

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2025_022															
Handelsnavn (virkestoff)	Rystiggo (rozanoliksizumab)															
Virkningsmekanisme	Rozanoliksizumab er et humanisert IgG4 monoklonalt antistoff som reduserer IgG-konsentrasjonen i serum ved å hemme bindingen av IgG til FcRn, en reseptor som under fysiologiske forhold beskytter IgG mot intracellulær nedbryting og resirkulerer IgG tilbake til celleoverflaten. Med samme mekanisme reduserer rozanoliksizumab konsentrasjonen av patogene IgG-autoantistoffer som er forbundet med generalisert myasthenia gravis (MG).															
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder et nytt virkestoff. Legemidlet har markedsføringstillatelse (MT) i Europa (05.02.2024) og «orphan»-status.															
Aktuell indikasjon	Rystiggo er indisert som et tillegg til standardbehandling for behandling av generalisert myasthenia gravis (generalisert MG) hos voksne pasienter som er positive for antistoffer mot acetylkolinreseptor (AChR) eller muskelspesifikk tyrosinkinase (MuSK).															
Dosering	Oppløsning til subkutan injeksjon. En behandlingssyklus består av 1 dose per uke i 6 uker. Tabellen nedenfor indikerer den anbefalte totale ukentlige dosen med rozanoliksizumab i henhold til pasientens kroppsvekt. <table><tr><td>Kroppsvekt</td><td>≥ 35 til <50 kg</td><td>≥ 50 til < 70 kg</td><td>≥ 70 til < 100 kg</td><td>≥ 100 kg</td></tr><tr><td>Ukentlig dose (mg)</td><td>280 mg</td><td>420 mg</td><td>560 mg</td><td>840 mg</td></tr><tr><td>Ukentlig dose (ml)</td><td>2 ml*</td><td>3 ml*</td><td>4 ml*</td><td>6 ml*</td></tr></table> *Én ml injeksjonsvæske inneholder 140 mg rozanoliksizumab. Påfølgende behandlingssykluser skal administreres i henhold til klinisk vurdering.	Kroppsvekt	≥ 35 til <50 kg	≥ 50 til < 70 kg	≥ 70 til < 100 kg	≥ 100 kg	Ukentlig dose (mg)	280 mg	420 mg	560 mg	840 mg	Ukentlig dose (ml)	2 ml*	3 ml*	4 ml*	6 ml*
Kroppsvekt	≥ 35 til <50 kg	≥ 50 til < 70 kg	≥ 70 til < 100 kg	≥ 100 kg												
Ukentlig dose (mg)	280 mg	420 mg	560 mg	840 mg												
Ukentlig dose (ml)	2 ml*	3 ml*	4 ml*	6 ml*												
Forslag	Anmodning om vurdering															
Innsendt av	UCB Pharma AS															
Bakgrunn	DMP er ikke kjent med at det finnes nasjonale faglige retningslinjer for behandling av voksne pasienter med generalisert MG. Behandling av generalisert MG er imidlertid beskrevet i oppslagsverket NevroNEL¹. Det er også utarbeidet en nordisk konsensusretningslinje for behandling av pasienter med generalisert MG som er AChR-antistoffpositive². Skissert bruk av rozanoliksizumab i anmodningen er hos voksne pasienter med alvorlig og/eller behandlingsresistent generalisert MG, og er dermed smalere enn godkjent indikasjon. Anmoder har ikke estimert antall aktuelle pasienter per år. En norsk kliniker har gjennom innspill til Bestillerforum estimert størrelsen på ulike pasientgrupper basert på ulike årsaker/bruksområder (MG-forverring, MG-krise, osv.)															

¹<https://nevrologi.legehandboka.no/premium/handboken/sykdomsgrupper/nevromuskulare-sykdommer/sykdommer-og-symptomer/myasthenia-gravis-mg#behandling-av-generalisert-mg>

² <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37059507/>

	DMP estimerte i en metodevurdering av et legemiddel med lignende indikasjonsordlyd fra 2024 et pasientantall på mellom 60-110 pasienter. Effekt og sikkerhet av rozanoliksizumab er undersøkt i den randomiserte, placebokontrollerte fase-3 studien MycarinG (MG0003, NCT03971422)³. Primærendepunktet i studien var endring i MG-ADL skår fra baseline til dag 43. Effekt og sikkerhet i inntil tre år er undersøkt i en åpen, ukontrollert forlengelsesstudie (MG0007, NCT04650854).
Preliminær PICO⁴	P: I tråd med godkjent indikasjon. I: Rozanoliksizumab brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtale. C: Dagens standardbehandling. O: Overlevelse, helserelatert livskvalitet, funksjon og ressursbruk.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Anmoder ønsker å sende inn en kostnad-nytte-analyse som bygger på en indirekte sammenligning. Komparator, datagrunnlag og type indirekte sammenligning er imidlertid ikke beskrevet. Videre forslår anmoder å kun vurderer de pasientene alvorlig og/eller behandlingsresistent generalisert MG. DMP mener at dagens standardbehandling er relevant komparator for metodevurderingen, og at den placebokontrollerte pivotale studien dermed kan benyttes direkte som grunnlag for en kostnad-nytte-analyse. Dette er tilsvarende ID2022_036, som har lignende indikasjonsordlyd (ikke indisert ved MuSK antistoffer). DMP mener at det er behov for å vurdere hele det godkjent bruksområdet, og ikke kun de med pasientene med alvorlig og/eller behandlingsresistent generalisert MG.
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved bruk iht. godkjent indikasjon. På grunn av begrenset med informasjon i anmodningen har DMP liten mulighet til å vurdere hvorvidt dokumentasjonen som planlegges innsendt er egnet for en metodevurdering med tilhørende helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte-analyse). DMP foreslår at det bestilles en metodevurdering med helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte analyse), med oppfordring om at leverandør avtaler et formøte med DMP før dokumentasjon sendes inn. Hensikten med formøtet er å fastsette PICO og få klarhet i hvilken dokumentasjon for relativ effekt som skal ligge til grunn for innsendelsen.

Versjonslogg*

Dato	Hva
13.05.2025	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP

³ <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37059507/>

⁴ Pasientpopulasjon, intervensjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering

*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](https://legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.