

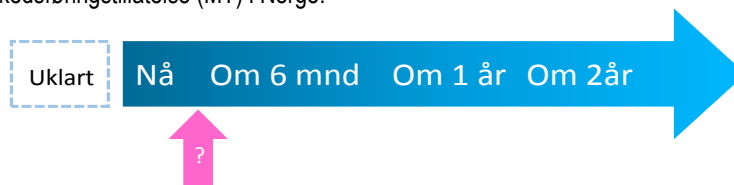


Natriumoksybat til behandling av narkolepsi med katapleksi hos barn fra 7 år og eldre

Type metode: Legemiddel
Område: Barn og unge; Nevrologi; Psykisk helse;
Virkestoffnavn: Natriumoksybat (sodium oxibate)
Handelsnavn: Xyrem
ATC-kode: N07XX04
MT søker/innehaver: UCB
Finansieringsansvar: Folketrygden; Blå resept

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden omfatter en indikasjonsutvidelse. 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) (1).

Beskrivelse av den nye metoden

Natriumoksybat ble opprinnelig godkjent til behandling av voksne med narkolepsi med katapleksi av EMA i 2005 (2). Den aktuelle indikasjonsutvidelsen omfatter en utvidelse av pasientpopulasjonen til å også omfatte barn fra 7 år og oppover (1).

Natriumoksybat har en dempende effekt på sentralnervesystemet. Den eksakte virkningsmekanismen er ikke kjent, men det antas at natriumoksybat virker ved å endre hjerneaktiviteten, og fremme delta-hjernebølger som øker den dype nattesøvnen. Dette øker tiden tilbragt sovende om natten, og reduserer antall soveperioder i løpet av dagen (2).

Natriumoksybat er formulert som en mikstur som administreres peroralt (2).

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Narkolepsi er en kronisk nevrologisk forstyrrelse av søvnreguleringen som gir anfall med ekstrem søvntrang på dagtid. Mange opplever i tillegg anfall med tap av muskelkraft, kalt katapleksi. Tilstanden inntreffer vanligvis i tenårene eller i 20-årsalderen, men forekommer også hos yngre barn (3). Narkolepsi skyldes i de fleste tilfeller arvelige faktorer, men der er ennå ikke kartlagt hva som utløser sykdommen (4). Det antas at omkring 1000 personer lider av narkolepsi med katapleksi i Norge i dag (3). Videre anslås det at omtrent 100-150 barn lever med narkolepsi i Norge i dag (5).

Dagens behandling

Det foreligger retningslinjer for utredning og behandling av barn og unge med narkolepsi, utgitt i 2013 av Nasjonalt Kompetansesenter for AD/HD, Tourettes Syndrom og Narkolepsi. Ikke-medikamentell behandling går ut på å forbedre søvnhygiene og tilrettelegging av skole- og arbeidshverdag, men det vil vanligvis være behov for tillegg av medikamentell behandling. Legemiddelbehandling av barn med narkolepsi tar sikte på å dempe søvntrangen på dagtid og forebygging av katapleksianfall hvis disse er hyppige og plagsomme (5).

Ifølge retningslinjene er førstevalg for å dempe søvntrangen på dagtid modafinil, men også metylfendinat, atomoksetin og natriumoksybat kan være aktuelle alternativer. Ingen av disse er imidlertid godkjent til behandling av barn med narkolepsi. Til forebygging av katapleksi hos barn anbefales *off label*-bruk av venlafaksin eller natriumoksybat (5).

Status for dokumentasjon

Metodevurderinger eller systematiske oversikter -norske

Ingen relevante norske systematiske oversikter eller metodevurderinger er identifisert.

Metodevurdering eller systematiske oversikter -internasjonale

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. Statens legemiddelverk har ansvar for innholdet i metodevarslere om legemidler som fremstiller et overordnet bilde av det kommende legemidlet på et tidlig tidspunkt. MedNytt er Folkehelseinstituttets publiseringsplattform for metodevarslere. For mer informasjon om metodevarslere, se [Om MedNytt](#).

Det foreligger minst to relevante internasjonale systematiske oversikter (6)(7).

Metodevarsler

Det foreligger minst ett internasjonalt metodevarsel (1).

Klinisk forskning

Den antatt viktigste studien for vurdering av metoden er vist i tabellen under:

| Populasjon (N =antall deltagere) | Intervensjon | Kontrollgruppe | Utfallsmål | Studienavn og nummer* (fase) | Tidsperspektiv resultater |
|---|--|----------------|---|---|--|
| Barn alder 7-12 år diagnostisert med narkolepsi med katapleksi (N=106). | Natriumoksybat ≤9 g administrert hver kveld. | Placebo. | -Endring i antall katapleksianfall fra baseline etter 2 uker. -Endring i Epqorth Sleepiness Scale for Children and Adolescents etter 2 uker. | NCT02221869 , Fase III. | Primære utfall fullført februar 2017, publikasjon foreligger . |

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

| | | |
|--|-------------------------------------|--|
| Klinisk effekt relativt til komparator | <input checked="" type="checkbox"/> | Kjent behandlingsprinsipp, ny pasientpopulasjon. |
| Sikkerhet relativt til komparator | <input checked="" type="checkbox"/> | Kjent bivirkningsprofil, ny pasientpopulasjon. |
| 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 kan være aktuell

| | |
|-----------------------------|-------------------------------------|
| Hurtig metodevurdering | <input checked="" type="checkbox"/> |
| Fullstendig metodevurdering | <input type="checkbox"/> |

Hovedkilder til informasjon

- (1) *Sodium oxybate – Xyrem (EU), Rekinla · Narcolepsy with cataplexy in children and adolescents aged 7 years and older*, Specialist Pharmacy Service, NHS [oppdatert 11.09.2018]. Tilgjengelig fra: <https://www.sps.nhs.uk/medicines/sodium-oxybate/>
- (2) *Preparatomtale – Xyrem*, European Medicines Agency [13.08.2018]. Tilgjengelig fra: https://www.ema.europa.eu/documents/product-information/xyrem-epar-product-information_no.pdf
- (3) *Narkolepsi*, Norsk helseinformatikk [oppdatert 21.03.2018]. Tilgjengelig fra: <https://nhi.no/livsstil/egenomsorg/narkolepsi/>
- (4) *Narkolepsi*, Helsenorge.no [oppdatert 01.05.2014]. Tilgjengelig fra: <https://helsenorge.no/sykdom/sovnproblemer/narkolepsi>
- (5) *Retningslinjer for utredning og behandling av barn og unge med narkolepsi*, Nasjonalt kompetansesenter for AD/HD, tourettes syndrom og narkolepsi [utgitt juli 2013]. Tilgjengelig fra: https://oslo-universitetssykehus.no/seksjon/nasjonalt-kompetansesenter-for-nevrou utviklingsforstyrrelser-og-hypersomnier/Documents/Diagnose-infomateriell-brosjyrer/Narkolepsi-retningslinjer_barn_web.pdf
- (6) AlshaiKH MK, et al. (2012). Sodium oxybate for narcolepsy with cataplexy: systematic review and meta-analysis. *J Clin Sleep Med*. 8(4), 451-458.
- (7) Boscolo-Berto R, et al. (2012). Narcolepsy and effectiveness of gamma-hydroxybutyrate (GHB): a systematic review and meta-analysis of randomized controlled trials. *Sleep Med Rev*. 16(5), 431-443.

Dato for første publisering 12.11.2018
Siste oppdatering 12.11.2018

