

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2025_029															
Handelsnavn (virkestoff)	Vyjuvek (Beremagen geperpavec (B-VEC))															
Virkningsmekanisme	Beremagen geperpavec (B-VEC) er en lokal genterapi bestående av en genmodifisert, ikke-replikerende herpes simplex-virus type 1 (HSV-1) vektor, som leverer en fungerende kopi av COL7A1-genet direkte til hudcellene. Virusvektorens DNA går inn i cellens kjerne uten å integreres i vertens genom. Der uttrykkes COL7A1, som gjør at cellene produserer COL7-protein (1).															
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder et nytt virkestoff. Legemiddelet fikk markedsføringstillatelse (MT) i Europa/Norge 23.04.2025 (1). Legemiddelet er ikke markedsført i Norge.															
Aktuell indikasjon	Vyjuvek er indisert for behandling av sår hos pasienter med dystrofisk epidermolyse bullosa (DEB) med mutasjon(er) i kollagentype VII alfa 1-kjede (COL7A1)-gen, fra fødselen (1).															
Dosering	Behandlingen skal startes av helsepersonell som har erfaring med behandling av pasienter med DEB. Vyjuvek er en gel som skal påføres direkte på renset åpne sår en gang i uken, til sårene er lukket. Små dråper legges i et rutenett med ca. 1 × 1 cm mellomrom over såroverflaten. En hydrofobisk kompress skal påføres i etterkant, som skal sitte på i ca. 24 timer etter at Vyjuvek er påført. Når Vyjuvek-kompressene er fjernet, kan pasienten fortsette med standardbehandling. En detaljert beskrivelse av administrasjonen finnes i preparatomtalen (1). Den anbefalte totale maksimale ukentlig doseringen for barn fra fødsel opp til 3 år er 1 ml (2×10⁹ plakkdannende enheter (PFU)). Den anbefalte totale maksimale ukentlige doseringen for barn over 3 år, ungdom og voksne er 2 ml (4×10⁹ PFU). Tabellen nedenfor gir en referanse på per omtrentlig dose på såret hos barn, ungdom og voksne. <table><tr><th>Sårrområde (cm²)</th><th>Dose (PFU)</th><th>Volum (ml)</th></tr><tr><td>< 20</td><td>< 4×10⁸</td><td>< 0,2</td></tr><tr><td>20 til < 40</td><td>4×10⁸ til < 8×10⁸</td><td>0,2 til < 0,4</td></tr><tr><td>40 til 60</td><td>8×10⁸ til < 1,2×10⁹</td><td>0,4 til < 0,6</td></tr><tr><td>60 til < 200</td><td>1,2×10⁹ til < 4×10⁹</td><td>0,6 til < 2</td></tr></table> PFU = plakkdannende enheter Alle sår kan ikke nødvendigvis behandles samtidig, grunnet øvre anbefalt ukentlig dose. Hvis sår åpner seg igjen, prioriteres disse for videre ukentlig behandling. Ingen behandling gis hvis pasienten ikke har sår. Bruken av Vyjuvek anbefales foreløpig ikke under graviditet.	Sårrområde (cm²)	Dose (PFU)	Volum (ml)	< 20	< 4×10 ⁸	< 0,2	20 til < 40	4×10 ⁸ til < 8×10 ⁸	0,2 til < 0,4	40 til 60	8×10 ⁸ til < 1,2×10 ⁹	0,4 til < 0,6	60 til < 200	1,2×10 ⁹ til < 4×10 ⁹	0,6 til < 2
Sårrområde (cm²)	Dose (PFU)	Volum (ml)														
< 20	< 4×10 ⁸	< 0,2														
20 til < 40	4×10 ⁸ til < 8×10 ⁸	0,2 til < 0,4														
40 til 60	8×10 ⁸ til < 1,2×10 ⁹	0,4 til < 0,6														
60 til < 200	1,2×10 ⁹ til < 4×10 ⁹	0,6 til < 2														
Forslag	Anmodning om vurdering og forslag om nasjonal metodevurdering															
Innsendt av	Forslag om nasjonal metodevurdering innsend av en norsk kliniker (03.03.2025) og anmodning ettersendt av produsent Krystal Biotech Netherlands, B.V (21.10.2025).															
Bakgrunn	DEB er en svært sjelden, genetisk hudsykdom som gjør huden og slimhinner ekstremt skjøre. Pasientene utvikler sår i huden som gir smerte, kløe og økt risiko for infeksjoner og hudkreft															

