

## Metodevarsel

### 1. Status og oppsummering

#### Lumasiran til behandling av primær hyperoksaluri type 1 (PH1)

##### 1.1 Oppsummering

Metoden omfatter et nytt virkestoff. Metoden har MT i Norge, EU og i USA fra november 2020. Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) (1).

##### 1.2 Kort om metoden

ATC-kode: A16A  
Virkestoffnavn: Lumasiran  
Handelsnavn:  
Legemiddelform: Subkutan injeksjon  
MT-søker/innehaver: Alnylam  
Netherlands B.V. (1, 4)

##### 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

Sykdommer i nyrer, urinveier og kjønnsorganer

##### 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  
**Kommentar:**

Juridiske konsekvenser  
 Etske vurderinger  
 Organisatoriske konsekvenser  
 Annet

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](http://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

Primær hyperoksaluri type 1 (PH1) er en arvelig metabolsk sykdom forårsaket av mangel på enzymer kroppen trenger for å bryte ned et stoff som kalles glykoxylat. Pasienter med PH1 har høye nivåer av oksalat i urinen, fordi glykoxylat i stedet for å bli omdannet til aminosyren glysin omdannes til overflødig oksalat. Oksalat kan danne kalsiumoksalatavleiringer, noe som kan forårsake stein i nyrene og urinveiene, samt skader på andre organer som hjerte, øyne, bein og hud. Karakteristiske symptomer på sykdommen inkluderer blod i urinen, magesmerter og hyppige urinveisinfeksjoner. PH1 er langvarig svekkende og livstruende på grunn av den høye frekvensen av nyresvikt hos pasienter med tilstanden (2,3).

Det er estimert at ca. 0,05 per 10 000 mennesker har lidelsen i Europa (3).

### Dagens behandling

Det foreligger ingen metoder som behandler PH1 i Europa. Diettendringer, væskeinntak og tillegg av vitamin B6 brukes for å forebygge akkumulasjon av kalsiumoksalat. I noen tilfeller er det nødvendig med nyre- og levertransplantasjon (3).

### Virkningsmekanisme

Lumasiran er en RNA-interferens som hemmer et gen som koder glykolytase, et enzym som medierer produksjonen av glykoxylat. Dette reduserer oksalatproduksjonen og har derfor potensial til å forhindre opphopning av oksalat hos mennesker med PH1, samt forebygge påfølgende komplikasjoner, som for eksempel forverring av nyresykdom (3).

### Mulig indikasjon

Primær hyperoksaluri type 1 (4).

### 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
Pasienter som er 6 år og eldre med bekreftet PH1 sykdom (n=39)	Flere doser lumasiran ved subkutan (SC) injeksjon	Placebo	Prosentvis endring i 24-timers urinoksalatutskillelse fra baseline til måned 6	<a href="#">NCT03681184</a> Fase III	Estimert avslutningsmåned januar 2024
Barn fem år og yngre med bekreftet PH1 sykdom (n=18)	Lumasiran administrert ved subkutan injeksjon	Ingen	Prosentvis endring i urinoksalatutskillelse fra baseline til måned 6	<a href="#">NCT03905694</a> Fase III	Estimert avslutningsmåned august 2024

#### 3.2 Metodevurderinger og –varsel

<b>Metodevurdering - nasjonalt/lokalt -</b>	Ingen relevante identifisert
<b>Metodevurdering / systematiske oversikt - internasjonalt -</b>	Ingen relevante identifisert
<b>Metodevarsel</b>	Det foreligger minst et relevant metodevarsel (5, 6).

## 4. Referanser

1. Lumasiran: Specialist Pharmacy Service, NHS. [Oppdatert: 20. oktober 2020]. Tilgjengelig fra: <https://www.sps.nhs.uk/medicines/lumasiran/>
2. Pediatriveiledere, 10.10 Urinveisstein: Norsk barnelegeforening. [Revidert 2018]. Tilgjengelig fra: <https://www.helsebiblioteket.no/pediatriveiledere?key=144623&menuitemkeylev1=5962&menuitemkeylev2=5972>
3. EU/3/16/1637: European Medicines Agency. [Oppdatert: 2. April 2016]. Tilgjengelig fra: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3161637>
4. Committee for medicinal products for human use (CHMP) - Agenda for the meeting on 20-23 July 2020: European Medicines Agency. [Oppdatert: 27. Juli 2020]. Tilgjengelig fra: [https://www.ema.europa.eu/en/documents/agenda/agenda-chmp-agenda-20-23-july-2020-meeting\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/agenda/agenda-chmp-agenda-20-23-july-2020-meeting_en.pdf)
5. Lumasiran for primary hyperoxaluria type I (April 2019). National Institute for Health Research (NIHR); Lest 19. August 2020. Tilgjengelig fra <http://www.io.nihr.ac.uk/wp-content/uploads/2019/05/17212-Lumasiran-for-PH1-V1.0-APR2019-NONCONF.pdf>
6. Lumasiran for primary hyperoxaluria type 1 in paediatric patients aged up to 5 years (Oktober 2019). National Institute for Health Research (NIHR); Lest 19. August 2020. Tilgjengelig fra [http://www.io.nihr.ac.uk/wp-content/uploads/2019/11/27163-TSID\\_10233-Lumasiran-for-Primary-Hyperoxaluria-Type-1-V.1.0-OCTOBER2019\\_NON-CONF.pdf](http://www.io.nihr.ac.uk/wp-content/uploads/2019/11/27163-TSID_10233-Lumasiran-for-Primary-Hyperoxaluria-Type-1-V.1.0-OCTOBER2019_NON-CONF.pdf)

## 5. Versjonslogg

5.1 Dato	5.2 Endringer gjort i dokument
11.12.2020	Laget metodevarsel
DD.MM.ÅÅÅÅ	Endret dokumentasjonsgrunnlag basert på nytt søk av DD.MM.ÅÅÅÅ
DD.MM.ÅÅÅÅ	Endret status for metoden