

Metodevarsel

1. Status og oppsummering

Somatrogon til barn med veksthormonmangel

1.1 Oppsummering*

Metoden omfattar eit nytt virkestoff. Metoden har foreløpig ikkje MT i Noreg, EU eller i USA, men er under vurdering hos det Europeiske Legemiddelbyrået (EMA) og US Food and Drug Administration (FDA). Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for ein sjelden sjukdom) (1).

1.2 Kort om metoden

ATC-kode: H01

Virkestoffnamn:
Somatrogon

Handelsnamn: NA

Legemiddelform:
Injeksjonsvæske,
oppløysing

MT-søkar/innehavar: Pfizer
(1, 2)

1.3 Metodetype

- Legemiddel
 Anna: *diagnostikk/testar/medisinsk utstyr, prosedyre/organisatoriske tiltak*

1.4 Tag (merkna)

- Vaksine
 Genterapi
 Medisinsk stråling
 Companion diagnostics
 Anna:

1.5 Finansieringsansvar

- Spesialisthelsetenesta
 Folketrygd: blåresept
 Kommune
 Anna:

1.6 Fagområde

Endokrine sjukdommar

1.7 Bestillingsanbefaling

Metodevurderingar

- Fullstendig metodevurdering
 Hurtig metodevurdering (CUA)
 Forenkla vurdering
 Avvente bestilling
 Inga metodevurdering

Kommentar:

1.8 Relevante vurderingselement for en metodevurdering

- Klinisk effekt relativ til komparator
 Sikkerheit relativ til komparator
 Kostnader / Ressursbruk
 Kostnadseffektivitet
 Juridiske konsekvensar
 Ethiske vurderingar
 Organisatoriske konsekvensar
 Anna

Kommentar:

Folkehelseinstituttet har i samarbeid med Statens legemiddelverk ansvar for den nasjonale funksjonen for metodevarsling. Metodevarsling skal sikre at nye og viktige metodar for norsk helseteneste blir identifisert og prioritert for metodevurdering. Eit metodevarsel er ikkje ei vurdering av metoden. MedNytt er Folkehelseinstituttet sin publiseringplattform for metodevarsel. Metodevarsel som skal bli vurderte på nasjonalt nivå i Bestillerforum RHF til spesialisthelsetenesta blir publiserte på nyemetoder.no. For meir informasjon om identifikasjon av metodar, produksjon av metodevarsel og korleis desse blir brukt, sjå [Om MedNytt](http://OmMedNytt).

*Eit metodevarsel er ei kort skildring av ein legemiddelindikasjon (metode) på eit tidleg tidspunkt, og blir ikkje oppdatert regelmessig. Det kan tilkomme endringar i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringar, sjå Legemiddelsøk.no.

2. Skildring av metoden

Skildring av sjukdom og pasientgrunnlag

Veksthormonmangel er ein sjukdom som skuldast at pasienten produserer mindre veksthormon enn normalt. Veksthormon blir danna i hypofysen og verkar inn på stoffskiftet, musklar, sinnsstemning og lengdevekst. Hos barn fører mangel på veksthormon til at lengdeveksten blir hindra og utan behandling blir pasientane mykje lågare enn normalt. I tillegg får dei som er råka mellom anna mindre muskelmasse og forsinka puberteten. På lengre sikt kan sjukdommen føre til tidleg åreforkalking (2, 3). Veksthormonmangel kan vere eit isolert problem eller førekomme samtidig med mangel på andre hypofysehormon.

I mange tilfelle finn ein ikkje årsaka til veksthormonmangel. Sjukdommen kan også vere medfødd og skuldast ein genfeil (mutasjon), eller unormal utvikling i fosterlivet, eller han oppstår i barndommen som følge av t.d. ein betennelse eller svulstar nær hypofysen. Mistanke om veksthormonmangel hos barn blir utgreia med blodprøvar og endokrine testar (4,5).

Ein dansk studie har rapportert ein insidensrate på 2,58 hos gutar og 1,7 hos jenter per 100,000 for veksthormonmangel som startar i barndommen (6). Prevalensen i Belgia mellom 1986-2001 har blitt estimert til 1/5600 (5). Det er usikkert kor mange norske pasientar som vil vere aktuelle for metoden.

Dagens behandling

Sjukdommen blir i dag behandla med daglege injeksjonar av veksthormon under huden (2,4). Målet med behandlinga er at barna skal oppnå normal høgdevekst (3).

