

## Metodevarsel

### 1. Status og oppsummering

#### Avakopan til behandling av granulomatose med polyangiitt (GPA) og mikroskopisk polyangiitt (MPA)

##### 1.1 Oppsummering\*

Metoden omfatter en ny MT for et kjent virkestoff. Metoden har tidligere vært til vurdering hos det Europeiske Legemiddelbyrået (EMA), der søknaden ble trukket (5). Metoden har foreløpig ikke MT i Norge eller EU, men er under vurdering hos EMA. Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) (1).

##### 1.2 Kort om metoden

ATC-kode:  
-  
Virkestoffnavn:  
Avakopan  
Handelsnavn:  
-  
Legemiddelform:  
Kapsel  
MT-søker/innehaver:  
Vifor Fresenius Medical Care  
Renal Pharma France (1)

##### 1.3 Metodetype

- Legemiddel  
 Annet: *diagnostikk/tester/medisinsk utstyr, prosedyre/organisatoriske tiltak*

##### 1.4 Tag (merknad)

- Vaksine  
 Genterapi  
 Medisinsk stråling  
 Companion diagnostics  
 Annet:

##### 1.5 Finansieringsansvar

- Spesialisthelsetjenesten  
 Folketrygd: blåresept  
 Kommune  
 Annet:

##### 1.6 Fagområde

Muskel-, skjelett og bindevevssykdommer

##### 1.7 Bestillingsanbefaling

- Metodevurderinger**  
 Fullstendig metodevurdering  
 Hurtig metodevurdering (CUA)  
 Forenklet vurdering  
 Avvente bestilling  
 Ingen metodevurdering  
**Kommentar:**

##### 1.8 Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

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

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](http://nyemetoder.no). For mer informasjon om identifikasjon av metoder, produksjon av metodevarsler og hvordan disse brukes, se [Om MedNytt](http://Om MedNytt).

\*Et metodevarsel er en kort beskrivelse av en legemiddelindikasjon (metode) på et tidlig tidspunkt, og oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](http://Legemiddelsøk.no).

## 2. Beskrivelse av metoden

### Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Granulomatose med polyangiitt (GPA) og mikroskopisk polyangiitt (MPA) går under fellesbetegnelsen ANCA-vaskulitter. ANCA er et antistoff som kan måles i pasientenes blod (2,3).

Granulomatose med polyangiitt (GPA), også kalt Wegeners sykdom/granulomatose, er en revmatisk blodårebetennelse i små og mellomstore blodårer. Blodårebetennelse går under betegnelsen vaskulitt. GPA medfører nesten alltid symptomer fra øvre luftveier. Sykdommen påvirker spesielt bihulene, nese, lunger, nyrer, hud og ledd. GPA er en autoimmun sykdom, men selve årsaken til betennelsesprosessen er ukjent.

GPA er en sjelden sykdom, og det er anslagsvis 8-10 per million nye tilfeller som diagnostiseres årlig, noe som resulterer i omtrent 50 nye tilfeller i Norge hvert år. Sykdommen kan ramme begge kjønn og i alle aldre, men det er som oftest hos middelaldrende mennesker at diagnosen blir satt. De første symptomene er gjerne slapphet, nattsvette, nedsatt appetitt og følgende vektnedgang (2).

Mikroskopisk polyangiitt (MPA) rammer på lik linje som GPA de små og mellomstore blodårene i form av revmatisk blodårebetennelse (vaskulitt), og har følgelig flere likhetstrekk. I MPA er det spesielt nyrene som rammes, i form av nyrebetennelse (glomerulonefritt). MPA er også en sjelden sykdom, og det er anslagsvis 3-10 per million nye tilfeller som diagnostiseres årlig, noe som resulterer i omtrent 14-54 nye tilfeller i Norge årlig. MPA forekommer noe hyppigere hos menn enn hos kvinner (2, 3).

### Dagens behandling

Behandling av vaskulitt er en krevende balansegang mellom behovet for å holde sykdommen under kontroll og unngå alvorlige bivirkninger. Behandlingen for ANCA-vaskulitter innebærer ofte store doser med kortison, samt immundempende legemidler, som induksjonsbehandling. Som kortison gis ofte prednisolon, og den immundempende komponenten er ofte rituksimab. Det kan være aktuelt med vedlikeholdsbehandling med rituksimab. Ved hjelp av legemidlene går betennelsesprosessen vanligvis ned, men behandlingen må oftest vare over flere år før medisinerne gradvis trappes ned (2, 3).

