



Masitinib til behandling av amyotrofisk lateral sklerose (ALS)

Kategori: Legemiddel

Sykdomsområde:

Generisk navn: Masitinib

Produsent: AB Science (1)

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Legemidlet er foreløpig ikke godkjent for gjeldende indikasjon. Søknad om markedsføringstillatelse er under behandling hos europeiske legemiddelmyndigheter. For mer informasjon se [SPS](#).

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

Masitinib i kombinasjon med riluzol er indikert til behandling av voksne pasienter med amyotrofisk lateral sklerose. Masitinib er en tyrosin kinase-hemmer (TKI), som utøver effekt gjennom å hemme kolonistimulerende faktor 1 reseptor (CSF1R) på glialceller, og på denne måten hemme proliferasjon av glialceller, inkludert avvikende mikroglialceller som er sterkt assosiert med motornevrondegenerering. En sekundær virkningsmekanisme er at masitinib nedregulerer inflammasjon i glialceller gjennom hemming av c-Kit/SCF- og LYN/FYN-signalveiene. Masitinib er formulert som tablett og tas peroralt.

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Amyotrofisk lateral sklerose (ALS) er en sykdom som fører til muskelsvinn fordi nervecellene som sender signaler fra hjernen til musklene blir ødelagt. Dette fører til at musklene som mister sin nerveforsyning blir gradvis svakere og tynnere. De første symptomene manifesterer seg vanligvis ved svekkelse i en arm, et ben eller som utydelig tale. Derfra vil symptomene forverres, og pasienter med ALS vil etter hvert få problemer med å gå og det kan bli vanskelig å bruke armene. Musklene i svelget kan lammes, som fører til vansker med å svelge mat og drikke (2). Kun de viljestyrt musklene rammes, noe som fører til at intellekt, hjertemuskulatur, øyemuskulatur, blærefunksjon og tarmfunksjon ikke blir påvirket av sykdommen (3).

Sykdommen forekommer oftest hos personer i alderen 40-70 år, og opptrer oftere hos menn enn hos kvinner. Det oppstår ca 1-2 tilfeller pr 100 000 innbygger hvert år, og i Norge er det ca 300-400 pasienter med diagnose ALS til enhver tid (4). Om lag 5-10 % av pasientene er i live etter 10 år men de fleste pasienter med ALS dør av luftveisinfeksjoner og sviktende lungefunksjon (4).

Dagens tilbud

Eneste tilgjengelige legemiddelbehandling mot ALS er riluzol, som er dokumentert å kunne forsinke tiden fra diagnose til død med ca 6 måneder dersom behandling startes tidlig i forløpet (5).

Status for dokumentasjon

Norsk metodevurdering

Metodevurdering av masitinib til behandling av mastocytose ble bestilt av Bestillerforum 12.12.2016: [ID2016_088](#).

Vi har identifisert et relevant metodevarsel fra NHS: [Masitinib for amyotrophic lateral sclerosis – add-on therapy to riluzole](#)

Registrerte og pågående studier					
Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer*	Forventet ferdig
Voksne pasienter med ALS (N = 381)	Masitinib og riluzol	Placebo og riluzol	Endring i ALS funksjonsskala fra baseline til uke 48	NCT02588677	Juni, 2017
*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"/>				
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 er aktuell					
Hurtig metodevurdering	<input checked="" type="checkbox"/>				
Fullstendig metodevurdering	<input type="checkbox"/>				
Hovedkilder til informasjon					
Hovedkilder for metodevarselet er:					
1. Specialist Pharmacy Service – Masitinib (oppdatert januar, 2017)					
2. Helsenorge.no – ALS – muskelsvinnsykdom (oppdatert juli, 2012)					
3. Kunnskapssenteret - Forskning om Amyotrofisk lateral sklerose (ALS) - en gjennomgang og oppsummering om behandling, tilrettelegging/hjelpemidler (f.eks pustemaskin, bi-pap) og etiske utfordringer (november, 2014)					
4. Norsk Elektronisk Legehåndbok – Amyotrofisk lateral sklerose ALS (oppdatert oktober, 2015)					
5. Norsk legemiddelhandbok – T6.6 Amyotrofisk lateralsklerose (april, 2016)					
Se under arkfanen mer om oss for mer informasjon om prosess og prosedyre for metodevarslng.					
Første varsel	20.02.2017				
Siste oppdatering	08.03.2017				