

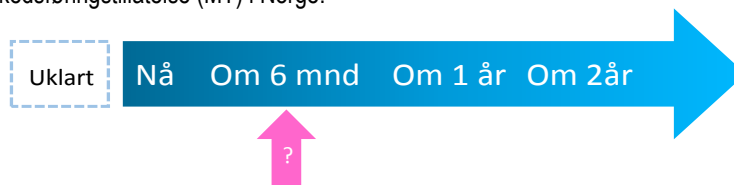


Tagraxofusp til behandling av blastisk plasmacytoid dendrittisk celle-neoplasi (BPDCN)

Type metode: Legemiddel
Område: Blod; Hud; Kreft;
Virkestoffnavn: tagraxofusp
Handelsnavn:
ATC-kode: L01X (OTHER ANTINEOPLASTIC AGENTS)
MT søker/innehaver: TMC Pharma (EU) Limited / Stemline Therapeutics, Inc (1).
Finansieringsansvar: Spesialisthelsetjenesten

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden omfatter et nytt virkestoff. Metoden har foreløpig ikke MT i Norge eller EU, men er under vurdering hos det Europeiske Legemiddelbyrået (EMA). Metoden er godkjent i USA. Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) (1).

Beskrivelse av den nye metoden

Tagraxofusp er et diphtheria toxin - interleukin 3 (IL-3) fusjonsprotein. CD123 (IL3 reseptor) er høyt uttrykt i BPDCN med minimal forekomst i normale celler. Tagraxofusp binder via IL-3 til CD123 på overflaten til maligne celler. Denne tas så opp av cellen noe som fører til inhibering av protein syntesen etterfulgt av celledød (2).

Tagraxofusp administreres intravenøst (2).

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

BPDCN antas å representere mindre enn 1% av alle hematologiske maligne sykdommer med 1000-1400 tilfeller årlig i USA og EU tilsammen. BPDCN er en sjelden og aggressiv hematologisk krefttype som karakteriseres ved malign proliferasjon av plasmacytoide dendritiske celler. Den presenteres i beinmarg, perifert blod og/eller hud (2).

Omtrent 90% av pasientene blir diagnostisert med asymptomatiske hudlesjoner (3). Median overlevelse etter diagnose er omtrent et år (3). Gjennomsnittsalder for diagnose er midten av 60-årene og tre ganger så mange menn som kvinner blir diagnostisert med BPDCN.

Dagens behandling

Det er ingen godkjent eller etablert standard behandling for BPDCN og sykdommen er heller ikke beskrevet i norske retningslinjer for behandling av maligne blodsykdommer. Akutt leukemi basert kjemoterapi anbefales for pasienter som tåler dette (3). Langtidsremisjon kan ses ved stamcelletransplantasjon.

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 (4)

Metodevarsler

- Det foreligger minst ett internasjonalt metodevarsel (1,5)

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
Voksne pasienter med AML (akutt myelogen leukemi) og BPDCN (N = 47 with BPDCN) (4)	SL-401 (tagraxofusp)	ingen	Ikke spesifisert annet enn at det inkluderer både effekt og sikkerhet	NCT02113982 Fase 1 og fase 2	Resultater foreligger

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

Klinisk effekt relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	Ingen komparator
Sikkerhet relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	Ingen komparator
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"/>	Legemiddelverket foreslår kostnad-nytte analyse
Fullstendig metodevurdering	<input type="checkbox"/>	

Hovedkilder til informasjon

1. *Tagraxofusp*. (05. mars 2019). Specialist Pharmacy Service, NHS. Hentet 09. mai 2019, fra <https://www.sps.nhs.uk/medicines/tagraxofusp/>
2. *Tagraxofusp*. Drugs.com. Hentet 30. mai fra <https://www.drugs.com/search.php?searchterm=tagraxofusp&a=1>
3. *Facts about blastic plasmacytoid dendritic cell neoplasm*. Leukemia and lymphoma society; Hentet fra https://www.lls.org/sites/default/files/National/USA/Pdf/Publications/FSHP2_BPDCN.pdf
4. Pammaraju N et al, Tagraxofusp in Blastic Plasmacytoid Dendritic-Cell Neoplasm, *New England Journal of Medicine*, 2019; 380:1628-1637
5. [Tagraxofusp for blastic plasmacytoid dendritic cell neoplasm](#). (2018). (Evidence Briefing). Newcastle upon Tyne: NIHR Innovation Observatory.

Dato for første publisering 21.06.2019
Siste oppdatering 21.06.2019