



Pacritinib til behandling av pasienter med myelofibrose (primær, PPV og PET)

Kategori: Legemiddel

Bruksområde og fagområde: Spesialisthelsetjenesten;

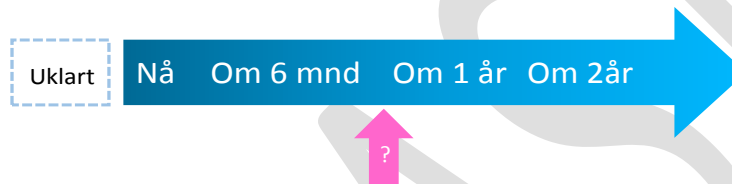
Generisk navn: pacritinib

Produsent: Baxalta Innovations GmbH

Søketermer/synonymer:

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:


 Metoden er søkt markedsføringstillatelse, men er ikke tatt i bruk Norge eller Europa. For mer informasjon om status, se [SPS \(1\)](#) eller [EMA \(2\)](#) sine sider.

Forventet finansieringsordning

Sykehus	<input checked="" type="checkbox"/>	Anbefalt overført til RHF
Blå resept	<input type="checkbox"/>	
Egenfinansiering	<input type="checkbox"/>	
Usikkert	<input type="checkbox"/>	

Beskrivelse av den nye metoden

Pacritinib er en ny Janus kinase 2- og fms-lignende reseptor tyrosin kinase 3 (JAK2/FLT3)-hemmer formulert som orale kapsler. Forventet indikasjon er: behandling av splenomegali eller symptomer hos voksne pasienter med primær myelofibrose (PMF), post-polycytemia vera (PPV), og post-essensiell trombocytomia myelofibrose (PET).

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Maligne blodsykdommer er en fellesbetegnelse på blodkreftsykdommer. De myeloproliferative sykdommene er klonale sykdommer som oppstår i en pluripotent hematopoietisk stamcelle, og gir en uregulert økning i antallet erytrocytter, leukocyter eller blodplater, alene eller i kombinasjon. Myelofibrose (MF) kan klassifiseres som: primær myelofibrose (PMF), post-polycytemia vera (PPV) og post-essensiell trombocytomia (PET) hvor de siste har transformert fra et tidligere stadium PV og ET. Transformasjon til akutt myelogen leukemi kan også oppstå (3).

Myelofibrose er en sjelden tilstand, om lag 0,75 rammes per 100.000. Gjennomsnittlig diagnostidspunkt er mellom 50 og 70 år. Forventet overlevelse ved PV og ET er generelt gode. Prognosen med MF er adskillig kortere, men varierer. Median overlevelse har blitt estimert til 5 år.

Dagens tilbud

Når det er behov for medikamentell behandling for PMF, PV og ET velges ofte hydroksyurea først, deretter interferon-alfa. I henhold til nasjonalt handlingsprogram for maligne blodsykdommer er Jakvi et alternativ som deretter kan forsøkes (3).

Status for dokumentasjon

Metodevurdering

Metoden har ikke tidligere vært vurdert i Norge.

 Vi har identifisert et utenlandsk metodevarsel, se [NHS evidence \(4\)](#).

Registrerte og pågående studier

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer*	Forventet ferdig
Pasienter med intermediær eller høy risiko myelofibrose (N=327)	Pacritinib 400 mg en gang daglig	BAT (Best Available Therapy)	≥35 % reduksjon i miltvolum (SVR)	NCT01773187	Jan 2018
Pasienter med trombocytose (N=300)	Pacritinib 400mg en gang daglig eller 200mg to ganger daglig	BAT (Best Available Therapy)	≥35 % reduksjon i miltvolum (SVR)	NCT02055781	Aug 2019

*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:

- <https://www.sps.nhs.uk>
- <http://www.ema.europa.eu>
- <http://www.helsebiblioteket.no/retningslinjer/maligne-blodsykdommer/myeloproliferative-sykdommer>

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

Første varsel	13.10.2016
Siste oppdatering	01.11.2016