

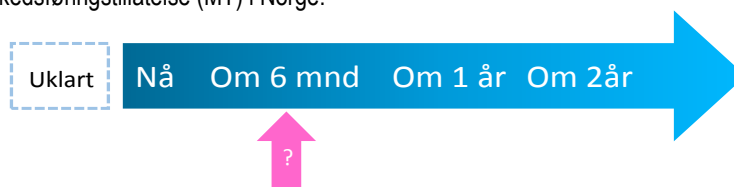


Ranibizumab (Lucentis) til behandling av retinopati hos premature spedbarn

Type metode: Legemiddel
Område: Barn og unge; kreft
Virkestoffnavn: Ranibizumab
Handelsnavn: Lucentis
ATC-kode: S01LA04
MT søker/innehaver: Novartis Europharm Ltd. (1)
Finansieringsansvar: Spesialisthelsetjenesten

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) (1).

Beskrivelse av den nye metoden

Ranibizumab (Lucentis) er fra tidligere godkjent til bruk hos voksne ved ulike øyesykdommer, bl.a. behandling av aldersrelatert svekkelse av den gule flekken sentralt i netthinnen (makuladegenerasjon). Ranibizumab er en humanisert, rekombinant antistoff-fragment rettet mot human vaskulær endotelial vekstfaktor A (VEGF-A). Det binder seg i stor grad til VEGF-A-isoformer, og hindrer dermed VEGF-A til å binde seg til sine reseptorer. Dersom VEGF-A binder seg til sine reseptorer, resulterer det i utvikling og vekst av unormale blodkar i øyne, og lekkasje fra blodkar.

Den nye metoden administreres som injeksjon i øyet under lokal bedøvelse, og vil være den første anti-VEGF-behandling ved sykdom på netthinnen (retinopati) hos premature spedbarn (2, 3).

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Sykdom på netthinnen (retinopati) hos premature spedbarn (ROP) beskrives som blodkar i øynene som ikke er normalt utviklet. Veksten i blodårene går parallelt med utviklingen av netthinnen, og er ikke ferdig før ved termin. Desto yngre og sykere barnet er ved fødsel, desto høyere er risikoen for å utvikle alvorlig ROP. Hos premature barn kan veksten av karene først stoppe opp, for så å vokse for fort. Dette kan føre til blødninger og utvikling av arrvev som kan skade netthinnen og synet til barnet. Dette kan utvikles til tap av syn eller blindhet hvis det ikke diagnostiseres eller behandles tidlig. De fleste pasienter har en mild form av denne sykdommen som ikke krever behandling og blir bedre av seg selv. Ved avansert ROP er eneste behandling operasjon eller laserbehandling.

Premature med gestasjonsalder under 32 uker anbefales rutineundersøkt, ca. 5 % av barna som undersøkes trenger behandling. 1-2 barn blir blinde i Norge hvert år, selv om de får behandling. Det finnes ingen informasjon om forekomst av ROP i Norge (4,5).

Dagens behandling

Om blodårene vokser unormalt kan netthinnen laserbehandles for å dempe veksten av karene. Noen barn kan også ha nytte av veksthemmende medisin som sprøytes inn i øyet. Anti-VEGF slik som Lucentis og Avastin er i bruk allerede i dag (4,5).

Status for dokumentasjon

Metodevurderinger eller systematiske oversikter –norske

- Ingen relevante identifisert

Metodevurdering eller systematiske oversikter -internasjonale

- Det foreligger en relevant internasjonal systematisk oversikt (6).

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 metodevarslinger om legemidler som fremstiller et overordnet bilde av det kommende legemidlet på et tidlig tidspunkt. MedNytt er Folkehelseinstituttets publiseringsplattform for metodevarslinger. For mer informasjon om metodevarslinger, se [Om MedNytt](#).

Metodevarsler

- Det foreligger ett internasjonalt metodevarsel (3).

Klinisk forskning

De antatt viktigste studiene for vurdering av metoden er vist i tabellen under:

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Utfallsmål	Studienavn og nummer* (fase)	Tidsperspektiv resultater
Premature spedbarn med fødselsvekt under 1500 g med bilateral ROP (N=224)	1. Ranibizumab 0,1 mg 1 injeksjon i begge øyne ved dag 1 (baseline). Opptil 2 re-behandlinger i hvert øye ved behov. 2. Ranibizumab 0,2 mg 1 injeksjon i begge øyne de dag 1 (baseline). Opptil 2 re-behandlinger i hvert øye ved behov.	Laserbehandling i begge øyne ved dag 1 (baseline) med evt. tilleggsbehandling	Andel pasienter med fravær av aktiv ROP og fravær av uheldige strukturelle endringer i begge øyne ved uke 24	RAINBOW NCT02375971 Fase III, randomisert	Avsluttet desember 2017
Pasienter som suksessfullt gjennomgikk kjernestudien RAINBOW. Pasienter som fikk intervensjonsbehandling i begge øyne ved baseline i RAINBOW-studien. Rekruttering pågår (N=224)	1. Ranibizumab 0,1 mg 1 injeksjon i begge øyne ved dag 1 (baseline). Opptil 2 re-behandlinger i hvert øye med minimum 28 dagers intervall. 2. Ranibizumab 0,2 mg 1 injeksjon i begge øyne ved dag 1 (baseline). Opptil 2 re-behandlinger i hvert øye med minimum 28 dagers intervall.	Laserbehandling	Synsfunksjon ved pasientens 5-årsbursdag målt ved skarpsynet i det bedre øyet.	RainbowEXT NCT02640664 Fase III, ikke randomisert	Estimert avsluttet oktober 2022

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

Klinisk effekt relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	Nytt behandlingsprinsipp ved retinopati hos premature spedbarn.
Sikkerhet relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	
Kostnader/ressursbruk	<input checked="" type="checkbox"/>	
Kostnadseffektivitet	<input 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 type="checkbox"/>	Kommentar SLV: Foreslår kun oppsummering av behandlingseffekt, legemiddelkostnader og budsjettberegninger.
------------------------	--------------------------	--

Fullstendig metodevurdering

Hovedkilder til informasjon

1. EMA. Hentet 14.12.2018 fra: https://www.ema.europa.eu/documents/agenda/agenda-chmp-agenda-12-15-november-2018-meeting_en.pdf
2. EMA. Hentet 14.12.2018 fra: https://www.ema.europa.eu/documents/product-information/lucentis-epar-product-information_no.pdf
3. [Ranibizumab for retinopathy of prematurity – first line.](#) (juni 2018). (Evidence Briefing). Newcastle upon Tyne, UK: NIHR Innovation Observatory.
4. [https://stolav.no/behandlinger/retinopati-hos-premature-rop?language=1044&behandling=For+tidlig+f%C3%B8dte+barn+\(premature\)](https://stolav.no/behandlinger/retinopati-hos-premature-rop?language=1044&behandling=For+tidlig+f%C3%B8dte+barn+(premature))
5. <https://www.helsebiblioteket.no/retningslinjer/oftalmologi/smabarnsoftalmologi/retningslinjer-for-screening-av-retinopati-hos-premature>
6. Sankar MJ, MJ. (2018). [Anti-vascular endothelial growth factor \(VEGF\) drugs for treatment of retinopathy of prematurity.](#) *Cochrane Database Syst Rev.* (1), CD009734.

Dato for første publisering 23.01.2019
Siste oppdatering 23.01.2019