### Virkningsmekanisme

Avakopan 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 avakopan til å redusere den betennelses-induserte skaden som kan oppstå ved enkelte autoimmune sykdommer (4).

### Tidligere godkjent indikasjon

-

### Mulig indikasjon

Avakopan til behandling av granulomatose med polyangiitt (GPA) og mikroskopisk polyangiitt (MPA) (1)

### Kommentar fra FHI ved Companion Diagnostics

- Metoden **vil medføre** bruk av ny diagnostisk metode (ny diagnostisk praksis)
- Metoden **vil ikke medføre** bruk av ny diagnostisk metode (allerede etablert diagnostisk praksis)
- Det er på nåværende tidspunkt **uavklart** om metoden vil medføre bruk av ny diagnostisk metode

Kommentar fra FHI:

## 3. Dokumentasjonsgrunnlag

### 3.1 Relevante og sentrale kliniske studier

Det foreligger klinisk dokumentasjon i form av en randomisert, blindet, aktiv-kontrollert fase III-studie:

Populasjon (n=antall deltakere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfallsmål	Studienummer, fase	Tidsperspektiv resultater
Pasienter $\geq$ 12 år med granulomatøs polyangiitt (GPA) (54,8%) eller mikroskopisk polyangiitt (MPA) (45,2%) N=330	Avacopan i kombinasjon med rituksimab eller cyclophosphamid, etterfulgt av azathioprine	Prednisone i kombinasjon med rituksimab eller cyclophosphamid, etterfulgt av azathioprine	Primærfallsmål: Remisjonsopptak Vedvarende remisjon ved uke 52, og ingen bruk av glukokortikoider de siste 4 ukene	<a href="#">NCT02994927</a> Fase III	Fullført (Publikasjon foreligger)

### 3.2 Metodevurderinger og -varsel

<b>Metodevurdering</b> - nasjonalt/lokalt -	- Andre behandlingsmetoder som omfatter samme eller svært lignende indikasjon er foreslått til nasjonal metodevurdering (for status se blant annet Nye metoder <a href="#">ID2021_015</a> , <a href="#">ID2018_045/ID2019_052</a> )
<b>Metodevurdering / systematiske oversikt</b> - internasjonalt -	- Metoden er under vurdering i England (NICE – <a href="#">ID1581</a> )
<b>Metodevarsel</b>	- Det foreligger minst et relevant metodevarsel for samme virkestoff ( <a href="#">ID2018_088</a> )

## 4. Referanser

1. European Medicines Agency (hentet 25.03.21). Tilgjengelig fra: [https://www.ema.europa.eu/en/documents/agenda/agenda-chmp-agenda-22-25-february-2021-meeting\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/agenda/agenda-chmp-agenda-22-25-february-2021-meeting_en.pdf)
2. Store medisinske leksikon, Granulomatose med polyangiitt (sist oppdatert 12.11.2020 – hentet 25.03.2021). Tilgjengelig fra: [https://sml.snl.no/granulomatose\\_med\\_polyangiitt](https://sml.snl.no/granulomatose_med_polyangiitt)
3. Vaskulitt.no (hentet 25.03.21). Tilgjengelig fra: <https://vaskulitt.no/behandling-ved-wegeners-granulomatose-gpa/>
4. *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>
5. Vynpenta (previously AvacopanChemoCentryx): Withdrawal of the marketing authorisation application, European Medicines Agency [oppdatert 15.05.2020]. Tilgjengelig fra: [Vynpenta \(previously AvacopanChemoCentryx\): Withdrawn application | European Medicines Agency \(europa.eu\)](http://www.ema.europa.eu/medicines/vynpenta)

## 5. Versjonslogg

5.1 Dato	5.2 Endringer gjort i dokument
23.04.2021	Laget metodevarsel*
DD.MM.ÅÅÅÅ	Endret dokumentasjonsgrunnlag basert på nytt søk av DD.MM.ÅÅÅÅ
DD.MM.ÅÅÅÅ	Endret status for metoden

\*Et metodevarsel er en kort beskrivelse av en legemiddelindikasjon (metode) på et tidlig tidspunkt, og oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](http://legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.