



## Fostamatinib (Tavlesse) til behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) hos voksne pasienter som er refraktære overfor annen behandling

Type metode: Legemiddel

Område: Blod

Virkestoffnavn: Fostamatinib

Handelsnavn: Tavlesse

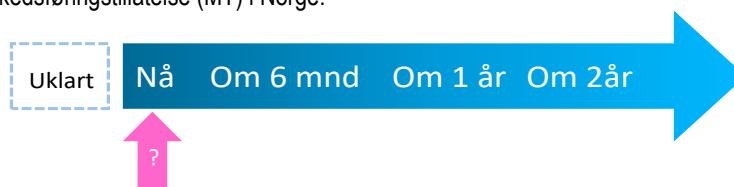
ATC-kode: Ikke angitt

MT søker/innehaver: Rigel Pharmaceuticals (1)

Finansieringsansvar: Spesialisthelsetjenesten

### Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringsstillatelse (MT) i Norge:



Metoden omfatter et nytt virkestoff. Metoden har foreløpig ikke MT i Norge eller EU, men har fått anbefaling om godkjenning i EU av CHMP. Metoden fikk innvilget MT i USA i april 2018 (1).

### Beskrivelse av den nye metoden

Fostamatinib er en hemmer av enzymet spleen tyrosin kinase. Ved å hemme dette enzymet reduseres antistoffmediert destruksjon av blodplater. Den anbefalt godkjente indikasjonen til fostamatinib er behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni hos voksne pasienter som er refraktære overfor annen behandling. Fostamatinib er formulert som tabletter, og administreres peroralt (1).

### Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Immunologisk trombocytopeni er en autoimmun sykdom, og er den vanligste årsaken på for lavt antall blodplater (trombocytter). Blodplatene har som viktigste oppgave å sørge for at blodet kan koagulere, og ved lave nivåer av disse vil pasienten vanligvis oppleve små blødninger i huden som minner om blåmerker. I alvorlige tilfeller oppstår indre blødninger som kan bli livstruende. Hos barn er tilstanden ofte kortvarig og forbigående, men hos voksne ser man oftere et kronisk forløp, definert som at tilstanden har vedvart i mer enn 12 måneder. Det er anslått at det forekommer 1–4 nye tilfeller av immunologisk trombocytopeni per 100 000 voksne per år (3), (4).

### Dagens behandling

Formålet med behandlingen er å øke nivået av trombocytter for å stoppe eller forebygge blødninger. Førstevalget blant de tilgjengelige behandlingene er glukokortikoider, som gir effekt hos ca. 75 % av pasientene. Hos pasienter med alvorlig grad av trombocytopeni kan det være aktuelt med intravenøs behandling med immunglobuliner. Andrevalget er oftest kirurgisk fjerning av milten. Aktuelle behandlingsalternativer dersom første- eller andrevalget ikke er aktuelt eller/gir ønsket effekt inkluderer romiplostim, eltrombopag, rituksimab eller immunsuppressiv behandling med kjemoterapi (5).

### Status for dokumentasjon

#### Metodevurderinger eller systematiske oversikter –norske

Vi har identifisert flere pågående norske metodevurderinger av legemidler til behandling av ulike former for trombocytopeni med andre virkestoffer (se Nye metoder [ID2018\\_131](#), [ID2018\\_076](#) og [ID2018\\_037](#)).

#### Metodevurdering eller systematiske oversikter -internasjonale

Det foreligger minst én relevant internasjonal systematisk oversikt (6).

Det er registrert minst én pågående relevant internasjonal metodevurdering (7).

#### Metodevarsler

Det foreligger minst ett relevant internasjonalt metodevarsel (8).

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 metodevarsler om legemidler som fremstiller et overordnet bilde av det kommende legemidlet på et tidlig tidspunkt. MedNytt er Folkehelseinstituttets publiseringsplattform for metodevarsler. For mer informasjon om metodevarsler, se [Om MedNytt](#).

## Klinisk forskning

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

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Utfallsmål	Studienavn og nummer* (fase)	Tidsperspektiv resultater
Voksne pasienter med kronisk immunologisk trombocytopeni (n=76).	Fosamatinib 100–150 mg administrert to ganger daglig i 24 uker.	Placebo.	Antall pasienter med stabilt platetall over 50 000/ $\mu$ L ved minst 4 av de 6 planlagte visittene mellom uke 14 og 24.	<a href="#">NCT02076399</a> Fase III	Fullført april 2016. <a href="#">Publikasjon foreligger.</a>
Voksne pasienter med kronisk immunologisk trombocytopeni (n=74).	Fosamatinib 100–150 mg administrert to ganger daglig i 24 uker.	Placebo.	Antall pasienter med stabilt platetall over 50 000/ $\mu$ L ved minst 4 av de 6 planlagte visittene mellom uke 14 og 24.	<a href="#">NCT02076412</a> Fase III	Fullført august 2016. <a href="#">Publikasjon foreligger.</a>

\*ClinicalTrials.gov Identifier [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)

### Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

Klinisk effekt relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	Ny virkningsmekanisme
Sikkerhet relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	Ny bivirkingsprofil
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"/>
Fullstendig metodevurdering	<input type="checkbox"/>

### Hovedkilder til informasjon

- (1) *Fostamatinib disodium*, Specialty Pharmacy Service [oppdatert 24. desember 2018]. Tilgjengelig fra: <https://www.sps.nhs.uk/medicines/fostamatinib-disodium/>
- (2) *Fostamatinib for treating chronic immune thrombocytopenic purpura*, National Institute for Health and Care Excellence [oppdatert septemer 2018]. Tilgjengelig fra: <https://www.nice.org.uk/guidance/gid-ta10387/documents/draft-scope-pre-referral>
- (3) *Primær immun trombocytopeni (ITP)*, Norsk Helseinformatikk [oppdatert 18. april 2017]. Tilgjengelig fra: <https://nhi.no/sykdommer/blod/blodningssykdommer/primar-immun-trombocytopeni/>
- (4) Ghanima W, et al. *Immunologisk trombocytopeni – patofysiologi og behandling*. Tidsskr Nor Legeforen 2010; 130: 2120
- (5) *T4.4.2.1 Immunologisk nedbrytning av blodplater*, Norsk legemiddelhandbok [oppdatert 02. februar 2018]. Tilgjengelig fra: <https://www.legemiddelhandboka.no/legacy/chapter/T4.4.2.1>
- (6) Yang R, et al. (2019). *Therapeutic options for adult patients with previously treated immune thrombocytopenia - a systematic review and network meta-analysis*. Hematology. 24(1), 290-299.
- (7) *Fostamatinib for treating chronic immune thrombocytopenic purpura [ID1087]*. (28. september 2018). (Proposed [GID-TA10387]). London: National Institute for Health and Care Excellence. Hentet 12. februar 2019, fra <https://www.nice.org.uk/guidance/proposed/gid-ta10387/documents>
- (8) *Fostamatinib for chronic immune thrombocytopenic purpura*. (2016). Birmingham: NIHR Horizon Scanning Research & Intelligence Centre. Tilgjengelig fra: <http://www.io.nihr.ac.uk/report/fostamatinib-for-chronic-immune-thrombocytopenic-purpura/>

Dato for første publisering

25.03.2019

Siste oppdatering

17.01.2020 - henvisning til publiserte resultater fra de kliniske studiene