



Biotin til behandling av primær og sekundær progressiv multippel sklerose (PPMS og SPMS)

Kategori: Legemiddel

Bruksområde og fagområde: Spesialisthelsetjenesten

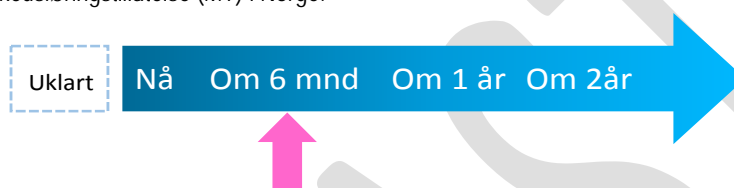
Generisk navn: Biotin

Produktnavn: Qizenday

Produsent: MedDay (1)

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:


 Metoden har foreløpig ikke MT, men er under vurdering av EMA, se [SPS](#) sine sider for mer informasjon (1).

Forventet finansieringsordning

Sykehus	<input checked="" type="checkbox"/>	
Blå resept	<input type="checkbox"/>	
Egenfinansiering	<input type="checkbox"/>	
Usikkert	<input type="checkbox"/>	

Beskrivelse av den nye metoden

Biotin er en høydose oral formulering av biotin, et vannløselig vitamin som virker som et co-enzym for karboxylase involvert i nøkkeltrinnene i energimetabolisme og syntesen av fettsyrer. Meget høye doser av biotin kan være effektiv for multippel sklerose (MS) ved å fremme myelin reparasjon gjennom aktivering av acetyl-CoA-karboksylase, og ved å øke energiproduksjonen i demyelinerte neuroner gjennom aktivering av Krebs syklus. Biotin er beregnet for behandling av primær og sekundær progressiv MS og administreres oralt (2).

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Multippel sklerose (MS) er en kronisk, immunmediert neurologisk sykdom som kjennetegnes av demyelinisering og aksonal degenerasjon i sentralnervesystemet. Sykdommen viser seg ved en rekke ulike neurologiske symptomer og funn som varierer over tid. Gjennomsnittlig debutalder er 30 år og sykdommen sees hyppigere hos kvinner enn hos menn (3). 80–85 % har primært et remitterende forløp (RRMS); perioder med relativt akutte forverringer, angrep, som blir fulgt av delvis eller full tilbakegang av symptomene i løpet av 4–8 uker. Hos ca. 30 % av disse har sykdommen et relativt benignt forløp. Gunstige prognostiske faktorer er sensoriske debutsymptomer og lange intervaller mellom akutte forverringer. Omtrent halvparten vil imidlertid etter gjennomsnittlig 10-15 år utvikle et sekundært, kronisk progressivt forløp (3). Ca. 15–20 % av pasientene har primær, kronisk progressiv MS hvor symptomene helt fra begynnelsen av gradvis øker i antall og intensitet. Progredierende spastisk paraparese er det vanligste symptomet i denne gruppen (3).

Multifokale kliniske symptomer og tegn avhengig av hvilke områder i sentralnervesystemet som er affisert, f.eks. optikusnevritt, diplopi, pareser i en eller flere ekstremiteter, spastisitet, parestesier, ataksi, vertigo, blærefunksjonsforstyrrelser, nevrogen smerte, depresjon, kognitiv svikt, tretthet og utmattelse (fatigue) (3). Multippel sklerose kan gi svært mange forskjellige neurologiske symptomer som varierer over tid og gir ulik grad av invaliditet. De vanligste symptomene er synsforstyrrelser, problemer med motorikk, blære- og seksualfunksjonsforstyrrelser, nevralforme smerter og andre sensibilitetsforstyrrelser. Sykdommen gir ofte en uttalt fatigue og ca. halvparten av pasientene får kognitive vansker (3).

Dagens tilbud

Behandling av pasienter med MS krever nær oppfølging med kontinuitet og tverrfaglige tiltak. Kurativ behandling finnes ikke. Bare pasienter med remitterende MS kan ha nytte av immunmodulerende behandling. Symptomatisk behandling og

rehabilitering som lindrer plager og bedrer funksjon, er svært viktig. Ved akutte forverringer gir glukokortikoider raskere tilbakegang av symptomene, raskere reduksjon i betennelsesreaksjonen og reduksjon/opphevet av lekkasje gjennom blod-hjerne-barrieren (3).

Førstelinjebehandling: Interferon beta-1, glatirameracetat, teriflunomid eller dimetylfumarat kan gis ved et remitterende sykdomsforløp (RRMS). Behandlingen kan også vurderes til pasienter som har hatt et angrep der utviklingen av remitterende MS er svært sannsynlig (klinisk isolert syndrom, CIS). Behandlingen reduserer risiko for tilkomst av nye angrep og påfølgende utvikling av permanent funksjonssvikt (3). Andrelinjebehandling: Skal vurderes til pasienter med remitterende MS (RRMS) som ikke har tilfredsstillende effekt av førstelinjebehandling eller som har en raskt utviklende alvorlig MS. Natalizumab er et monoklonalt antistoff, adhesjonshemmer (Tysabri) som har vist klar behandlingseffekt på MS med remitterende sykdomsforløp (RRMS). Fingolimod (Gilenya), som omdisponerer autoreaktive lymfocytter til lymfeknuter, har vist effekt på MS og bruk i andrelinje. Alemtuzumab (Lemtrada) er et monoklonalt antistoff rettet mot CD52 som reduserer lymfocytene betydelig, langtidseffekten antas å være knyttet til en repopulering med endrede egenskaper. Det er vist en betydelig effekt på reduksjon i angrep og sykdomsprogresjon sammenlignet med interferon-beta1a (3).

Status for dokumentasjon

Metodevurdering

Biotin til behandling av PPMS og SPMS er ikke tidligere vurdert i Norge. Det ble publisert en fullstendig metodevurdering om legemidler til behandling av MS i 2016 etter oppdrag av Nye Metoder (se Nye Metoder [ID2014_032](#)). Metodevurderingen omfatter ikke Qizenday. Vi har identifisert et utenlandsk metodevarsel fra [NHS](#).

Registrerte og pågående studier

Det antatt viktigste studien for vurdering av metoden er en fase tre studie (se tabell nedenfor).

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer*	Forventet ferdig
Voksne (18 -75 år) med primær eller sekundær progressiv MS (n=154)	Qizenday 100mg x3 daglig	Placebo	Andel pasienter med redusert funksjonshemning etter 9 måneder (og bekreftet etter 12 måneder)	NCT02220933	Ferdig og publisert

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

Hvilke aspekter er relevante for en metodevurdering

Klinisk effekt	<input checked="" type="checkbox"/>	
Sikkerhet/bivirkninger	<input checked="" type="checkbox"/>	
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 er aktuell

Hurtig metodevurdering	<input checked="" type="checkbox"/>	
Fullstendig metodevurdering	<input type="checkbox"/>	

Hovedkilder til informasjon

Hovedkilder for metodevarselet er:

- www.sps.nhs.uk
- [Horizon Scanning Research and Intelligence Centre \(NICE\)](#)
- www.legemiddelhandboka.no
- Helsedirektoratet [Nasjonale faglige retningslinjer for diagnostikk, angrep- og sykdomsmodifiserende behandling av multipel sklerose 2011](#)
- [European Medicines Agency \(Ocrelizumab\)](#)

Se under arkfanen [mer om oss](#) for mer informasjon om prosess og prosedyre for metodevarsling.

Første varsel	06.02.2017
Siste oppdatering	21.02.2017