



## Masitinib til behandling av mastocytose

Kategori: Legemiddel

Bruksområde og fagområde: Spesialisthelsetjenesten;

Generisk navn: Mastinib

Produsent: AB Science

Søketermer/synonymer:

### Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Masitinib har markedsføringstillatelse i EU som veterinærmedisin under indikasjon til behandling av mastcelle tumor hos dyr (Masivet). Søknad om markedsføringstillatelse som human medisin til behandling av mastocytose (orphan drug) i Europa ble levert i september 2016 og legemidlet er derfor ikke godkjent for bruk i Norge ennå.

### Forventet finansieringsordning

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

### Beskrivelse av den nye metoden

Ca. 80% av alle med systemisk mastocytose har en ervervet mutasjon i arveanlegget KIT. Mutasjonen gjør at mastcellen stimuleres til celledeling, som medfører akkumulering i vev. Masitinib er en tyrosin kinase inhibitor (TKI) som selektivt og effektivt hemmer mastcellevekstfaktor reseptor. Dette medfører stans i celleproliferasjon, hemming av cellesyklusprogresjon og induksjon av apoptose, og således reduserer mastcelle akkumulering i kroppsvev. Masitinib er formulert som tablett og tas peroralt.

### Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Mastocytose er en tilstand karakterisert ved invasjon av mastceller i kroppens organer. Mastceller er en type hvit blodcelle som dannes i benmargen og finnes i nesten alle kroppens organer. Mastcellene produserer histamin samt andre stoffer som forårsaker allergiske og anafylaktiske reaksjoner. Akkumulering av mastceller i kroppens organer kan hemme organets funksjonalitet og medføre organsvikt. Mastocytose kan inndeles i systemisk form der hele kroppen er påvirket, som er den mest alvorlige formen, eller cutant form, der kun huden er påvirket. Systemisk mastocytose er en sjelden tilstand, basert på anslag er trolig færre enn 500 voksne i Norge rammet. Systemisk mastocytose rammer nesten aldri barn, mens cutant mastocytose opptrer først og fremst hos barn (1).

### Dagens tilbud

Det finnes foreløpig ingen kurativ behandling av mastocytose, dagens behandling intenderer å redusere symptomene og forbedre livskvalitet. Behandlingstilbud består hovedsakelig av antihistaminer, ved ytterligere behov kan okklusjonsbehandling med kortisonholdig krem og lysterapi benyttes. Ved systemisk mastocytose brukes det også mastcellestabilisatorer (natriumkromoglikat mikstur), leukotrienerantagonist, og benzodiazepiner. Ved alvorligere former kan det være behov for behandling med cytostatika og tyrosinkinasehemmer (imatinib) for reduksjon av antall mastceller.

### Status for dokumentasjon

### Metodevurdering

Metoden har ikke vært vurdert i Norge tidligere.

### Registrerte og pågående studier

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer*	Forventet ferdig
n= 25 pasienter med diagnostisert systemisk og kutant mastocytose	masitinib 3 eller 6 mg / kg / dag i 12 uker	ingen	endring av kliniske symptomer fra baseline	Studienummeret mangler, vedlegger linken <a href="https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/21108325/">pubmed/21108325</a>	
n= 200 pasienter med diagnostisert systemisk og kutant mastocytose	masitinib (AB1010) 6 mg/kg/day	placebo	behandlingsrespons ved uke 24, samt respons i mastocytose variabler	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT00814073">NCT00814073</a>	Des 2018

\*ClinicalTrials.gov Identifiser [www.clinicaltrials.gov](http://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

1. [senter for sjeldnediagnoser](#)

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

Første varsel	29.09.2016
Siste oppdatering	10.10.2016