

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2025_047
Handelsnavn (virkestoff)	Teizeild (teplizumab)
Virkningsmekanisme	Ved type 1-diabetes (T1D) angripes insulinproduserende betaceller av egne immunceller. Teplizumab er et CD3-rettet antistoff som bindes til CD3 (overflateantigen på T-lymfocytter) og kan deaktivere T-lymfocytter med autoimmunitet mot betaceller i bukspyttkjertelen. Dette fører i tillegg til en økning i andelen regulatoriske T-celler ¹ .
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder et nytt virkestoff. Legemiddelet har ikke markedsføringstillatelse (MT) i Europa, men er til vurdering hos det Europeiske legemiddelbyrået (EMA). Anmoder angir at forventet tidspunkt for opinion i EMA er november 2025 og forventet tidspunkt for MT er februar 2026.
Mulig indikasjon	Utsette start av stadium 3 type 1 diabetes (T1D) hos voksne og pediatriske pasienter 8 år og eldre med stadium 2 av type 1 diabetes.
Forventet dosering	Intravenøs infusjon som engangskur over 14 dager. Styrke 2 mg per 2 mL, endose hetteglass. Administreres i minimum 30 minutter daglig i 14 påfølgende dager. Dosering baseres på kroppsoverflate (body surface area): • dag 1: 65 mcg/m² • dag 2: 125 mcg/m² • dag 3: 250 mcg/m² • dag 4: 500 mcg/m² • dag 5 til 14: 1 030 mcg/m²
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Sanofi (produsent)
Bakgrunn	T1D er en kronisk, autoimmun sykdom der bukspyttkjertelens betaceller ikke produserer insulin, da betacellene angripes og ødelegges av pasientens eget immunforsvar. Insulin er et hormon som senker blodsukkeret gjennom flere mekanismer. T1D er en alvorlig sykdom. Livslang behandling med insulin er nødvendig. Fravær av normal blodsukkerregulering kan føre til akutte og kroniske komplikasjoner. Målet med behandling med teplizumab er å utsette klinisk T1D. T1D utvikles i flere stadier. I stadium 1 er blodsukkeret normalt og pasienten symptomfri. Det kan på dette tidspunktet påvises minst ett diabetesrelatert autoantistoff og immunforsvaret har startet å angripe betaceller. I stadium 2 vil begynnende tap av betaceller gi unormalt blodsukker, og flere autoantistoffer kan påvises i blodet. Pasienten er fortsatt symptomfri. I stadium 3 (klinisk T1D) er det betydelig tap av betaceller, unormalt blodsukker og pasienten har vanligvis symptomer².

¹ [Teplizumab's immunomodulatory effects on pancreatic \$\beta\$ -cell function in type 1 diabetes mellitus - PMC](#)

² [Stages of Type 1 | Emory School of Medicine](#)

	Effekt av teplizumab er undersøkt i en randomisert, dobbeltblindet placebokontrollert fase 2-studie fullført i juni 2019 (NCT01030861)^{3,4}. Studien inkluderte 76 personer mellom 8-49,5 år med familiehistorikk for T1D. Over halvparten av deltakerne i studien hadde søsken med T1D, men inklusjonskriteriene omfattet også andre førstegrads- eller andregradsslektninger. Deltakerne hadde ikke klinisk T1D, men høy risiko for sykdomsutvikling basert på blodprøver, inkludert autoantistoffer for T1D. Intervensjonsgruppen fikk intravenøs infusjon av teplizumab basert på kroppsoverflate i 14 påfølgende dager, kontrollgruppen fikk tilsvarende infusjon med placebo (saltvann) i 14 påfølgende dager. Studien undersøkte om teplizumab kunne utsette debut av klinisk T1D. Primært utfallsmål sammenliknet median tid til diagnostisert T1D mellom de to gruppene. Median oppfølgingstid var 745 dager. Resultatene fra studien viste en forskjell mellom de to gruppene: median tid til klinisk T1D-diagnose var 48,8 mnd i teplizumabgruppen og 24,4 i placebogruppen. 43 % i teplizumabgruppen ble diagnostisert med T1D, mot 72 % i placebogruppen i løpet av studieperioden. Den største effekten av teplizumab ble observert første år etter randomisering, der T1D ble diagnostisert hos 7% i teplizumabgruppen, mot 44 % i placebogruppen³. Det er pågående studie for indikasjonsutvidelse til barn under 8 år, samt ytterligere kliniske studier som undersøker teplizumab i andre deler av sykdomsforløpet til T1D.
Preliminær PICO⁵	P: I tråd med mulig indikasjon I: Teplizumab brukt i tråd med forventet dosering. C: Pasienter som er aktuelle for teplizumab (stadium 2 T1D) har ingen standardbehandling i dag. O: Debut av stadium 3 T1D og oppstart av behandling med insulin, bivirkninger, komplikasjoner (herunder forekomst av ketoacidose), dødelighet, helserelatert livskvalitet, ressursbruk.

