

Metodevarsel for legemiddel

1. Status og oppsummering

Olipudase alfa til behandling av sur sfingomyelinasemangel (også kjent som Niemann-Picks sykdom) hos barn og voksne

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) og US Food and Drug Administration (FDA) (1). Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) (2), Breakthrough Therapy designation av FDA og Priority Medicines (PRIME) designation av EMA (3).

1.2 Kort om metoden

ATC-kode: A16AB

Virkestoffnavn: olipudase alfa

Handelsnavn: -

Legemiddelform: pulver til konsentrat til infusjonsvæske, oppløsning

MT-søker/innehaver: Sanofi genzyme (3)

1.3 Metodetype

Legemiddel

Annet:

1.4 Tag (merknad)

Vaksine

Avansert terapi (gen-/celleterapi)

Medisinsk stråling

Krever diagnostisk metode eller medisinsk utstyr

Annet:

1.5 Finansieringsansvar

Specialisthelsetjenesten

Folketrygd: blåresept

Kommune

Annet:

1.6 Fagområde

Endokrine sykdommer

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. For mer informasjon om identifikasjon av metoder, produksjon av metodevarsler 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

Niemann-Picks sykdom er en arvelig, medfødt stoffskiftesykdom som skyldes mangelfull nedbrytning av visse fettforbindelser med derav følgende avleiringer i kroppens celler. Sykdommen kan debutere i alle aldre. Vanligvis omtales tre former; type A, B og C. Forstørret lever og milt kan være et tidlig tegn ved alle formene. Ved type A vil avleiringer føre til gradvis økende skade av hjernen. Type B er sjeldnere forbundet med hjerneskade, men lungene og andre organer er ofte påvirket. Ved type C blir ofte både leveren, lungene og hjernen rammet. Sykdommen er fremadskridende (5). Type A er kjent for å være den alvorligste formen og det sees lite eller ingen enzymaktivitet. Ved type B er det noe mer enzymaktivitet (4;5).

Samlet sett er Niemann-Picks sykdom svært sjelden. Den nøyaktige forekomsten i Norge er ikke kjent. Det er estimert at tilstanden (Niemann-Picks type B) rammer færre enn 0,04 av 10 000 mennesker i EU (2).

Dagens behandling

Det finnes ingen kurativ behandling for sur sfingomyelinase mangel og heller ingen nasjonalt handlingsprogram. Dagens behandling tar sikte på god oppfølging, å lindre symptomer når disse oppstår og å sørge for et godt støtteapparat tilpasset den enkelte pasient (5).

Virkningsmekanisme

Olipudase alfa er en rekombinant human sur sfingomyelinase enzymstatningsterapi. Det tenkes at aktiviteten til enzymet kan forhindre eller lindre akkumulering av sfingomyelin ved å bryte ned fettstoff fra lever, lunge og andre viscerale vev (2).

Tidligere godkjent indikasjon

N/A

Mulig indikasjon

Olipudase alfa til behandling av sur sfingomyelinase mangel (Niemann-Picks sykdom) hos barn og voksne (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 minst én klinisk studie.

Populasjon (n = antall deltakere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfallsmål	Studienummer, fase	Tidsperspektiv resultater
Pasienter (≥18 år) med sur sfingomyelinase mangel (Niemann-Pick sykdom type B) (estimert n = 36)	Olipudase alfa	Placebo	<p><u>Primære utfallsmål:</u> prosentvis endring i miltvolum, prosentvis endring i diffusjonskapasitet i lungene for karbonmonoksid</p> <p><u>Sekundære utfallsmål:</u> sikkerhet, prosentvis endring i levervolum, endring i fatigue og smerte, ++</p>	<p>NCT02004691</p> <p>Fase II/III</p> <p>ASCEND-studie</p>	<p>Studien pågår, estimeres avsluttet oktober 2023.</p> <p>Noen resultater foreligger her.</p>
Pasienter (<18 år) med sur sfingomyelinase mangel (n = 20)	Olipudase alfa	Ingen	<p><u>Primære utfallsmål:</u> flere utfallsmål for å måle sikkerhet</p> <p><u>Sekundære utfallsmål:</u> plasmakonsentrasjoner av olipudase alfa, ++</p>	<p>NCT02292654</p> <p>Fase I/II, dose-eskaleringsstudie</p> <p>ASCEND-Peds-studie</p>	<p>Avsluttet.</p> <p>Resultater foreligger.</p>

3.2 Metodevurderinger og –varsel

Metodevurdering - nasjonalt/lokalt -	- Ingen relevante identifisert.
Metodevurdering / systematiske oversikt - internasjonalt -	- Det foreligger minst én relevant internasjonal metodevurdering eller systematisk oversikt (6).
Metodevarsel	- Det foreligger minst ett relevant metodevarsel (1).

4. Referanser

1. Olipudase alfa [nettdokument]. Specialist Pharmacy Service, NHS. [publisert januar 2016; lest 31.01.2022]. Tilgjengelig fra: [Olipudase alfa – Medicines – SPS - Specialist Pharmacy Service – The first stop for professional medicines advice](#)
2. EU/3/01/056: Orphan designation for the treatment of Niemann-Pick disease [nettdokument]. European Medicines Agency. [publisert desember 2016; lest 31.01.2022]. Tilgjengelig fra: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu301056>
3. Positive topline results demonstrated by olipudase alfa, first and only investigational therapy in late-stage development for acid sphingomyelinase deficiency [nettdokument]. Sanofi. [publisert januar 2020; lest 31.01.2022]. Tilgjengelig fra: <https://www.news.sanofi.us/2020-01-30-Positive-topline-results-demonstrated-by-olipudase-alfa-first-and-only-investigational-therapy-in-late-stage-development-for-acid-sphingomyelinase-deficiency>
4. Niemann-Pick disease type B [nettdokument]. National Center for Advancing Translational Sciences, Genetic and Rare Diseases Information Center. [lest 31.01.2022]. Tilgjengelig fra: [Niemann-Pick disease type B | Genetic and Rare Diseases Information Center \(GARD\) – an NCATS Program \(nih.gov\)](#)
5. Medisinsk beskrivelse av Niemann-Picks sykdom. FRAMBU kompetansesenter for sjeldne diagnoser. [oppdatert april 2018; lest 31.01.2022]. Tilgjengelig fra: [Medisinsk beskrivelse av Niemann-Picks sykdom - Frambu](#)
6. Olipudase alfa for treating Niemann-Pick disease types A and B [ID3913]
Awaiting development [GID-TA10788] [nettdokument]. National Institute for Health and Care Excellence. [lest 31.01.2022]. Tilgjengelig fra: <https://www.nice.org.uk/guidance/awaiting-development/gid-ta10788>

5. Versjonslogg

5.1 Dato	5.2 Endringer gjort i dokument
18.02.2022	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.