	(plateepitelkarsinom), spesielt ved mer alvorlige tilstander. Tilstanden skyldes mutasjoner i genet COL7A1, som koder for kollagen type VII. Som følge av dette utvikler pasienter med DEB lett hudavløsning og smertefulle sår, ofte allerede ved milde mekaniske påkjenninger. De mest alvorlige variantene kan medføre store, kroniske, åpne sår over store deler av kroppen, og sykdommen kan gi økt mortalitet knyttet til infeksjoner og hudkreft. Per i dag er det ingen kur eller aktiv behandling tilgjengelig for norske pasienter med DEB, kun konservativt sårstell og smertelindring, behandling av infeksjoner, anemier og andre komplikasjoner til grunnsykdommen. Forslagsstiller peker på et klinisk behov for behandling av pasienter DEB, ettersom det ikke finnes annen behandling i norsk klinisk praksis per i dag. DMP har nylig gjennomført en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse for virkestoffet bjørkeneverekstrakt, til overlappende indikasjon. Det er foreløpig ikke tatt noen beslutning om innføring for denne metoden (ID2025_025). Mer informasjon om DEB og dagens standard behandling kan finnes der (2). Effekten av B-VEC ble studert i en placebokontrollert, multisenter, randomisert og dobbelt-blindet fase 3 studie (3). Alle forsøkspersoner (N=31) i studien hadde DEB med genetisk bekreftet mutasjon(er) i COL7A1-genet. To sammenlignbare sår hos hver forsøksperson ble valgt og randomisert til å motta enten påføring på hud av B-VEC eller placebo ukentlig i 26 uker. Studien inkluderte 31 pasienter (20 menn og 11 kvinner). Størrelsen på B-VEC-behandlede primære sår varierte fra 2 til 57 cm². Et utvalg av to sammenlignbare sår ble valgt for hver deltager, matchet på størrelse, anatomisk plassering og utseende, og sårpåret ble deretter randomisert. Gjennomsnittsalderen var 17 år (fra 1 til 44 år). Et av eksklusjonskriteriene i studien var pasienter med nåværende dokumentasjon eller tidligere forekomst av plateepitelkarsinom i området som skal behandles. Primærendepunktet i studien ble vurdert på grunnlag av forbedret sårheling definert som forskjellen i andelen 100% sårlukning fra 0 til 22-26 uker mellom B-VEC-behandlede og placebo gel-behandlede sår. Ved 6 måneder var 67 % (21 av 31) av sårene behandlet med B-VEC fullstendig grodd, sammenlignet med 22 % (7 av 31) av sårene behandlet med placebo. Sekundære endepunkter inkluderte blant annet endringer i smerteintensitet, 100% sårlukning ved uke 8-12, samt pasientrapporterte utfall som EQ-5D-5L og skindex-29. I tillegg ble det utført en åpen forlengelsesstudie (OLE) for å samle inn data om langtidssikkerhet ved bruk utover den 26 ukers behandlingsperioden i hovedstudien.
Preliminær PICO¹	P: I tråd med endelig godkjent indikasjon; behandling av sår hos pasienter med dystrofisk epidermolysis bullosa (DEB) med mutasjon(er) i kollagentype VII alfa 1-kjede (COL7a1)-gen, fra fødsel.

¹ Pasientpopulasjon, intervensjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering

	I: Beremagen geperpavec er en tropikal genterapi hvor et modifisert herpesvirus (inneholder COL7A1-genet) er oppløst i en gel, brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtalen (SPC). Sår som ikke behandles med B-VEC skal behandles med symptomlindrende behandling, og etter fjerning av 24 timers kompress med B-VEC. C: Dagens standardbehandling: Konservativt sårstell, smertelindring, forebygging, behandling av infeksjoner og anemier. O: Overlevelse, sårtilheling, bandasjeskift, smerte reduksjon, infesjonsrate, helserelatert livskvalitet, ressursbruk og sikkerhet.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	DEB er en svært sjelden sykdom. B-VEC representerer en ny behandlingsmetode (lokal genterapi) for denne pasientgruppen. Produsent forteller at den aktuelle prevalente populasjonen for DEB er <30 pasienter i Norge. En norsk kliniker estimerer en prevalens på ca. 10 personer i Norge, med en insidens på <1 pasient per 5 år. Det finnes data fra en fase III placebokontrollert randomisert dobbelt-blindet studie med B-VEC. Studien GEM-3 er avsluttet og fulgte pasientene i 26 uker. DMP vurderer at data fra denne studien kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger data som kan være egnet for en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse). Saken er egnet for vurdering gjennom JNHB.

Kilder:

1. European Medicines Agency (EMA). Vyjuvek: EPAR – Product Information, SPC. https://www.ema.europa.eu/no/documents/product-information/vyjuvek-epar-product-information_no.pdf
2. Nye metoder. Bjørkeneverekstrakt (Filsuvez) – behandling av sår ved epidermolysis bullosa. [Bjørkeneverekstrakt \(Filsuvez\) - Nye metoder](#)
3. Guide, S. V. m.fl. «Trial of Beremagene Geperpavec (B-VEC) for Dystrophic Epidermolysis Bullosa.» *The New England Journal of Medicine*, 2022; 387(24):2211–2219. DOI: 10.1056/NEJMoa2206663. [Trial of Beremagene Geperpavec \(B-VEC\) for Dystrophic Epidermolysis Bullosa | New England Journal of Medicine](#)

Versjonslogg*

Dato	Hva
06.01.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP
*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se Legemiddelsøk.no. Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.	