens behandling

Det finnes ingen etablert behandling for LD (3). En fettfattig diett med lavt kaloriinnhold er sterkt anbefalt. Leptinterapi brukes for tiden eksperimentelt for å forbedre glykemisk kontroll og hypertriglyderidemi hos pasienter med generalisert, og noen former for partiell LD.

Virkningsmekanisme

Metreleptin er en analog av det humane hormonet leptin, som produseres i fettvev og påvirker reguleringen av kroppsvekt. Metreleptin etterligner de fysiologiske virkningene til leptin ved å binde seg til og aktivere den humane leptinreseptoren som er en del av klasse 1 cytokinreseptorfamilien som aktiverer JAK/STAT-medierte signalveier (3).

Godkjent indikasjon

Metreleptin er indisert som tillegg til kosthold som erstatningsterapi for å behandle komplikasjoner ved leptinmangel hos pasienter med lipodystrofi (LD):

- med bekreftet medfødt generalisert LD (Berardinelli-Seip syndrom) eller ervervet generalisert LD (Lawrence syndrom) hos voksne og barn fra 2 år og eldre
- med bekreftet familiær partiell LD eller ervervet partiell LD (Barraquer-Simons syndrom), hos voksne og barn fra 12 år og eldre der standardbehandlinger har mislyktes i å oppnå adekvat metabolsk kontroll.

Kommentar fra FHI ved Companion Diagnostics

[Dersom metoden dreier seg om companion diagnostics, skriver FHI om testen her]

- Metoden **vil medføre** bruk av ny diagnostisk metode (ny diagnostisk praksis)
 Metoden **vil ikke medføre** bruk av ny diagnostisk metode (allerede etablert diagnostisk praksis)

Kommentar fra FHI:

3. Dokumentasjonsgrunnlag

3.1 Relevante og sentrale kliniske studier

Det foreligger klinisk dokumentasjon i form av minst en klinisk studie

Populasjon (n=antall deltakere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfallsmål	Studienummer, fase	Tidsperspektiv resultater
Pasienter 6 til 70 år med partiell eller generalisert lipodystrofi (N=25)	Leptin injisert to ganger daglig	Placebo (sukkerpille)	Endringer i fastende serumtriglyserider etter fire måneder	NCT00896298 Fase II og III	Resultater foreligger
Pasienter 6 måneder og eldre med lipodystrofi (N=103)	Metreleptin		Prosentandel glykosylert hemoglobin ved baseline, 6 måneder og 12 måneder etter behandling med metreleptin.	NCT00025883 Enarmet åpen studie	Resultater foreligger

3.2 Metodevurderinger og –varsel

Metodevurdering - nasjonalt/lokalt -	Ingen relevante identifisert.
Metodevurdering / systematiske oversikt - internasjonalt -	Det foreligger minst en relevant internasjonal metodevurdering eller systematisk oversikt (4).
Metodevarsel	Det foreligger minst et relevant metodevarsel (5).

4. Referanser

1. Metreleptin: Specialist Pharmacy Service, NHS. [oppdatert 18. april 2020]. Tilgjengelig fra: <https://www.sps.nhs.uk/medicines/metreleptin>
2. Seip-Berardinelli-syndrom. Store norske leksikon [oppdatert: 10. mars 2020]. Tilgjengelig fra: <https://snl.no/Seip-Berardinelli-syndrom>
3. Orphan Maintenance Assessment Report: Myalepta (metreleptin). European Medicines Agency [oppdatert 30. july 2018]. Tilgjengelig fra: https://www.ema.europa.eu/en/documents/orphan-maintenance-report/myalepta-orphan-maintenance-assessment-report-initial-authorisation_en.pdf
4. Gupta N, et al. (2017). Clinical Features and Management of Non-HIV-Related Lipodystrophy in Children: A Systematic Review. J Clin Endocrinol Metab. 102(2):363-374.
5. Metreleptin for treating lipodystrophy (ID861). National Institute for Health and Care Excellence. [oppdatert 2. April 2020]. Tilgjengelig fra: <https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-hst10011>

5. Versjonslogg

5.1 Dato	5.2 Endringer gjort i dokument
06.09.2017	Laget metodevarsel
19.06.2020	Endret dokumentasjonsgrunnlag basert på nytt søk av 19.06.2020 Oppdatert finansieringsansvar Oppdatert MT status
DD.MM.ÅÅÅÅ	Endret status for metoden