

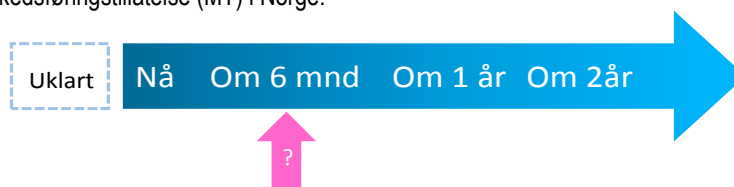


Hydrokortison (Alkindi) til substitusjonsbehandling av binyrebarkinsuffisiens hos spedbarn, barn og ungdom (fra fødsel til < 18 år)

Type metode: Legemiddel
Område: Barn og unge; Endokrinologi
Virkestoffnavn: Hydrokortison
Handelsnavn:
ATC-kode: H02AB09
MT søker/innehaver:
Finansieringsordning: Spesialisthelsetjenesten

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden er en ny formulering av et eksisterende virkestoff. Metoden har MT i Norge og EU. Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) (1).

Beskrivelse av den nye metoden

Metoden består av hydrokortison som granulat i kapsler til barn (<18 år). Kortisol (=hydrokortison) er et glukokortikoid med som produseres naturlig i binyrebarken og utøver en rekke viktige prosesser knyttet til bla. metabolisme og stressregulering. Hydrokortison har også svak mineralkortikoid effekt (2).

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Pasienter med binyrebarksvikt mangler egenproduksjon av kortisol. Binyrebarksvikt kan være primær (dysfunksjon i binyrene) eller sekundær/tertiær (forstyrrelse i hypothalamus-hypofyse-binyre-aksen). Symptomene kan være magesmerter, kvalme, svimmelhet, tretthet, lavt blodsukker (hypoglykemi) og økt pigmentering. Binyrebarksvikt kan også debutere med en akutt binyrebarksvikt preget av dehydrering, lavt blodtrykk (hypotensjon) og sjokk (Addisonkrise). Medfødt binyrebarkhyperplasi er en av de vanligste årsakene til primær svikt hos barn. Det er en genetisk defekt som medfører svikt i et steroidproduserende enzym i binyrebarken. Det fødes i dag ca. fire barn i Norge med denne sykdommen årlig. Andre årsaker til binyrebarksvikt hos spedbarn er andre sjeldne medfødte genetiske defekter som f.eks. midtlinjedefekter. Primær binyrebarksvikt kan også skyldes autoimmunitet, destruksjon av binyrevev eller medikamenter. Sekundær svikt kan skyldes ulike tilstander i hypofyse/hypothalamus som forstyrrer utskillelsen av CRH og ACTH (3,4,5).

Dagens behandling

Dagens behandling er medikamentell substitusjonsbehandling med glukokortikoider og evt. også mineralkortikoider (ved primær svikt). Hydrokortison eller kortisonacetat (begge på godkjenningsfritak) er førstevalg hos barn. Tillegg av fludrokortison er aktuelt ved behov for et mineralkortikoid (4).

Status for dokumentasjon

Metodevurderinger eller systematiske oversikter –norske

- Ingen identifisert.

Metodevurdering eller systematiske oversikter -internasjonale

- Ingen relevante systematiske oversikter identifisert, men det foreligger en skotsk anbefaling knyttet til metoden (6) og en vurdering fra TLV i Sverige (7).

Metodevarsler

- Ingen relevante identifisert

Klinisk forskning

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](#).

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
Nyfødte og barn < 6 år med binyrebarksvikt (N=24)	Hydrokortison, granulat i kapsel	-	Serum-cortisol opp til 240 minutter etter inntak	NCT02720952 (Fase III)	Avsluttet

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

- | | |
|--|-------------------------------------|
| Klinisk effekt relativt til komparator | <input checked="" type="checkbox"/> |
| Sikkerhet relativt til komparator | <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 kan være aktuell

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

Hovedkilder til informasjon

1. Alkindi. European Medicines Agency. Tilgjengelig fra: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/alkindi>
2. Hydrokortison. Norsk legemiddelhandbok. Tilgjengelig fra: <http://legemiddelhandboka.no/Legemidler/44143?expand=1>
3. Klassisk medfødt binyrebarkhyperplasi. Tidsskrift for Den Norske Legeforening. Tilgjengelig fra: <https://tidsskriftet.no/2017/03/klinisk-oversikt/klassisk-medfodt-binyrebarkhyperplasi#reference-3>
4. Pediatriveiledere, binyrebarksvikt. Helsebiblioteket. Tilgjengelig fra: <https://www.helsebiblioteket.no/pediatriveiledere?key=144417&menuitemkeylev1=5962&menuitemkeylev2=5964>
5. Binyrebarksvikt; årsak, diagnostikk og behandling. Indremedisineren. Tilgjengelig fra: <https://indremedisineren.no/2017/10/binyrebarksvikt-arsak-diagnostikk-og-behandling/>
6. Alkindi. Scottish Medicines Consortium. Tilgjengelig fra: <https://www.scottishmedicines.org.uk/media/3758/hydrocortisone-granules-alkindi-final-september-2018-for-website.pdf>
7. Alkindi. Tannvårds- og läkemedelsförmånsverket. Tilgjengelig fra: https://www.tfv.se/download/18_2eb4319b1668af6a7cdd05f1/1540556038981/bes181025_alkindi.pdf

Dato for første publisering 23.01.2019
Siste oppdatering 12.02.2019