



Idebenone (Raxone) til førstelinjebehandling av Duchenne muskeldystrofi (DMD)

Kategori: Legemiddel

Bruksområde og fagområde: Spesialisthelsetjenesten

Generisk navn: idebenone

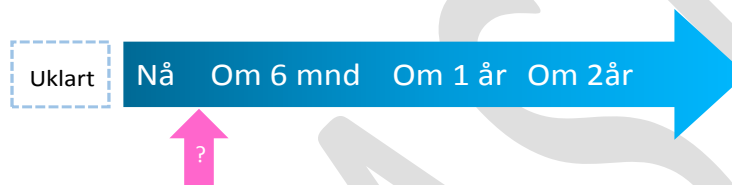
Produktnavn: Raxone

Produsent: Santhera Pharmaceutical

Søketermer/synonymer:

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Indikasjonsutvidelse er søkt i USA og Europa, sistnevnte i juni 2016. Idebenone til behandling av DMD har orphan status i både USA og [Europa](#), og er innvilget fast-track løp i USA. For mer informasjon, se [SPS](#) sine hjemmesider (1).

Forventet finansieringsordning

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

Beskrivelse av den nye metoden

Idebenone er markedsført i Norge i dag for behandling av synshemming hos ungdom og voksne pasienter med Lebers hereditære optikusnevropati (LHON). Santhera Pharmaceutical har nå søkt indikasjonsutvidelse for å inkludere pasienter med Duchenne muskeldystrofi som har nedadgående respiratorisk funksjon, men ikke behandles med glukokortikoider. Det kan brukes til pasienter som tidligere har blitt behandlet med glukokortikoider eller til pasienter hvor slik behandling er kontraindisert, ikke er ønsket eller ikke tåles.

Idebenone er et syntetisk kortkjedet benzokinon som forbedrer funksjonen i mitokondrienes respirasjonskjede. Det er også en kraftig antioksidant og motvirker på den måten oksidativ celleskade. I fase III studien fikk pasientene 900 mg daglig fordelt på 3 doseringer. Legemidlet er formulert som filmdrasjerte tabletter.

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Duchenne muskelsykdom (DMD) er forårsaket av mutasjoner i dystrofinogenet, som koder for proteinet dystrofin. Effekten av en mutasjon vil henge sammen med hvor på genet den finnes og i hvilken grad den påvirker "koden" som skal føre til produksjon av dystrofin. Dystrofin, et protein som ligger som en strømpe utenpå muskelfibrene og tjener som et støtteskjelett ved muskelsammentrekningene. Ved Duchennes muskeldystrofi mangler dystrofinet, mens det ved Beckers muskeldystrofi finnes i nedsatt mengde.

Sykdommen arves kjønnsbundet, derfor er det nesten bare gutter som affiseres. Det er sjelden en merker symptomer før 2–4-årsalderen, men etter denne perioden kommer en mer og mer påfallende muskelsvakhet. Den er mest uttalt i skuldrene og bekken-/hoftepartiet, mens kraften i hendene og føttene lenge er relativt godt bevart. Symptomene begynner med at barnet får vansker med å løpe og gå på tærne. Etter 10–12-årsalderen er pasienten som regel avhengig av rullestol, og i tenårene opptrer respirasjonsproblemer og hjertesvikt. Forekomsten av Duchennes muskeldystrofi er anslått til 1 per 3 500 – 6 000 nyfødte gutter. I Norge regner man at det er rundt 90 personer under 18 år med denne diagnosen (2).

Dagens tilbud

Det finnes ingen kurativ behandling for Duchenne muskeldystrofi. Imidlertid er det nå godt dokumentert at behandling med glukokortikoider gir bedre muskelstyrke og motorisk funksjon på kort sikt. Behandling med prednisolon eller deflazacort anbefales nå senest fra det tidspunkt da pasientens motoriske utvikling stopper opp og før han begynner å miste ferdigheter. Dagens retningslinjer springer til dels ut fra empirisk basert konsensus, og det er fortsatt mye som er uavklart med hensyn til optimal dosering og effekter av glukokortikoidbehandling på lang sikt.

Status for dokumentasjon

Metodevurdering

Metoden er ikke tidligere vurdert i Norge, men vi har identifisert et utenlandsk [metodevarsel](#) (3). Virkestoffet er markedsført til behandling av synshemming hos ungdom og voksne pasienter med Lebers hereditære optikusnevropati (LHON), men det er ikke gjennomført noen helseøkonomisk vurdering av bruken til denne indikasjonen i Norge.

Registrerte og pågående studier

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer*	Forventet ferdig
Gutter (10-18 år) med DMD uten symptomatisk kardiomyopati (n=64)	Idebenone (300 mg) 3 ganger daglig	Placebo 3 ganger daglig	Relativ endring i PEF fra baseline til uke 52	DELOS: NCT01027884	Publisert
Gutter (8-16 år) med DMD og påvist kardial dysfunksjon (n=21)	Idebenone (150 mg) 3 ganger daglig	Placebo 3 ganger daglig	Relativ endring i peak systolic radial strain of left ventricle inferolateral wall fra baseline til uke 52	DELPHI: NCT00654784	Avsluttet
Oppfølgingsstudie fra DELPHI (n=19)	Pasienter ≤ 45 kg: idebenone 150 mg x 3 Pasienter > 45 kg: idebenone 300 mg x 3	-	Sikkerhet og tolerabilitet	DELPHI Extension: NCT00758225	Avsluttet

*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"/>	En dosering på 900 mg daglig vil utgjøre en årskostnad per pasient på i underkant av 1,1 millioner ved dagens maksimalpris.
Kostnadseffektivitet	<input checked="" type="checkbox"/>	
Organisatoriske konsekvenser	<input type="checkbox"/>	
Etikk	<input checked="" type="checkbox"/>	Sjelden, alvorlig sykdom med høye behandlingskostnader
Juridiske konsekvenser	<input type="checkbox"/>	
Annet	<input type="checkbox"/>	

Hva slags metodevurdering er aktuell

Hurtig metodevurdering	<input checked="" type="checkbox"/>	Vurdering av refusjonsverdighet etter kriterier i blåreseptforskriften
Fullstendig metodevurdering	<input type="checkbox"/>	

Hovedkilder til informasjon

Hovedkilder for metodevarselet er:

- www.sps.nhs.uk
- [Tidsskriftet for Den norske legeförening](#)
- [HSRIC - Idebenone \(Raxone\) for Duchenne muscular dystrophy – first line](#)

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

Første varsel 06.07.2016

Siste oppdatering 10.11.2016