



Sirolimus (Rapamune) til behandling av lymfangioleiomyomatose

Kategori i MedNytt: Legemiddel

Område i MedNytt: Lunge

Generisk navn: Sirolimus

Handelsnavn: Rapamune

MT søker/innehaver: Pfizer

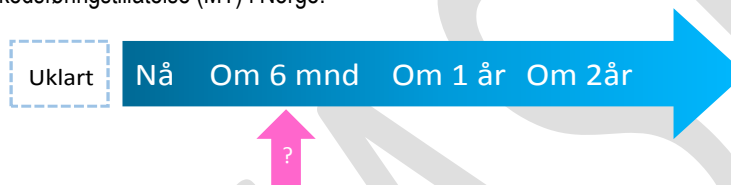
Synonymer virkestoff: I-2190A; AY 22-989; Rapamycin

Synonymer indikasjon: ENG: Lymphangiomyomatosis

NO: Lymfangioleiomyomatose; LAM

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden omfatter en indikasjonsutvidelse. Metoden har foreløpig ikke MT i Norge eller EU.

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 (1)

Rapamune er tidligere indisert som profylakse mot organreaksjon etter nyretransplantasjon hos voksne pasienter med lav til moderat immunologisk risikoprofil. Det vurderes nå om sirolimus også skal brukes til behandling av pasienter med lymfangioleiomyomatose. Sirolimus hemmer T-celleaktivering ved hovedsakelig å blokkere kalsiumavhengig og kalsiumuavhengig intracellulær signaltransduksjon. Rapamune er formulert som mikstur og perorale tabletter.

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag (2)

Lymfangioleiomyomatose er en sjelden lungesykdom som stort sett rammer kvinner i fertil alder. Man finner en økning i antall glatte muskelceller i lungene i tillegg til at det dannes cyster i lungevevet. I tillegg til tung pust, har disse pasientene en tendens til å få pneumothorax (sammenfall av lungene som følge av luftlekkasje til pleurahulen), pleuravæske (lymfvæske i pleurahulen) og blodig oppspytt (hemoptyse).

Diagnosen stilles ved hjelp av sykehistorien, CT av lungene og vevsprøve fra lungene. Hos pasienter med typisk sykehistorie og CT-funn er det ikke alltid nødvendig med vevsprøve, men noen pasienter står feilaktig diagnostisert med astma lenge før riktig diagnose stilles. Man kjenner ikke årsaken til lymfangioleiomyomatose.

Dagens behandling

Det finnes ingen spesifikk behandling av lymfangioleiomyomatose per i dag. Lungetransplantasjon kan være aktuelt.

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:

- Lama A, et al. (2016). Characteristics of Patients with Lymphangiomyomatosis and Pleural Effusion: A Systematic Review. *Respiration*. 91(3),256-64.

Sammendrag: https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/26938102]					
<ul style="list-style-type: none"> Peng ZF, et al. (2014). Efficacy and safety of sirolimus for renal angiomyolipoma in patients with tuberous sclerosis complex or sporadic lymphangiomyomatosis: a systematic review. <i>J Urol.</i> 192(5),1424-30. [Sammendrag: https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/24813310] 					
Metodevarslser					
Ingen relevante identifisert					
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 lymfangioleiomyomatose (n=120)	Sirolimus	Placebo	FEV1 respons	NCT00414648 Fase III	September 2011
*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"> Rapamune produktomtale, tilgjengelig fra www.legemiddelverket.no Lymfangioleiomyomatose, Store medisinske leksikon, publisert 13.02.2009, Tilgjengelig fra https://sml.snl.no/lymfangioleiomyomatose 					
Se under arkfanen mer om oss for mer informasjon om prosess og prosedyre for metodevarslng.					
Første varsel	22.05.2017				
Siste oppdatering	24.05.2017				