



Treprostinilnatrium til behandling av kronisk tromboembolisk pulmonal hypertensjon

Type metode: Legemiddel

Område: Hjerte og kar; Luftveier

Virkestoffnavn: Treprostinilnatrium

Handelsnavn:

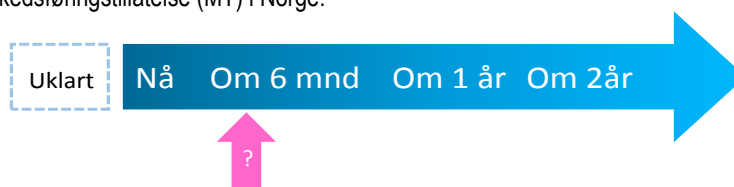
ATC-kode: B01AC21

MT-søker/-innehaver: SciPharm Sarl (1)

Finansieringsansvar: Spesialisthelsetjenesten

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



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

Beskrivelse av den nye metoden

Det foreligger på markedet i dag et preparat med treprostinilnatrium (Remodulin®), godkjent til behandling av idiopatisk eller arvelig pulmonal arteriell hypertensjon (PAH) for å forbedre treningskapasitet og symptomer på sykdommen hos pasienter klassifisert etter New York Heart Association (NYHA) funksjonsklasse III (2). Den aktuelle metoden i dette metodevarsløet omfatter en ny MT av det samme virkestoffet, men for en annen indikasjon.

Treprostinilnatrium er en prostasyklinanalog som utøver en direkte vasodilaterende effekt på den pulmonale og systemiske arterielle sirkulasjonen, og hemmer blodplateaggregasjon (2). Det antas at det aktuelle treprostinilnatrium-preparatet vil bli brukt til behandling av kronisk tromboembolisk pulmonal hypertensjon (CTEPH) (1).

Treprostinilnatrium administreres enten som subkutan eller intravenøs infusjon.

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Pulmonal hypertensjon, dvs. høyt trykk i lungekretsløpet, er en tilstand som kan ha mange årsaker, og som kan deles inn i fem undergrupper, hvor kronisk tromboembolisk pulmonal hypertensjon (CTEPH) utgjør én av disse (3). CTEPH er definert som et middeltrykk i pulmonalarterien som er ≥ 25 mm Hg, og innkilt lungearterietrykk under 15 mm Hg som vedvarer i 6 måneder etter påvisning av lungeembolisme. Det antas at CTEPH skyldes et enkelt tilfelle eller tilbakevendende tilfeller av lungeembolisme. Typiske symptomer ved CTEPH inkluderer tung pust ved anstrengelse og intoleranse overfor fysisk aktivitet, samt brystmerter under aktivitet, svimmelhet og bevissthetstap som følge av oksygenmangel i hjernen. Pasienter med CTEPH opplever vanligvis progressiv forverring, til tross for behandling med blodfortynnende legemidler, med høy risiko for å dø av høyresidig hjertesvikt ved mangelfull/ineffektiv behandling. Insidensen av CTEPH er svært usikker, men det er estimert at tilstanden forekommer hos om lag 5 pasienter per million per år (4).

Dagens behandling

Behandling av CTEPH består vanligvis av at lungeembolismene fjernes kirurgisk ved pulmonal endarterektomi (PEA). Dette inngrepet kan potensielt kurere pasienten. Behandling med blodfortynnende legemidler anbefales til alle pasienter med CTEPH, også dem som gjennomgår vellykket operasjon. Riociguat (Adempas®) er eneste godkjente preparat per i dag til behandling av pasienter med enten inoperabel CTEPH eller vedvarende/tilbakevendende CTEPH etter kirurgi (4), (5).

Status for dokumentasjon

Metodevurderinger eller systematiske oversikter –norske

Det er bestilt én relevant norsk pågående metodevurdering med samme indikasjon (se Nye metoder [ID2018_127](#)).

Metodevurdering eller systematiske oversikter -internasjonale

Ingen relevante internasjonale metodevurderinger eller systematiske oversikter er identifisert.

Metodevarsler

Det foreligger minst ett relevant internasjonalt metodevarsel (1).

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 med CTEPH, som ikke er aktuelle for PEA ¹ (n=105).	To grupper: -Høydosegruppe: Treprostinilnatrium titrert opp til et mål på 30 ng/kg/min etter 12 uker, deretter stabil dose i ytterligere 12 uker. -Lavdosegruppe: Treprostinilnatrium titrert opp til et mål på 3 ng/kg/min etter 12 uker, deretter stabil dose i ytterligere 12 uker.	Ingen.	Endring fra baseline i 6-minutters gangtest etter 24 uker.	CTREPH, NCT01416636 , Fase III-studie.	Estimert desember 2020. Publikasjon foreligger.

¹ Pulmonal endarterektomi

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

Klinisk effekt relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	Kjent virkemekanisme.
Sikkerhet relativt til komparator	<input checked="" type="checkbox"/>	Kjent bivirkningsprofil.
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 checked="" type="checkbox"/>	Legemiddelverket foreslår forenklet vurdering
Fullstendig metodevurdering	<input type="checkbox"/>	

Hovedkilder til informasjon

- (1) <https://www.sps.nhs.uk/medicines/treprostinil-sodium/>
- (2) <https://www.legemiddelbok.no/layouts/15/Preparatomtaler/Spc/05-3456.pdf>
- (3) <https://nhi.no/sykdommer/hjertekar/ulike-sykdommer/hoyt-blodtrykk-i-lungekretslopet/>
- (4) <https://beta.legeforeningen.no/contentassets/1f202f6c716b43769dcb4f1674d4c701/hjerteforum-3-2016-4-kronisk-tromboembolisk-pulmonal-hypertensjon.pdf>
- (5) <https://www.legemiddelhandboka.no/legacy/chapter/T8.7>

Dato for første publisering 25.10.2019
Siste oppdatering 25.10.2019