

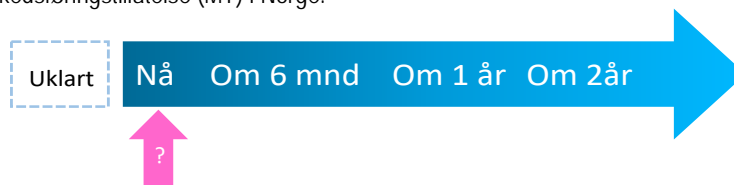


Normalt humant immunglobulin (Cutaquig) til substitusjonsbehandling ved primært immunsviktsyndrom eller hypogammaglobulinemi

Type metode: Legemiddel
Område: Blod; Infeksjon; Kreft;
Virkestoffnavn: Immunglobulin, normalt (humant) (SClg)
Handelsnavn: Cutaquig
ATC-kode: J06B A01
MT søker/innehaver: Octapharma AB
Finansieringsansvar: Spesialisthelsetjenesten

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringsstillatelse (MT) i Norge:



Metoden er en ny formulering av et eksisterende legemiddel. Metoden har fått innvilget MT i Norge, men er foreløpig ikke markedsført (1).

Beskrivelse av den nye metoden

Den aktuelle metoden er en ny formulering av et eksisterende legemiddel (Gammanorm), som har hatt MT i Norge siden 2010 (2). Normalt humant immunglobulin inneholder hovedsakelig immunglobulin G (IgG), med et bredt spektrum av antistoffer mot infeksjose agens. Preparatet inneholder IgG-antistoffer som fins i blodplasma i normalpopulasjonen, og har en fordeling av IgG-subklasser som tilsvarer fordelingen i normalt humant plasma. Behandling med legemidlet har som formål å normalisere lave nivåer av IgG hos pasienter med immunsviktsyndrom med svekket antistoffproduksjon eller hypogammaglobulinemi, for å beskytte mot bakterier og virus som forårsaker infeksjoner. Preparatet administreres som subkutane injeksjoner (1).

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Primært immunsvikt er en samlebetegnelse på en rekke sjeldne sykdommer med svikt i ulike deler av immunsystemet. Svikt i antistoffproduksjonen utgjør over halvparten av tilfellene av sykdommene. Sykdommene kjennetegnes av hovedsakelig av økt infeksjonstendens og/eller autoimmun sykdom. Mange av immunsviktsykdommene er arvelige, og det kliniske spekteret ved sykdommene spenner fra svært alvorlig medfødt sykdom til milde former som kan vise seg i voksen alder. Pasienter med immunsvikt får gjerne hyppige bakterielle infeksjoner som kan være alvorlige eller livstruende, eller infeksjoner med mikrober som normalt ikke forårsaker sykdom. Det er estimert av om lag 600 personer i Norge har primære immunsviktsykdommer (3, 4, 5).

Hypogammaglobulinemi er en tilstand hvor pasienten lager for lite gammaglobulin, som fører til at pasienten har lett for å få infeksjoner (6). Tilstanden kan være en konsekvens av immunsviktsykdommer, eller være forbundet med kreftsykdommer som kronisk lymfatisk leukemi eller myelomatose, samt hos pasienter som gjennomfører allogen hematopoietisk stamcelletransplantasjon (1).

Dagens behandling

For pasienter med symptomgivende hypogammaglobulinemi med reduserte nivåer av total IgG anbefales det substitusjonsbehandling med subkutan eller intravenøs immunglobulin. Formålet med behandlingen er å redusere antall infeksjoner og forhindre progredierende lungesykdom. Ved mistanke om bakterielle infeksjoner er det viktig med rask behandling med antibiotika, eventuelt profylaktisk antibiotikabehandling. Stamcelletransplantasjon kan være aktuell behandling ved flere typer primær immunsvikt (4, 7, 8).

Status for dokumentasjon

Metodevurderinger eller systematiske oversikter –norske

Ingen relevante norske metodevurderinger eller systematiske oversikter er identifisert.

Metodevurdering eller systematiske oversikter -internasjonale

Det foreligger flere relevante internasjonale systematiske oversikter (9-12)

Metodevarsler

Ingen relevante identifisert.

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
Pasienter fra 2–75 år med primær immunsvikt med behov for substitusjons-behandling med immunglobulin som følge av hypogammaglobulinemi eller agammaglobulinemi, som står på behandling med IVIG ¹ (n=estimert 64).	Normalt humant immunglobulin administrert subkutant hver uke.	Ingen.	-Raten av alvorlige bakterielle infeksjoner per person-år med behandling. -Farmakokinetikk	SCGAM-01, NCT01888484 , Fase III-studie.	Estimert juli 2020, publikasjon foreligger .

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

¹Intravenøst immunglobulin

Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

Klinisk effekt relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	Kjent virkemekanisme, kjent behandlingsprinsipp.
Sikkerhet relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	Kjent bivirkningsprofil.
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"/>	Legemiddelverket foreslår forenklet vurdering
Fullstendig metodevurdering	<input type="checkbox"/>	

Hovedkilder til informasjon

- (1) https://mri.cts-mrp.eu/human/downloads/DE_H_4903_001_PAR.pdf
- (2) <https://www.legemiddelsok.no/layouts/15/Preparatomtaler/Spc/10-7736.pdf>
- (3) <https://oslo-universitetssykehus.no/avdelinger/klinikk-for-laboratoriemedisin/avdeling-for-medisinsk-genetikk/immunsviktsykdommer>
- (4) <https://www.helsebiblioteket.no/pediatriveiledere?key=144460&menuitemkeylev1=5962&menuitemkeylev2=5965>
- (5) <https://sjeldnediagnoser.no/home/sjeldnediagnoser/Primaere%20immunsviktsykdommer/8732>
- (6) <https://sml.snl.no/hypogammaglobulinemi>
- (7) <https://www.helsebiblioteket.no/retningslinjer/immunsvikt/terapeutiske-aspekter/immunglobulinbehandling>
- (8) <https://www.helsebiblioteket.no/retningslinjer/immunsvikt/terapeutiske-aspekter/transplantasjon>
- (9) <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6796775/>
- (10) <http://www.hqontario.ca/Portals/0/Documents/evidence/reports/recommendation-ig-home-infusion-1711-en.pdf>
- (11) <https://www.tandfonline.com/doi/full/10.1586/1744666X.2016.1155452>
- (12) <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6043812/>

Dato for første publisering 13.12.2019
Siste oppdatering 13.12.2019