



Tisagenlecleucel til behandling av akutt lymfoblastisk leukemi (ALL)

Kategori i MedNytt: Legemiddel

Område i MedNytt: Blod; Kreft

Generisk navn:

Handelsnavn:

MT søker/innehaver: Novartis Europharm Ltd. (1)

Synonymer virkestoff: CTL019

Synonymer indikasjon:

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden omfatter et nytt virkestoff. Metoden har foreløpig ikke MT i Norge eller EU. Metoden har MT i USA. (1)

Forventet finansieringsordning

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

Beskrivelse av den nye metoden

Tisagenlecleucel er en autolog T-celle immunterapi der pasientens egne T-celler hentes ut og genmodifiseres ved hjelp av en virusvektor til å uttrykke en kimær antigenreseptor (chimeric antigen receptor; CAR) rettet mot CD19. T-cellene føres deretter tilbake til pasienten og kan eliminere B-celler som uttrykker proteinet CD19 på overflaten. Dette innebærer både maligne og friske celler. Metoden antas søkt til bruk i behandling av pediatriske og unge voksne pasienter fra 3-25 år med relapserende/refraktær akutt lymfoblastisk leukemi (ALL) (1, 2).

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Leukemi (blodkreft) kjennetegnes ved ukontrollert vekst av hvite blodceller i beinmargen som fortrenger eller hemmer veksten av de normale beinmargscellene. Ved akutt lymfoblastisk leukemi (ALL) oppstår det en hurtig, ukontrollert vekst av umodne, hvite blodceller, kalt lymfoblaster. Disse lymfoblasterne ville vanligvis utviklet seg til modne T- eller B-celler.

ALL er den vanligste leukemiformen blant barn, men forekommer også hos voksne (3). Totalt diagnostiseres omtrent 65 nye tilfeller av ALL hvert år i Norge (4), hvorav om lag halvparten av disse tilfellene er blant barn under 15 år (3).

Dagens behandling

ALL er en heterogen tilstand og behandlingen må individualiseres. Behandling består av cytostatika og eventuelt strålebehandling. Ved residiv hos unge, voksne kan allogene stamcelletransplantasjon være eneste kurative behandling, mens nytten av stamcelletransplantasjon hos barn er mer usikker. Behandlingsresponsen hos barn er bedre enn hos voksne og prognosen for overlevelse ved ALL hos barn er over 80% (3).

Status for dokumentasjon

Metodevurderinger eller systematiske oversikter - norske

Ingen relevante identifisert.

Metodevurdering eller systematiske oversikter - internasjonale

Ingen relevante identifisert.

Metodevarsler					
Det foreligger minst ett internasjonalt metodevarsel (1).					
Klinisk forskning					
De antatt viktigste studiene for vurdering av metoden er vist i tabellen under:					
Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontroll- gruppe	Hovedutfall	Studienummer* og fase	Forventet ferdig
N=100 pasienter (3-21 år) med relapserende/refraktær pediatrisk ALL	En enkelt dose med tisagenlecleucel/transduserte autologe T-celler som intravenøs infusjon	-	Total remisjonsrate (ORR) 3 mnd etter administrasjon	NCT02435849 , fase II	2017/2022
N =67 pasienter (3-21 år) med relapserende/refraktær pediatrisk ALL	En enkelt dose med tisagenlecleucel/transduserte autologe T-celler som intravenøs infusjon	-	Total remisjonsrate (ORR) 6 mnd etter administrasjon	NCT02228096 , fase II	2024
*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					
<ol style="list-style-type: none"> 1. Tisagenlecleucel-T (oppdatert 27.09.2017). London: Specialist Pharmacy Service, NHS. Hentet 09.10.2017 fra https://www.sps.nhs.uk/medicines/tisagenlecleucel-t/ 2. Tisagenlecleucel, U.S. Food & Drug Administration; Hentet 09.10.2017 fra: https://www.fda.gov/downloads/AdvisoryCommittees/CommitteesMeetingMaterials/Drugs/OncologicDrugsAdvisoryCommittee/UCM566166.pdf 3. Akutt lymfoblastisk leukemi (ALL) (oppdatert 17.11.2016). Norsk elektronisk legehåndbok. Hentet 09.10.2017 fra https://legehandboka.no/handboken/kliniske-kapitler/blod/tilstander-og-sykdommer/leukemier/akutt-lymfoblastisk-leukemi/ 4. Norge – Akutt lymfatisk leukemi. NORDCAN (oppdatert 08.07.2016). Hentet 09.10.2017 fra: http://www-dep.iarc.fr/NORDCAN/NO/StatsFact.asp?cancer=420&country=578 					
Se under arkfanen mer om oss for mer informasjon om prosess og prosedyre for metodevarsling.					
Første varsel	09.10.2017				
Siste oppdatering	DDMMYYYY				