³ [Study Details | Teplizumab for Prevention of Type 1 Diabetes In Relatives "At-Risk" | ClinicalTrials.gov](#)

⁴ [An Anti-CD3 Antibody, Teplizumab, in Relatives at Risk for Type 1 Diabetes | New England Journal of Medicine](#)

⁵ Pasientpopulasjon, intervensjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering

Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	Teplizumab er det første legemiddelet med mål om utsettelse av debut av klinisk T1D. Anmoder forventer MT i februar 2026. Teplizumab har vært godkjent av FDA siden januar 2023⁶ og er i Norge en del av «Compassionate Use Named Patient»-programmet. Teplizumab er ingen kurativ behandling for T1D, men kan utsette debut av siste stadium av sykdommen og dermed behovet for overvåkning av blodsukker og behov for eksogen insulintilførsel. Med en blodprøve kan man i dag teste for tre ulike autoantistoffer som gir en indikasjon på risiko for å utvikle T1D. Påvisning av autoantistoffene betyr ikke at man har eller vil få T1D, men at det er en økt risiko for diagnosen. Ifølge et informasjonsskriv fra Folkehelseinstituttet (FHI) er det ved gjentatte positive prøver for to eller tre autoantistoffer sannsynligheten for en T1D-diagnose innen 3-5 år omtrent 40-50 %. Variasjonen er imidlertid stor⁷. Det finnes ikke et etablert program for screening for tidlige stadier av T1D i dag, og pasientene oppdages og behandles derfor etter klinisk debut. Det er uklart hvordan pasienter som er aktuelle for behandling med teplizumab vil kunne identifiseres i norsk klinisk praksis. Av ca. 60 000 barn som årlig fødes i Norge, vil omtrent 0,3-0,5 % diagnostiseres med T1D i løpet av livet. En eventuell innføring av teplizumab vil kreve økte ressurser og kapasitet i helsetjenesten til screening/diagnostisering, administrering av legemiddel og monitorering. Dette vil ikke fullt ut bli belyst i en metodevurdering. Sanofi har i sin anmodning foreslått en kostnad per QALY-analyse. Det foreligger data fra en dobbeltblindet, randomisert placebokontrollert studie (se bakgrunn) som kan være egnet som grunnlag for en slik analyse. Anmoder har i anmodningen ikke skissert hvordan det tenkes å identifisere aktuelle pasienter for behandling med teplizumab. DMP oppfordrer leverandør til å avtale et formøte før dokumentasjon sendes inn.
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). Etablering av et eventuelt screeningprogram for å identifisere potensielle pasienter og tilhørende ressursbruk vil ikke fullt ut belyses i en metodevurdering. DMP mener likevel at det vil være av verdi at Sanofi belyser denne problemstillingen i sin innsendte dokumentasjon.

Versjonslogg*

⁶ [FDA approves first drug that can delay onset of type 1 diabetes](#)

⁷ Informasjon om autoantistoffene og sannsynlighet for å få type 1 diabetes. ([Microsoft Word - Informasjon om autoantistoffene og sannsynligheten for \345 f\345.doc](#))

Dato	Hva
09.09.2025	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.	