



Edaravone til behandling av ALS

Om ALS

Amyotrofisk lateral sklerose (ALS) er en sykdom som fører til muskelsvinn fordi nervecellene som sender signaler fra hjernen til musklene blir ødelagt. Sykdommen forekommer oftest hos personer i alderen 40-70 år, og opptrer oftere hos menn enn hos kvinner. Det oppstår ca 1-2 tilfeller pr 100 000 innbygger hvert år, og i Norge er det ca 300-400 pasienter med diagnose ALS til enhver tid. Om lag 5-10 % av pasientene er i live etter 10 år men de fleste pasienter med ALS dør av luftveisinfeksjoner og sviktende lungefunksjon innen få år.

Beskrivelse av metoden

Edaravone virker ved å eliminere lipidperoksider og hydroksylradikaler, og er antatt å på den måten beskytte nerveceller mot skade fra frie radikaler. Legemidlet har siden 2001 vært godkjent til behandling av akutt hjerneinfarkt, men den aktuelle metoden omhandler bruk til behandling av amyotrofisk lateral sklerose (ALS).

Behandlingen som gis som intravenøs infusjon, initieres med daglig dosering i 14 dager etterfulgt av 14 dager opphold. I etterfølgende sykluser doseres legemidlet i 10 av 14 dager før 14 dagers behandlingsopphold. Riluzole (Rilutek), som er eneste tilgjengelige legemiddelbehandling mot ALS per i dag ble gitt sammen med edaravone i 90 % av tilfellene i de kliniske studiene.

Effekt og sikkerhet

Effekten av edaravone til behandling av ALS er undersøkt i flere randomiserte placebokontrollerte fase III-studier.

I en studie ([NCT00330681](#)) hvor pasienter med definite, probable eller probable laboratory-supported ALS ble randomisert til behandling med enten edaravone eller placebo ble det funnet en numerisk forskjell mellom behandlingsarmene til fordel for edaravone. Denne var imidlertid svært liten (0,65 poeng) og ikke statistisk signifikant. Forskjellen var noe større hos pasientene som hadde definite ALS, men i [publikasjonen](#) konkluderes det med at edaravone ikke har noen effekt på ALS.

På bakgrunn av post-hoc analyser ble det designet en ny tilsvarende studie (N=137) med noe strengere inklusjonskriterier ([NCT01492686](#)). Ved uke 24 hadde pasienter som mottok edaravone i denne studien tapt mindre funksjon (målt ved ALS Functional Rating Scale - Revised (ALSFRS-R¹))

¹ ALSFRS-R måler tap av funksjonsevne hos personer med ALS. Skalaen består av 12 elementer: tale, salivasjon, svelging, håndskrift, kutting av mat, påkledning og hygiene, snu i seng, gå, gå i trapper, dyspné (pustevansker eller kortpustethet), ortopne (problemer med å puste når du ligger) Og respiratorisk insuffisiens.

Hvert element i ALSFRS-R er scoret mellom 4 og 0. Høyere score representerer større funksjonsevne. En maksimal totalpoengsum er 48 og minimumsresultatet er 0.

sammenlignet med de som fikk placebobehandling. Mens pasientene i placebogruppen tapte i gjennomsnitt 7,5 poeng, tapte pasientene i edaravonegruppen 5,01 poeng. Dette tilsvarer en forskjell på 2,49 poeng eller 33 %, som er tallet det har blitt referert til blant annet i VG. [Publikasjonen](#) konkluderer med at edaravone viser en klinisk signifikant effekt hos en undergruppe av ALS-pasienter med et visst symptombilde og tidlig sykdom som ennå er i stand til å ta vare på seg selv. Det synes å være denne studien som ligger til grunn for FDAs godkjenning.

Resultatene fra en studie hos pasienter med mer langtkommet ALS (som er avhengig av hjelp i hverdagen) er ikke identifisert ([NCT00415519](#)).

Legemiddelverket har ikke funnet at det er identifisert sikkerhetsaspekter av betydning i studieprogrammet til nå.

Regulatorisk status

Det er foreløpig ikke søkt om MT i Norge eller EU, men edaravone er godkjent av US Food and Drug Administration (FDA) og markedsført i USA. [Specialist pharmacy services](#) (NHS) oppgir en anslått årskostnad for behandlingen på \$145,000.

Det er per dags dato uvisst om MT-innehaver vil søke europeisk MT. Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) i USA og EU.

Andre behandlingsalternativer

Legemiddelverket har tidligere i 2017 varslet Masitinib for samme diagnose. Denne har ikke nådd nye metoder da den ble vurdert å vær folketrygdfinansiert, men er publisert på våre [nettsider](#).