

## Metodevarsel for legemiddel

### 1. Status og oppsummering

#### Vamorolone til behandling av Duchenne muskeldystrofi

##### 1.1 Oppsummering\*

Metoden omfatter et nytt virkestoff. Metoden har foreløpig ikke MT i Norge, EU eller i USA, men er under vurdering hos Det europeiske legemiddelkontoret (EMA) og US Food and Drug Administration (FDA). Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) (1-3).

##### 1.2 Kort om metoden

ATC-kode: ikke angitt

Virkestoffnavn: vamorolone

Handelsnavn: -

Legemiddelform:  
mikstur, suspensjon

MT-søker/innehaver:  
Santhera Pharmaceuticals  
GmbH (1)

##### 1.3 Metodetype

- Legemiddel  
 Annet:

##### 1.4 Tag (merknad)

- Vaksine  
 Avansert terapi (gen-/celleterapi)  
 Medisinsk stråling  
 Krever diagnostisk metode eller medisinsk utstyr  
 Annet:

##### 1.5 Finansieringsansvar

- Spesialisthelsetjenesten  
 Folketrygd: blåresept  
 Kommune  
 Annet:

##### 1.6 Fagområde

Nevrologi

##### 1.7 Bestillingsanbefaling

###### Metodevurderinger

- Fullstendig metodevurdering  
 Hurtig metodevurdering (CUA)  
 Forenklet vurdering  
 Avvente bestilling  
 Ingen metodevurdering  
 Kan være egnet for FINOSE

###### Kommentar:

##### 1.8 Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

- Klinisk effekt relativ til komparator  
 Sikkerhet relativ til komparator  
 Kostnader / Ressursbruk  
 Kostnadseffektivitet  
 Juridiske konsekvenser  
 Ethiske vurderinger  
 Organisatoriske konsekvenser  
 Annet

###### Kommentar:

Statens legemiddelverk er ansvarlig for å utarbeide metodevarsler. Metodevarsling skal sikre at nye og viktige metoder for norsk helsetjeneste blir identifisert og prioritert for metodevurdering. Et metodevarsel er ingen vurdering av metoden. Alle metodevarsler publiseres av Folkehelseinstituttet i MedNytt, som er Folkehelseinstituttets publiseringsplattform for metodevarsler. Metodevarsler som skal vurderes på nasjonalt nivå i Bestillerforum RHF til spesialisthelsetjenesten publiseres i tillegg på [nyemetoder.no](http://nyemetoder.no). For mer informasjon om identifikasjon av metoder, produksjon av metodevarsler og hvordan disse brukes, se [Legemiddelverkets nettsider](http://Legemiddelverkets nettsider).

\*Et metodevarsel er en kort beskrivelse av en legemiddelindikasjon (metode) på et tidlig tidspunkt, og oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](http://Legemiddelsøk.no).

## 2. Beskrivelse av metoden

### Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Duchenne muskeldystrofi (DMD) er en alvorlig, sjelden og progressiv muskelsykdom som nesten bare rammer gutter. Sykdommen skyldes en feil i muskelcellene, som fører til gradvis tap av muskelfunksjon. DMD skyldes en mutasjon i dystrofinogenet (DMD-genet) som sitter på X-kromosomet. Derfor rammes nesten bare gutter. Mutasjonen fører til manglende produksjon av proteinet dystrofin som er nødvendig i oppbyggingen av muskelceller. Det gjør at muskelcellene ødelegges over tid, og dette fører til redusert gangfunksjon. Guttene får økende vanskeligheter med å løpe, hoppe, gå opp og ned trapper og bevege seg i ulendt terreng. Etter hvert som gangfunksjonen blir redusert vil det bli behov for rullestol. I tenårene opptrer respirasjonsproblemer og hjertesvikt (4).

Antatt forekomst av DMD er cirka 1 per 5 000 levende fødte gutter. I Norge regner vi med at det finnes godt over 100 gutter og menn med DMD (4). Det er usikkert hvor mange norske pasienter som vil være aktuelle for metoden.

### Dagens behandling

Det finnes foreløpig ingen kurativ behandling mot DMD. Regelmessig behandling og veiledning hos fysioterapeut er viktig. Behandling med glukokortikoider (prednisolon eller deflazakort) kan forlenge gående fase og dermed bremse sykdomsutviklingen, men er dessverre beheftet med plagsomme og til dels alvorlige bivirkninger for mange av pasientene. Behandling med hjertemedisin anbefales nå satt inn før symptomer på hjerteproblematikk melder seg, og hostehjelpemidler, slimmobiliserende fysioterapi og pustehjelpemidler må introduseres i rett tid (4).