Verknadsmekanisme	Langtidsverkande rekombinant veksthormon for subkutan injeksjon. Inneheld aminosyresekvensen til humant veksthormon og i tillegg tre kopiar av C-terminal-peptidet frå humant choriongonadotropin (hCG) (3). Den lengre halveringstida gjer at pasientane berre vil trenge injeksjon ein gong i veka eller annakvar veke.
Tidligare godkjent indikasjon	NA
Mogleg indikasjon	Veksthormonmangel hos barn (1).
Kommentar frå FHI ved Companion Diagnostics	<input type="checkbox"/> Metoden vil medføre bruk av ny diagnostisk metode (ny diagnostisk praksis) <input checked="" type="checkbox"/> Metoden vil ikkje medføre bruk av ny diagnostisk metode (allereie etablert diagnostisk praksis) <input type="checkbox"/> Det er på nåverande tidspunkt ikkje klart om metoden vil føre til bruk av ny diagnostisk metode Kommentar frå FHI:

3. Dokumentasjonsgrunnlag

3.1 Relevante og sentrale kliniske studiar

Det føreligg klinisk dokumentasjon i form av minst to randomiserte, opne, kontrollerte kliniske studiar.

Populasjon (n= tal på deltakarar)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovudutfallsmål	Studienummer, fase	Tidsperspektiv resultat
Barn med veksthormonmangel (n=224)	Subkutan injeksjon (inj.) med somatogon 1 gang i veka	Subkutan inj. med somatropin 1 gang dagleg	Årleg høgdevekst	NCT02968004 , Fase 3	Endeleg avslutning i 2022, men resultat frå hovuddel føreligg
Barn med veksthormonmangel (n=87)	Subkutan inj. med somatogon 1 gang i veka	Subkutan inj. med somatropin 1 gang dagleg	Pasientrapportert behandlingsbyrde	NCT03831880 , Fase 3	Avslutta

3.2 Metodevurderingar og –varsel

Metodevurdering - nasjonalt/lokalt -	Ein annan behandlingsmetode til tilsvarande indikasjon (veksthormonmangel hos barn) er til nasjonal metodevurdering (for status sjå NyeMetoder ID2021_065) og ein annan behandlingsmetode til liknande indikasjon (veksthormonmangel hos vaksne) er til nasjonal metodevurdering (for status sjå NyeMetoder ID2020_028).
Metodevurdering / systematiske oversikter - internasjonalt -	- Ingen relevante identifisert.
Metodevarsel	- Det finst minst eit relevant metodevarsel (2).

4. Referansar

1. European Medicines Agency, EMA. Henta 22.08.2021, frå <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121087>
2. Somatrogen: Growth hormone deficiency in children [nettdokument]. Specialist Pharmacy Service, NHS. [oppdatert februar 2021; lest 02. juli 2021]. Tilgjengelig frå: <https://www.sps.nhs.uk/medicines/somatrogen/>
3. Ema accepts marketing application for somatrogen to treat pediatric patients with growth hormone deficiency. Pfizer. [oppdatert februar 2021; lest 22. august 2021]. Tilgjengeleg frå: <https://www.pfizer.com/news/press-release/press-release-detail/ema-accepts-marketing-application-somatrogen-treat>
4. Helsebiblioteket (2021), Henta 22.08.2021, frå <https://www.helsebiblioteket.no/pediatriveiledere?key=144404&menuitemkeylev1=5962&menuitemkeylev2=5964>
5. Thomas M, et al. Prevalence and demographic features of childhood growth hormone deficiency in Belgium during the period 1986-2001. Eur J Endocrinol. 2004 Jul;151(1):67-72.
6. Stochholm K, et al. Incidence of GH deficiency - a nationwide study. Eur J Endocrinol. 2006 Jul;155(1):61-71.

5. Versjonslogg

5.1 Dato	5.2 Endringar gjort i dokument
17.09.2021	Laga metodevarsel
DD.MM.ÅÅÅÅ	Endra dokumentasjonsgrunnlag basert på nytt søk av DD.MM.ÅÅÅÅ
DD.MM.ÅÅÅÅ	Endra status for metoden

Eit metodevarsel er ei kort skildring av ein legemiddelindikasjon (metode) på eit tidleg tidspunkt, og blir ikkje oppdatert regelmessig. Det kan tilkome endringar i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringar, sjå Legemiddelsøk.no. Vel «endre søkeinnstillingane dine» for å inkludere ikkje-marknadsførte legemiddel.