



## Vestronidase alfa til behandling av mukopolysakkaridose VII (Slys sykdom)

Kategori i MedNytt: Legemiddel

Område i MedNytt: Sjeldne diagnoser

Generisk navn: vestronidase alfa

Handelsnavn:

MT søker/innehaver: Ultragenyx (1)

Synonymer virkestoff: UX 003; rhGUS; recombinant human beta glucuronidase

Synonymer indikasjon: Mukopolysakkaridose VII; Slys sykdom; Slys syndrome; beta-glukuronidase-mangel

### Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



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

Metoden omfatter enzymerstatningsterapi til behandling av Slys sykdom (MPS VII) (3). Behandlingen er kontinuerlig og livslang. Vestronidase alfa administreres som intravenøs infusjon.

### Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

MPS VII er en genetisk lidelse karakterisert ved mangel på enzymet beta-glukuronidase, noe som fører til manglende nedbrytning av mucopolysakkarider og progressiv akkumulering av giftige glykolipider i forskjellige vev og organer. Sykdommen har mange ulike symptomer slik som veksthemming etter fødselen, spesielle ansiktstrekk, stor lever og milt, uklartheter i hornhinnen (især i alvorlige tilfeller), forandringer ved hjerteklaffene, stort hode, vannhode, lyskebrokk og kontrakturer av ledd. Fosterdød og tidlig død i barndommen forekommer hyppig. Sykdommen er svært sjelden og forekomsten oppgis å være omlag 0,1 per 100.000 i befolkningen (1-3).

### Dagens behandling

Tidligere har det ikke vært noen godkjent behandling for tilstanden. Pasientene mottar symptomatisk behandling (4).

### Status for dokumentasjon

#### Metodevurderinger eller systematiske oversikter -norske

- Ingen relevante identifisert

#### Metodevurdering eller systematiske oversikter -internasjonale

- Ingen relevante identifisert

#### Metodevarsler

Det foreligger flere internasjonale metodevarsler (1,3).

#### 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
Pasienter med MPS VII med bekreftet diagnose. (N=20)	Vestronidase alfa (4 mg/kg) annenhver uke.	Ingen	Forekomst av bivirkninger	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02432144">NCT02432144</a> Fase III	Desember 2018
Pasienter med MPS VII med bekreftet diagnose.(N=12)	Vestronidase alfa (4 mg/kg) annenhver uke 4 armer med ulike oppstartstidspunkter: A: oppstart uke 1 B: oppstart uke 8 C: oppstart uke 16. D: oppstart uke 24	Frem til oppstart med vestronidase fikk pasientene placebobehandling	Symptomatisk individuell respons	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02230566">NCT02230566</a> fase III	Avsluttet

\*ClinicalTrials.gov Identifier [www.clinicaltrials.gov](http://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 checked="" type="checkbox"/>	Særskilt liten pasientgruppe med høy alvorlighet.

#### Hva slags metodevurdering kan være aktuell

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

#### Hovedkilder til informasjon

- (1) Specialist Pharmacy Service, NHS. Hentet 20.10.2017 fra: <https://www.sps.nhs.uk/medicines/vestronidase-alfa/>
- (2) Senter for sjeldne sykdommer FRAMBU. Hentet 23.10.2017 fra: <http://www.frambu.no/hovedmeny/diagnoser/sly-sykdom-mps-vii/beskrivelse-av-diagnosen/9e58aa97-4662-4913-8df5-7da5ca1eddf8>
- (3) *Vestronidase alfa (UX-003) for mucopolysaccharidosis type VII (MPS 7; Sly syndrome)*. (2017). (NIHRIO (HSRIC) ID: 11463). Newcastle: NIHR Innovation Observatory. Hentet 23.10.2017 fra <http://www.io.nihr.ac.uk/topics/vestronidase-alfa-ux-003-for-mucopolysaccharidosis-type-vii-mps-7-sly-syndrome/>
- (4) Uptodate.com Hentet 23.10.2017 fra: [https://www.uptodate.com/contents/mucopolysaccharidoses-treatment?source=search\\_result&search=Mucopolysaccharidosis%20VII&selectedTitle=2~6#H2160263086](https://www.uptodate.com/contents/mucopolysaccharidoses-treatment?source=search_result&search=Mucopolysaccharidosis%20VII&selectedTitle=2~6#H2160263086)

Se under arkfanen [mer om oss](#) for mer informasjon om prosess og prosedyre for metodevarsling.

Første varsel	28.10.2017
Siste oppdatering	DDMMYYYY