<b>Virkningsmekanisme</b>	Vamorolone er en ny type antiinflammatorisk legemiddel som virker ved å blokkere NF-kB-signalveien, som er kjent for å være assosiert med DMD symptomer (5).
<b>Tidligere godkjent indikasjon</b>	Ingen
<b>Mulig indikasjon</b>	Vamorolone til behandling av Duchenne muskeldystrofi (DMD) (1)
<b>Kommentar fra FHI ved Companion Diagnostics</b>	<input type="checkbox"/> Metoden <b>vil medføre</b> bruk av ny diagnostisk metode (ny diagnostisk praksis) <input type="checkbox"/> Metoden <b>vil ikke medføre</b> bruk av ny diagnostisk metode (allerede etablert diagnostisk praksis) <input type="checkbox"/> Det er på nåværende tidspunkt <b>uavklart</b> om metoden vil medføre bruk av ny diagnostisk metode <input checked="" type="checkbox"/> Det er <b>ikke vurdert</b> om metoden vil medføre bruk av ny diagnostisk metode  Kommentar fra FHI:

### 3. Dokumentasjonsgrunnlag

#### 3.1 Relevante og sentrale kliniske studier

Populasjon (n = antall deltakere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfallsmål	Studienummer, fase	Tidsperspektiv resultater
Gutter (4-7 år) med DMD som er i stand til å gå og stå selvstendig uten hjelpemidler  n = 121	Vamorolone - 2,0 mg/kg/dag - 6,0 mg/kg/dag	Prednisolon, 0,75 mg/kg/dag i 24 uker, etterfulgt av vamorolone (2,0 eller 6,0 mg/kg/dag) i 20 uker  <i>Eller</i>  Placebo i 24 uker, etterfulgt av vamorolone (2,0 eller 6,0 mg/kg/dag) i 20 uker	Endring i Time to Stand Test (TTSTAND) i forhold til baseline	<a href="#">NCT03439670</a>  Fase IIb  VBP15-004- studie	<a href="#">Resultater foreligger.</a>

#### 3.2 Metodevurderinger og –varsel, nasjonalt og internasjonalt

<b>Metodevurdering</b>	- Andre metoder er vurdert/bestilt til vurdering for samme indikasjon: se NyeMetoder <a href="#">ID2019_062</a> (Translarna).
<b>Metodevarsel</b>	- Det foreligger minst ett relevant metodevarsel (5).

## 4. Referanser

- (1) Committee for medicinal products for human use (CHMP) Draft agenda for the meeting on 07-10 November 2022, European Medicines Agency. [oppdatert 07. november 2022]. Tilgjengelig fra: [https://www.ema.europa.eu/en/documents/agenda/agenda-chmp-meeting-7-10-november-2022\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/agenda/agenda-chmp-meeting-7-10-november-2022_en.pdf)
- (2) FDA Sets Fall Date for Approval Decision on Vamorolone for DMD, Muscular Dystrophy NEWS TODAY. [oppdatert 10. januar 2023]. Tilgjengelig fra: <https://musculardystrophynews.com/news/fda-sets-fall-date-approval-decision-vamorolone-dmd/>
- (3) EU/3/14/1309: Orphan designation for the treatment of Duchenne muscular dystrophy, European Medicines Agency. [september 2022]. Tilgjengelig fra: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-14-1309>
- (4) Duchenne muskeldystrofi (DMD), Helse Norge. [oppdatert 15. desember 2021]. Tilgjengelig fra: <https://www.helsenorge.no/sykdom/sjeldne-diagnoser/nevromuskulare-sykdommer/duchenne-muskeldystrofi/#:~:text=Duchenne%20muskeldystrofi%20er%20en%20alvorlig,til%20gradvis%20tap%20av%20muskelfunksjon.>
- (5) Vamorolone for treating Duchenne muscular dystrophy, NIHR Innovation Observatory. [publisert 2021]. Tilgjengelig fra: <https://www.io.nihr.ac.uk/techbriefings/vamorolone-for-treating-duchenne-muscular-dystrophy/>

## 5. Versjonslogg

5.1 Dato	5.2 Endringer gjort i dokument
17.03.2023	Laget metodevarsel*
19.04.2023	Oppdatert metodevarsel

\*Et metodevarsel er en kort beskrivelse av en legemiddelindikasjon (metode) på et tidlig tidspunkt, og oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](http://Legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.