



Tolvaptan (Jinarc) til behandling av autosomal dominant polycystisk nyresykdom (ADPKD)

Type metode: Legemiddel

Område i MedNytt: Nyre og urinveier

Generisk navn: Tolvaptan

Handelsnavn: Jinarc

MT søker/innehaver: Otsuka Pharmaceutical Europe Ltd

Synonymer virkestoff: ANX-006; OPC-41061

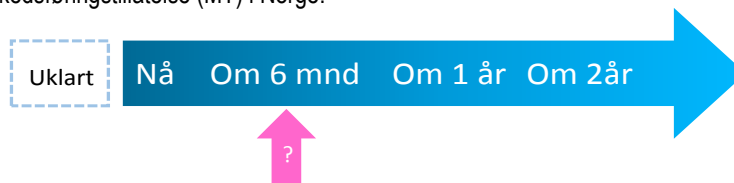
Synonymer indikasjon:

NO: Autosomt dominant polycystisk nyresykdom.

ENG: Polycystic Kidney, Autosomal Dominant; Adult Polycystic Kidney Disease; Autosomal Dominant Polycystic Kidney; ADPKD; Polycystic Kidney Disease 2; Adult Polycystic Kidney Disease Type 1

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden omfatter en indikasjonsutvidelse. Metoden har foreløpig ikke MT i Norge eller EU, men er under vurdering hos det Europeisk Legemiddelbyrået (EMA)(1).

Forventet finansieringsordning

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

Beskrivelse av den nye metoden

Tolvaptan er en vasopressin-2-reseptorantagonist som virker ved å hemme vasopressin regulerer nivået av vann og natrium i kroppen. I autosomal dominant polycystisk nyresykdom (ADPKD) antas det at nyreceller ikke reagerer normalt på vasopressin, noe som fører til dannelsen av væskefylte cyster. Ved å blokkere vasopressinreseptorer i nyrene, kan Jinarc redusere cysteformasjonen (2).

Tolvaptan er fra tidligere markedsført under to handelsnavn til ulike bruksområder, Samsca og Jinarc. Dette varselet omhandler en indikasjonsutvidelse for Jinarc. Jinarc er fra tidligere indisert til behandling av voksne med kronisk nyresykdom (CKD) i stadium 1 til 3 med tegn til sykdom som utvikler seg raskt(3). Det antas at indikasjonsutvidelsen vil omfatte pasienter med ADPKD i stadium 2 til 4. Legemidlet administreres peroralt.

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Autosomal dominant polycystisk nyresykdom er en arvelig sykdom som innebærer at det oppstår små væskefylte hulrom (cyster) i nyrene. Disse cystene vil med tiden kunne fortrenge normalt nyrevev og vil således redusere nyrefunksjonen. ADPKD medfører ødeleggelse av nyrevevet hos mer enn halvparten av pasientene (4).

Hyppigheten av tilstanden angis å ligge mellom 1 av 400 til 1 av 1000 personer i Norge (4). I EU antas det at ADPKD rammer ca. 4 personer per 10 000 (4). Cystenyre er årsak til ca. 10% av alle tilfeller med alvorlig nyresvikt, pasienter som med tiden kan trenge nyretransplantasjon. Gjennomsnittsalder for start av behandling av nyresvikt er ca. 55 år.

Dagens behandling

Det finnes ikke noe medikamentell behandling per i dag som er godkjent i EMA til behandling av pasienter med ADPKD. Nåværende behandling fokuserer på behandling av symptomer og komplikasjoner (5). Det er derfor et udekket behov for en effektiv terapi for ADPKD.

Status for dokumentasjon

Metodevurderinger eller systematiske oversikter –norske

- Ingen relevante identifisert

Metodevurdering eller systematiske oversikter -internasjonale

Det foreligger minst en relevant internasjonal metodevurdering eller systematisk oversikt (6-8)

Det er registrert minst en pågående relevant internasjonal metodevurdering via [EUnetHTA POP-databasen](#)

- Agencia de Qualitat i Avaluació sanitàries de Catalunya – (pågående)
- National Centre for Pharmacoeconomics – (planlagt)
- Zorginstituut Nederland – (planlagt)

Metodevarsler

Det foreligger minst ett internasjonalt metodevarsel (9)

Klinisk forskning

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

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer* og fase	Forventet ferdig
(N = 1 370) Menn og kvinne med eGFR mellom 25-65 mL/min/1,73m ² (hvis alder er 18 til 55 år) eGFR mellom 25-44 mL/min/1,73m ² (hvis alder er mellom 56 til <66 år)	Tolvaptan (45 til 120 mg/Dag, Split-dose)	Placebo	Endring i estimert glomerular filtrasjonsrate (eGFR) fra pre- behandlings baseline til post-behandlings oppfølging	NCT02160145 Fase III	Avsluttet

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

Hvilke aspekter kan være 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 kan være aktuell

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

Hovedkilder til informasjon

1. European Medicines Agency: Committee for medicinal products for human use (CHMP); Draft agenda for the meeting on 19-22 February 2018, Hentet februar 2018 fra http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Agenda/2018/02/WC500243987.pdf
2. European Medicines Agency. EPAR - Risk-management-plan summary – Jincarc, Hentet februar 2018 fra: http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/human/medicines/002788/human_med_001857.jsp&mid=WC0b01ac058001d124#product-info
3. Statens Legemiddelverk; Preparatomtale Jincarc (tolvaptan). Hentet februar 2018 fra http://www.ema.europa.eu/docs/no_NO/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/002788/WC500187921.pdf
4. Norsk Helseinformatikk Hentet februar 2018 fra: <https://nhi.no/sykdommer/nyrerurinveier/andre-nyresykdommer/cystenyler/>
5. European Medicines Agency. Decision on Jincarc; Hentet februar 2018 fra: http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/news_and_events/news/2015/02/news_detail_002280.jsp&mid=WC0b01ac058004d5c1

6. Bolignano D, et al. (2015). Interventions for preventing the progression of autosomal dominant polycystic kidney disease. [Cochrane Database Systematic Review \(7\): CD010294](#)
7. Myint TV, et al. (2015). Treatments to slow progression of autosomal dominant polycystic kidney disease: systematic review and meta-analysis of randomized trials. [Nephrology \(Carlton\). 19\(4\):217-226](#)
8. Tolvaptan for treating autosomal dominant polycystic kidney disease. (2015). (Technology appraisal guidance). London: National Institute for Health and Care Excellence (NICE). [Technology appraisal guidance \[TA358\]](#)
9. Tolvaptan for autosomal dominant polycystic kidney disease. (2012). Birmingham: National Horizon Scanning Centre (NHSC). [NHS Evidence \(Horizon Scanning Review\)](#)

Dato for første publisering	19.03.2018
Siste oppdatering	19.03.2018

Om metodevarslingsfunksjonen

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. Et metodevarsel er ingen vurdering av metoden. Statens legemiddelverk har ansvar for informasjonen gitt i metodevarsler om legemidler. MedNytt er Folkehelseinstituttets publiseringsplattform for metodevarsler. For mer informasjon om identifikasjon av metoder, produksjon av metodevarsler og hvordan disse brukes, se [Om MedNytt](#).