

	<p>Rituximab benyttes off-label.</p> <p>Av TPO-RA er avatrombopag (ID2020_043) metodevurdert og innført, og eltrombopag (ID2022_079) innført. Det foreligger et anbud i regi av Sykehusinnkjøp HF for TPO-RA-behandlinger (6).</p> <p>Fostamatinib (ID2019_041) er metodevurdert og besluttet innført i 2022, og har tilsvarende indikasjonsordlyd som rilzabrutinib. Rilzabrutinib og fostamatinib er begge tyrosinkinasehemmere som virker nedstrøms ved å hemme signaltransduksjon. Fostamatinib blokkerer miltyrosinkinase (SYK), mens rilzabrutinib hemmer BTK.</p> <p>Kliniske studier av rilzabrutinib Effekt og sikkerhet av rilzabrutinib er studert i to gjennomførte, og en pågående, kliniske studier:</p> <p>LUNA 2 (NCT03395210): åpen fase 2, dosefinnende studie.</p> <p>LUNA 3 (NCT04562766): randomisert, placebokontrollert, dobbeltblindet fase 3 studie: Pasientene ble randomisert 2:1 til rilzabrutinib (n=133) og placebo (n=69). Det var tillatt med samtidig bruk av kortikosteroider og TPO-RA i begge armer. Primærendepunkt var andel pasienter med stabil blodplaterespons med blodplatetall over det sikre nivået for blødning på $50 \times 10^9/L$. Sekundære endepunkter var andre mål for effekt, sikkerhet, og livskvalitet (ITP Patient Assessment Questionnaire [ITP-PAQ] og med Kids' ITP Tools [ITP-KIT]).</p> <p>Antall pasienter i LUNA 3 som var tidligere behandlet med fostamatinib var 24/202 (12%) (5).</p> <p>LUNA 4 (NCT07007962): pågående, åpen, enarmet studie av effekt og sikkerhet hos voksne pasienter med ITP med utilstrekkelig effekt på førstelinjebehandling.</p>
<p>Preliminær PICO¹</p>	<p>P: I tråd med endelig godkjent indikasjon.</p> <p>I: Rilzabrutinib brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtale (tablett á 400 mg to ganger daglig).</p> <p>C: Dagens standardbehandling (fostamatinib i dosering fra 100 mg/dag til 150 mg 2 ganger/dag (2)).</p> <p>O: Stabil blodplaterespons, antall uker med blodplaterespons, tid til redningsterapi, helserelatert livskvalitet og ressursbruk.</p>
<p>Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter</p>	<p>Sanofi plasserer rilzabrutinib som en sistelinjebehandling og foreslår en kostnad-nytte-analyse i sin anmodning. En indirekte behandlingssammenligning (ITC) skal etablere relativ effekt ifølge anmodningen, men Sanofi opplyser ikke om hva som er planlagt komparator.</p>

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

	<p>Rilzabrutinib og fostamatinib har tilsvarende indikasjonsordlyd og DMP vurderer at rilzabrutinib kan være et alternativ til fostamatinib. Basert på opplysninger i anmodningen, finnes det ingen direkte studie av rilzabrutinib sammenlignet med fostamatinib. Det vil derfor være nødvendig med ITC for å etablere relativ effekt mot fostamatinib.</p> <p>Det har ikke kommet innspill fra fagmiljøet til anmodningen.</p>
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	<p>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. En kostnad-nytte-analyse er aktuelt dersom en forskjell i effekt og/eller sikkerhet sammenlignet med fostamatinib kan dokumenteres. En kostnadminimeringsanalyse er aktuelt dersom sammenlignbar effekt og sikkerhet mellom rilzabrutinib og fostamatinib kan dokumenteres.</p> <p>DMP oppfordrer til at leverandør avtaler et formøte med DMP før dokumentasjon sendes inn. Hensikten med formøtet er å veilede firma i forhold til nødvendig dokumentasjon for relativ effekt sammenlignet med fostamatinib, samt hvilken dokumentasjon som bør inngå i en eventuell kostnad-nytte-analyse.</p>
Referanser	<ol style="list-style-type: none"> 1) Primær immun trombocytopeni (ITP) - NEL - Norsk Elektronisk Legehåndbok 2) Metodevurdering ID2019_041 fostamatinib (Tavlesse) ved ITP. 3) T4.4.2.1 Immunologisk nedbrytning av blodplater Legemiddelhåndboka 4) Second-line and subsequent therapies for immune thrombocytopenia (ITP) in adults - UpToDate 5) https://www.ema.europa.eu/no/documents/product-information/wayrilz-epar-product-information_no.pdf 6) 2499I ITP - anbefaling-immunologisk-trombocytopeni.pdf

Versjonslogg*

Dato	Hva
03.03.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP
<p>*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.</p>	