

Metodevarsel

1. Status og oppsummering

Omburtamab I-131 til behandling av neuroblastom med CNS/leptomeningeale metastaser

1.1 Oppsummering*

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). (1)

1.2 Kort om metoden

ATC-kode: V10XA03

Virkestoffnavn:
omburtamab I-131

Handelsnavn:

Legemiddelform:
Infusjonsvæske, oppløsning

MT-søker/innehaver: Y-
Mabs Therapeutics A/S (1)

1.3 Metodetype

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

1.4 Tag (merknad)

Vaksine
 Genterapi
 Medisinsk stråling
 Companion diagnostics
 Annet: radiofarmaka

1.5 Finansieringsansvar

Spesialisthelsetjenesten
 Folketrygd: blåresept
 Kommune
 Annet:

1.6 Fagområde

Kreftsykdommer

1.7 Bestillingsanbefaling

Metodevurdering

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 metodevarslere. Metodevarslere som skal vurderes på nasjonalt nivå i Bestillerforum RHF til spesialisthelsetjenesten publiseres på nyemetoder.no. For mer informasjon om identifikasjon av metoder, produksjon av metodevarslere og hvordan disse brukes, se 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.

2. Beskrivelse av metoden

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Nevroblastom er en ondartet svulst med utgangspunkt i embryonale perifere nerveceller som vanligvis diagnostiseres hos små barn, men sporadiske tilfeller kan også forekomme hos ungdom og unge voksne. I Norge diagnostiseres 6-10 nye tilfeller årlig, og rundt halvparten opptrer som metastatisk sykdom. De fleste nevroblastomer har utgangspunkt i binyrene, men svulsten kan oppstå alle steder det er sympatisk nervevev. Prognosen ved nevroblastom varierer fra nær 100 % overlevelse ved lokal sykdom og gode prognostiske faktorer til rundt 30 % overlevelse hos barn over 1 år med metastatisk sykdom. Dårligst prognose finner vi hos barn > 5 år på diagnosestidspunktet. (2)

Dagens behandling

Behandlingen varierer fra kun observasjon i de enkleste tilfellene til intensiv terapi med cellegift, kirurgi, høydosebehandling med autolog stamcellestøtte, stråling, vitamin A og immunterapi med GD2-antistoff hos barn over 1 år med metastatisk sykdom. I Norge behandles nærmest alle barn med nevroblastom etter SIOOPEN-protokoller (www.sioopen.org). Internasjonalt er bruken av immunterapi med GD2-antistoff økende. (2) GD2-antistoffet dinutuksimab beta ble godkjent i Beslutningsforum juni 2019 til behandling av høyrisiko nevroblastom og relapserende/refraktær nevroblastom.

Virkningsmekanisme

Omburtamab I-131 er et immunglobulin G1 (IgG1) monoklonalt antistoff merket med radioaktiv jod (¹³¹I). Antistoffet bindes til kreftceller, og den radioaktive joden skader disse cellene. Det administreres ved intracerebroventrikulær infusjon. (3)

Tidligere godkjent indikasjon

Ingen

Mulig indikasjon

Behandling av nevroblastom med CNS/leptomeningeale metastaser (4)

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 minst 2 kliniske studier.

Populasjon (n=antall deltakere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfallsmål	Studienummer, fase	Tidsperspektiv resultater
Pasienter med bekreftet malign diagnose kjent som reaktiv for omburtamab med CNS/Leptomeningeal sykdom n = 109	50 mCi I-131-omburtamab (to sykluser) som intracerebroventrikulær infusjon med 33 % dosereduksjon for barn < 3 år og 50 % reduksjon for barn < 1 år	Ingen	OS (totaloverlevelse) etter 3 år	NCT00089245 fase I	Avsluttet
Pasienter < 18 år med neuroblastom med metastaser i CNS eller leptomeningeal spredning n = 32	50 mCi 131-I-omburtamab (to sykluser) som intracerebroventrikulær infusjon med 33 % dosereduksjon for barn < 3 år og 50 % reduksjon for barn < 1 år	Ingen	OS (totaloverlevelse) etter 3 år	NCT03275402 fase II/III	Estimeres avsluttet i 2026

3.2 Metodevurderinger og –varsel

Metodevurdering - nasjonalt/lokalt -	- En annen behandlingsmetode som omfatter samme indikasjon er foreslått til nasjonal metodevurdering (for status se Nye metoder ID2015_051 , dinutuksimab beta).
Metodevurdering / systematiske oversikt - internasjonalt -	- Metoden er under vurdering i Storbritannia (5)
Metodevarsel	- Det foreligger minst to relevante metodevarsler (1, 6)

4. Referanser

- Omburtamab I-131: Neuroblastoma in children [nettdokument]. Specialist Pharmacy Service, NHS. [oppdatert april 2021; lest 28. september 2021]. Tilgjengelig fra: <https://www.sps.nhs.uk/medicines/omburtamab-i-131/>
- Nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av kreft hos barn Nasjonal faglig retningslinje IS-2925; Helsedirektoratet utgitt 05/2020. Tilgjengelig fra: <https://www.helsebiblioteket.no/retningslinjer/barnekreft/behandling-av-kreftsykdommer/solide-svulster/neuroblastom>
- Technology Appraisal Omburtamab I-131, NICE Health <https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-ta10608/documents>
- Innspill til metodevarsel for legemidler. Y-Mabs Therapeutics A/S. 8. oktober 2021.
- Omburtamab for treating relapsed neuroblastoma (ID1664) [nettdokument]. Manchester, UK: National Institute for Health and Care Excellence. In development (GID-TA10608). [oppdatert 12. juli 2021; lest 28. september 2021]. Tilgjengelig fra: <https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-ta10608/documents>
- [131I-omburtamab for neuroblastoma with central nervous system or leptomeningeal metastasis in paediatric patients](#). Newcastle upon Tyne, UK: NIHR Innovation Observatory; 2019. Health Technology Briefing NIHRIO ID: 15011.

5. Versjonslogg

5.1 Dato	5.2 Endringer gjort i dokument
10.12.2021	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. Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.