

Metodevarsel

1. Status og oppsummering

Hydrokortison (Efmody) til behandling av medfødt binyrebarkhyperplasi hos ungdom ≥ 12 år og voksne

1.1 Oppsummering

Metoden er en ny formulering av et eksisterende virkestoff. Metoden fikk anbefaling om godkjenning av CHMP i EU i mars 2021 (1).

1.2 Kort om metoden

ATC-kode: H02AB09

Handelsnavn: Efmody

Virkestoffnavn:
Hydrokortison

Legemiddelform: Kapsel
med modifisert frisetting

MT-søker/innehaver:
Diurnal Europe BV (1, 8)

1.3 Metodetype

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

1.4 Tag (merknad)

Vaksine
 Genterapi
 Medisinsk stråling
 Companion diagnostics
 Annet:

1.5 Finansieringsansvar

Spesialisthelsetjenesten
 Folketrygd: blåresept
 Kommune
 Annet:

1.6 Fagområde

Endokrine sykdommer

1.7 Bestillingsanbefaling

Metodevurdering

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](#).

2. Beskrivelse av metoden

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

CAH er en forkortelse for *congenital adrenal hyperplasia*, som betyr medfødt forstørrede binyrer. CAH er en hormonforstyrrelse (ACTH-hormonet) som skyldes en enzymsvikt i binyrebarken. Dette fører til for lav produksjon av kortisol og aldosteron, og for høy produksjon av androgene hormoner. Den vanligste årsaken til CAH er en genfeil i CYP21A2-genet som fører til at et enzym (21-hydroxylase) i binyrebarken ikke virker som det skal. Det er to former for CAH, den alvorlig *salttapende* og *ikke salttapende* form. Den *salttapende* formen kan gi alvorlig enzymsvikt med utilstrekkelig kortisol- og aldosteronproduksjon som kan føre til uttørring, dårlig allmenntilstand og alvorlig akutt sykdom. Den *ikke salttapende* formen kan gi mer gradvise symptomer med tidlig pubertet, rask høydevekst og tidlig kjønnsbehåring i tidlig barnealder (2).

CAH er en diagnose som hører inn under nyfødtscreeningen, der prøven vil vise om barnet har CAH. I Norge fødes det om lag seks barn årlig med tilstanden (3).

Dagens behandling

CAH krever en livslang medisinsk behandling med tilførsel av kortisol (hydrokortison) og noen ganger også aldosteron. Kirurgi, hormonbehandling, psykososiale tiltak og annen behandling vurderes ut fra individuelle behov (2).

Glukokortikoider gis for å supprimere ACTH-utskillelsen og opphever derved overproduksjonen av androgener, samt erstatter en eventuell mangel på kortisol (hydrokortison) og mineralokortikoid (fludrokortison) (4).

Virkningsmekanisme

Hydrokortison er et glukokortikoid som produseres naturlig i binyrebarken. Glukokortikoider forårsaker en rekke viktige prosesser knyttet til blant annet metabolisme og stressregulering (5).

Tidligere godkjent indikasjon

NA

Mulig indikasjon

Behandling av medfødt binyrebarkhyperplasi hos ungdom ≥ 12 år og voksne (8).

Kommentar fra FHI ved Companion Diagnostics

- Metoden vil medføre bruk av ny diagnostisk metode (ny diagnostisk praksis)
 Metoden vil ikke medføre bruk av ny diagnostisk metode (allerede etablert diagnostisk praksis)

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
Voksne pasienter (≥18 år) med kjent CAH diagnostisert i barndommen (n=122)	5, 10 eller 20 mg hydrokortison basert på tidligere glukokortikoidterapi og titrert ved 4 og 12 uker hvis nødvendig	Standard glukokortikoidterapi etter pasientenes vanlige rutine	Endring i gjennomsnittlig 24-timers «Standard Deviation Score» profil for 17-OHP (17-Hydroxyprogesterone) etter 24 uker	NCT02716818 Fase III	Juli 2018
Pasienter ≥16 år med kjent CAH diagnostisert i barndommen (n=132)	5, 10 eller 20 mg hydrokortison	Standardbehandling	Responshastighet etter 52 uker	NCT03532022 Fase III	Oktober 2021
Pasienter (≥18 år) med CAH som har vært med på en klinisk studie av hydrokortison (n=92)	Åpen studie der tidligere studiepasienter fortsatt får eller blir tilbudt behandling med hydrokortison	-	Hendelser av behandlingsrelaterte bivirkninger etter 2,5 år	NCT03062280 Fase III	Februar 2020

3.2 Metodevurderinger og -varsel

Metodevurdering - nasjonalt/lokalt -	Metoden, men med en annen indikasjon, er foreslått til nasjonal vurdering (for status se NyeMetoder ID2019_17)
Metodevurdering / systematiske oversikt - internasjonalt -	Det foreligger minst en relevant internasjonal metodevurdering eller systematisk oversikt (6,7).
Metodevarsel	Ingen relevante identifisert.

4. Referanser

1. Hydrocortisone: Specialist Pharmacy Service, NHS. [oppdatert 28. januar 2020]. Tilgjengelig fra: <https://www.sps.nhs.uk/medicines/hydrocortisone/>
2. Medfødt binyrebarksvikt (CAH): Norsk helseinformatikk, NHI. [oppdatert: 05.12.2018]. Tilgjengelig fra: <https://nhi.no/sykdommer/sjeldne-tilstander/a/adrenogenitalt-syndrom/>
3. Medfødt binyrebarksvikt (CAH): Senter for sjeldne diagnoser. [oppdatert 30. juni 2020]. Hentet 31. august 2020, tilgjengelig fra: [https://sjeldnediagnoser.no/home/sjeldnediagnoser/Medf%C3%B8dt%20binyrebarksvikt%20\(CAH\)/8674](https://sjeldnediagnoser.no/home/sjeldnediagnoser/Medf%C3%B8dt%20binyrebarksvikt%20(CAH)/8674)
4. T3.5.2.3 Medfødt binyrebarkhyperplasi: Norsk elektronisk legemiddelhåndbok, NEL. [oppdatert: 21.12.2015]. Tilgjengelig fra: https://www.legemiddelhandboka.no/T3.5.2.3/Medf%C3%B8dt_binyrebarkhyperplasi
5. L3.7.1.1 Hydrokortison: Norsk elektronisk legemiddelhåndbok, NEL. [oppdatert: 11.02.2016]. Tilgjengelig fra: <https://www.legemiddelhandboka.no/L3.7.1.1/Hydrokortison>
6. Ng SM, Stepien KM, Krishan A. [Glucocorticoid replacement regimens for treating congenital adrenal hyperplasia](#). Cochrane Database Syst Rev. 2020;(3):CD012517.
7. Whittle E, Falhammar H. [Glucocorticoid Regimens in the Treatment of Congenital Adrenal Hyperplasia: A Systematic Review and Meta-Analysis](#). J Endocr Soc. 2019;3(6):1227-1245.
8. Efmody – Opinion summaries, European Medicines Agency [oppdatert 26.03.21]. Tilgjengelig fra: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/efmody>

5. Versjonslogg

5.1 Dato	5.2 Endringer gjort i dokument
23.04.2021	Laget metodevarsel
11.05.2021	Oppdatert metodevarsel
DD.MM.ÅÅÅÅ	Endret status for metoden