

Metodevarsel

1. Status og oppsummering

Evinacumab til behandling av homozygot familiær hyperkolesterolemi

1.1 Oppsummering*

Metoden omfatter et nytt virkestoff. Metoden har foreløpig ikke MT i Norge eller EU, men er under vurdering hos det Europeiske Legemiddelbyrået (EMA). Metoden har MT i USA (1, 8).

1.2 Kort om metoden

ATC-kode: NA

Virkestoffnavn: Evinacumab

Handelsnavn: NA

Legemiddelform: Til intravenøs infusjon

MT-søker/innehaver: Regeneron (8)

1.3 Metodetype

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

1.4 Tag (merkna)

- Vaksine
 Genterapi
 Medisinsk stråling
 Companion diagnostics
 Annet:

1.5 Finansieringsansvar

- Spesialisthelsetjenesten
 Folketrygd: blåresept
 Kommune
 Annet:

1.6 Fagområde

Hjerte- og karsykdommer

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
 Juridiske konsekvenser
 Etske vurderinger
 Organisatoriske konsekvenser
 Annet

Kommentar:

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](http://OmMedNytt).

*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

Arvelig høyt kolesterol, eller familiær hyperkolesterolemi (FH), er en av våre hyppigste arvelige tilstander. Kolesterol er en type fettstoff som kroppen er avhengig av og kroppen lager selv det kolesterolet den trenger. Kolesterol transporteres i blodet som blant annet LDL (low-density lipoprotein)-kolesterol. Genfeilen hos de med arvelig høyt kolesterol gjør at LDL-kolesterolet ikke blir fjernet fra blodet. Dette medfører et ca. to til tre ganger høyere kolesterolnivå enn normalbefolkningen. Høyt LDL-kolesterol gir over tid avleiringer på innsiden av blodårene og disse avleiringene kan videre gi hjerte- og karsykdom (2).

Personer med homozygot familiær hyperkolesterolemi (HoFH) har fått FH-genet fra begge foreldrene. De utvikler hjertesykdom svært tidlig, og har risiko for å dø før 20-årsalderen dersom de ikke får behandling. Sykdommen kalles også Müller-Harbitz' sykdom. Homozygot familiær hyperkolesterolemi er en svært sjelden tilstand og rammer trolig rundt 1 per 1 million personer (3).

Når det gjelder pasientantall er det fra legemiddelets rettighetshaver antatt at sykdommen har en prevalens på 1 per 250 000. Dette gir et anslag på ca. 21 pasienter i Norge (4). Fra nasjonalt kompetansesenter for FH er det i 2016 registrert 12 personer i Norge med den homozygote formen (5).

Dagens behandling

Kolesterolsenkende behandling kan redusere risikoen for hjerte- og karsykdom. Behandling av FH anbefales vanligvis fra 8-10-årsalder. Statiner er grunnbehandling for å senke kolesterolnivået. Aktuelle tilleggspreparater er ezetimib og PCSK9-hemmere som evolokumab og alirokumab. Ved homozygot FH er MTP-hemmeren lomitapid også aktuell tilleggsbehandling (5, 9).

Virkningsmekanisme	Evinacumab er et monoklonalt antistoff som binder seg til Angiopoietin-like 3 (ANGPTL3)-proteinet. ANGPTL3 hemmer lipoprotein lipase som spalter triglyserider. Hemming av ANGPTL3-proteinet er vist å redusere LDL-kolesterol og triglyserider (6).
Tidligere godkjent indikasjon	Ingen
Mulig indikasjon	Behandling av homozygot familiær hyperkolesterolemi (1).
Kommentar fra FHI ved Companion Diagnostics	<input type="checkbox"/> Metoden vil medføre bruk av ny diagnostisk metode (ny diagnostisk praksis) <input checked="" type="checkbox"/> Metoden vil ikke medføre bruk av ny diagnostisk metode (allerede etablert diagnostisk praksis) <input type="checkbox"/> 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 en klinisk studie.

Populasjon (n=antall deltakere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfallsmål	Studienummer, fase	Tidsperspektiv resultater
Pasienter 12 år eller eldre med HoFH (N=65)	Evinacumab intravenøst (i.v.)	Placebo i.v.	LDL kolesterol, endring fra baseline	NCT03399786 , Fase 3	Ferdig

3.2 Metodevurderinger og –varsel

Metodevurdering - nasjonalt/lokalt -	Det foreligger en vurdering på Nyemetoder av legemiddel for behandling av HoFH, ID2018 115 .
Metodevurdering / systematiske oversikt - internasjonalt -	Det foreligger minst en relevant internasjonal metodevurdering eller systematisk oversikt (7).
Metodevarsel	Det foreligger minst et relevant metodevarsel (8).

4. Referanser

- (1) European Medicines Agency, EMA. Hentet 12. januar 2021, fra https://www.ema.europa.eu/en/documents/agenda/agenda-chmp-agenda-7-10-december-2020-meeting_en.pdf
- (2) Helsenorge (30.03.2020). Hentet 12. januar 2021, fra <https://www.helsenorge.no/sykdom/hjerte-og-kar/arvelig-hoyt-kolesterol/>
- (3) Landsforeningen for hjerte- og lungesyke, LHL (17.11.2014). Hentet 12. januar 2021, fra <https://www.lhl.no/et-sunnere-liv/flere-enn-ventet-har-trolig-arvelig-hoyt-kolesterol/>
- (4) Innspill fra legemiddelets rettighetshaver. (31.12.2020). Hentet 12.01.2021, fra mail.
- (5) Nasjonal kompetansetjeneste for familiær hyperkolesterolemi (oktober 2016). Hentet 12.01.2021, fra http://nki-forh.no/images/uploads/files/Behandlingsveileder_FH_v1.3_oktober_2016.pdf
- (6) Current Research Information System In Norway, CRISTIN (06.03.2020). Hentet 12.01.2021, fra <https://app.cristin.no/projects/show.jsf?id=565236>
- (7) National Institute for Health and Care Excellence, NICE Hentet 12.01.2021, fra <https://www.nice.org.uk/guidance/proposed/gid-ta10655>
- (8) Evinacumab (23.11.2020) Specialist Pharmacy Service, NHS. Hentet 12.01.2021, fra <https://www.sps.nhs.uk/medicines/evinacumab/>
- (9) Hyperlipidemi, Norsk elektronisk legehåndbok (NEL) [oppdatert 19.11.2020]. Tilgjengelig fra: [Hyperlipidemi - Norsk Elektronisk Legehåndbok \(legehandboka.no\)](http://Hyperlipidemi-NorskElektroniskLegehåndbok(legehandboka.no))

5. Versjonslogg

5.1 Dato	5.2 Endringer gjort i dokument
23.04.2021	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.