

## Metodevarsel

### 1. Status og oppsummering

Lonafarnib til behandling av *Hutchinson-Gilfords progeria syndrom* (Progeria) og *progeroid laminopati*

#### 1.1 Oppsummering

Metoden omfatter et nytt virkestoff.

Metoden har foreløpig ikke MT i Norge, EU eller i USA, men er under vurdering hos det Europeiske Legemiddelbyrået (EMA) og US Food and Drug Administration (FDA). Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) (1).

#### 1.2 Kort om metoden

ATC-kode: A16A

Virkestoffnavn: Lonafarnib

Handelsnavn: NA

Legemiddelform: Kapsel (1)

MT-søker/innehaver:  
Eiger Bio (1)

#### 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

Muskel-, skjelett- og bindevevssykdommer

#### 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 metodevarslere. Metodevarslere som skal vurderes på nasjonalt nivå i Bestillerforum RHF til spesialisthelsetjenesten publiseres på [nyemetoder.no](http://nyemetoder.no). For mer informasjon om identifikasjon av metoder, produksjon av metodevarslere og hvordan disse brukes, se [Om MedNytt](#).

## 2. Beskrivelse av metoden

### Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Hutchinson-Gilford Progeria Syndrome (Progeria) er en medfødt, genetisk sykdom som gir tidlig og rask aldring av kroppens organer. Progeria er forårsaket av en mutasjon i LMNA-genet. Sykdommen viser seg når barnet er mellom ett til to år ved at barnet ikke øker i vekst som forventet og utvikler et karakteristisk utseende. Motorisk, intellektuell og emosjonell utvikling er normal. Barn med progeria utvikler aterosklerose som kan føre til hjerteinfarkt, hjerneslag eller død i ung alder (gjennomsnittsalder 14,5 år). (2,4,6) På verdensbasis anslås det at det fødes ett barn med sykdommen per 4 millioner nyfødte. Det er i vitenskapelig litteratur rapportert ca. 130 tilfeller siden tilstanden ble beskrevet i 1886. (2)

Progeroide laminopatier er genetiske forhold for akselerert aldring forårsaket av en konstellasjon av mutasjoner i lamin A og/eller Zmpste24 gener. Samlet sett er den verdensomspennende utbredelsen av progeroide laminopatier sannsynligvis større enn ved Progeria.(4).

### Dagens behandling

Det finnes per i dag ingen helbredende behandling for progeria. Det gjennomføres imidlertid noen forsøk på medikamentell behandling. (2)

### Virkningsmekanisme

Progeria er forårsaket av en mutasjon i LMNA genet som produserer lamin A, et protein som hjelper cellene i kroppen til å være sterke og stabile. Unormal lamin A fører til ødeleggelser i cellene og tidlig aldring.

Det er forventet at lonafarnib skal hjelpe til å forhindre dannelse av unormal lamin A. (3)

### Tidligere godkjent indikasjon

NA

### Mulig indikasjon

Lonafarnib til behandling av Hutchinson-Gilfords progeria syndrom (Progeria) og progeroide laminopatier.

### Kommentar fra FHI ved Companion Diagnostics

[Dersom metoden dreier seg om companion diagnostics, skriver FHI om testen her]

- 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
Pasienter over 12 måneder med diagnose HGPS eller progeroid laminopathy (N=ukjent)	Lonafarnib	Ingen	Ikke spesifisert	<a href="#">NCT03895528</a> , (Fase 3)	Pågår
Pasienter over ett år som har G608G mutasjon i lamin A genot (N=29)	Lonafarnib to ganger daglig med en dose på 115mg/m <sup>2</sup> og en økning til 150 mg/m <sup>2</sup>	Ingen	Vekt oppgang	<a href="#">NCT00425607</a> , (Åpen - Fase 2)	Avsluttet.
Pasienter som har mutasjon i lamin A genot (N=5)	Lonafarnib to ganger daglig med en dose på 150mg/m <sup>2</sup> . Zoledronic Acid i uke én av behandlingen. Pravastatin 5/10 mg daglig	Ingen	Andelen som ikke opplevde bivirkninger av å få kombinasjon av de tre legemidlene	<a href="#">NCT00879034</a> (Åpen - Fase 2)	Avsluttet

#### 3.2 Metodevurderinger og -varsel

Metodevurdering - nasjonalt/lokalt -	- Ingen relevante identifisert
Metodevurdering / systematiske oversikt - internasjonalt -	- Ingen relevante identifisert
Metodevarsel	- Ingen relevante identifisert

## 4. Referanser

- (1) Lonafarnib (13.07.2020), Specialist Pharmacy Service, NHS. Hentet 19.08.2020, fra <https://www.sps.nhs.uk/medicines/lonafarnib/>
- (2) Medisinsk beskrivelse av progeria, Frambu – kompetansesenter for sjeldne sykdommer. Hentet 19.08.2020, fra <https://frambu.no/diagnosebeskrivelse/medisinsk-beskrivelse-progeria/>
- (3) European Medicines Agency, EMA. Hentet 19.08.2020, fra <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3182118>
- (4) Eiger Announces Breakthrough Therapy Designation Granted by FDA for Lonafarnib in Progeria and Progeroid Laminopathies, Eiger Pharmaceuticals. Hentet 27.08.2020. Tilgjengelig fra: <http://www.eigerbio.com/eiger-announces-breakthrough-therapy-designation-granted-by-fda-for-lonafarnib-in-progeria-and-progeroid-laminopathies/>
- (5) Introne W.J, Meredith M.A. Hutchinson-Gilford progeria syndrome. [Oppdatert Jul 2020, hentet 27.08.2020]. Tilgjengelig fra: [https://www.uptodate.com/contents/hutchinson-gilford-progeria-syndrome?search=progeroid%20laminopathy&source=search\\_result&selectedTitle=1~4&usage\\_type=default&display\\_rank=1](https://www.uptodate.com/contents/hutchinson-gilford-progeria-syndrome?search=progeroid%20laminopathy&source=search_result&selectedTitle=1~4&usage_type=default&display_rank=1)

## 5. Versjonslogg

5.1 Dato	5.2 Endringer gjort i dokument
18.09.2020	Laget metodevarsel
DD.MM.ÅÅÅÅ	Endret dokumentasjonsgrunnlag basert på nytt søk av DD.MM.ÅÅÅÅ
DD.MM.ÅÅÅÅ	Endret status for metoden