

Metodevarsel for legemiddel

1. Status og oppsummering

Somapacitan (Sogroya) til hormonsubstitusjonsbehandling ved veksthormonmangel hos voksne (AGHD), barn og ungdom

1.1 Oppsummering*

Metoden omfatter en aldersutvidelse/indikasjonsutvidelse. Metoden har ikke MT i Norge, EU eller i USA (1). Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for sjelden sykdom) (2).

1.2 Kort om metoden	1.3 Metodetype	1.5 Finansieringsansvar	1.6 Fagområde
ATC-kode: H01AC07 Virkestoffnavn: somapacitan Handelsnavn: Sogroya (2) Legemiddelform: injeksjonsvæske MT-søker/innehaver: Novo Nordisk (1)	☒ Legemiddel ☐ Annet: 1.4 Tag (merknad) ☐ Vaksine ☐ Avansert terapi (gen-/celleterapi) ☐ Medisinsk stråling ☐ Krever diagnostisk metode eller medisinsk utstyr ☐ Annet:	☒ Specialisthelsetjenesten ☐ Folketrygd: blåresept ☐ Kommune ☐ Annet:	Endokrinologi
1.7 Bestillingsanbefaling	1.8 Relevante vurderingselementer for en metodevurdering		
Metodevurderinger ☐ Fullstendig metodevurdering ☐ Hurtig metodevurdering (CUA) ☒ Forenklet vurdering ☐ Avvente bestilling ☐ Ingen metodevurdering ☐ Kan være egnet for FINOSE Kommentar:	☒ Klinisk effekt relativ til komparator ☒ Sikkerhet relativ til komparator ☒ Kostnader / Ressursbruk ☐ Kostnadseffektivitet Kommentar: ☐ Juridiske konsekvenser ☐ Etske vurderinger ☐ Organisatoriske konsekvenser ☐ Annet		

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. For mer informasjon om identifikasjon av metoder, produksjon av metodevarsler og hvordan disse brukes, se [Legemiddelverkets nettsider](https://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](https://legemiddelsøk.no).

2. Beskrivelse av metoden

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Veksthormonmangel (GHD) er en sykdom som skyldes at pasienter produserer mindre veksthormon enn normalt. Veksthormon dannes i hypofysen og har stor betydning for normal utvikling og lengdevekst hos barn og ungdom. Hos voksne kan veksthormonmangel påvirke en rekke andre funksjoner som stoffskiftet, hjerte, muskler, sinnsstemning med mer (3). Både hos voksne og barn fører mangel på veksthormon til nedsatt muskelmasse og økt mengde kroppsfett. Ubehandlet har veksthormonmangel hos voksne (adult growth hormone deficiency; AGHD) blitt knyttet til økt sykkelighet og tidlig død (3).

Sykdommen utvikles vanligvis i forbindelse med en betennelse eller forekomst av svulster nær hypofysen, mens andre bidragsfaktorer er strukturelle endringer forårsaket av strålebehandling eller hodeskade. Sykdommen diagnostiseres ved hjelp av blodprøver hvor mengden veksthormon måles etter ulike stimuleringstester (3, 4).

Somapacitan ble tilkjent orphan designation i 2018 for behandling av veksthormonmangel. I EU er det anslått at 4,7 av 10 000 personer har veksthormonmangel (5). AGHD alene har blitt estimert å påvirke 1 av 100 000 personer årlig, hvor insidensen øker til rundt 2 per 100 000 når veksthormonmangel fra barnealder inkluderes (1). Det er usikkert hvor mange norske pasienter som vil være aktuelle for metoden.

Dagens behandling

Veksthormonmangel behandles med daglige injeksjoner av veksthormon. For å etterligne kroppens naturlige utskillelse av veksthormon, som i stor grad skjer i løpet av natten, er det best å foreta injeksjonen om kvelden (3). Behandlingen av pasienter med GHD kan i prinsippet vare livet ut, men dette vurderes individuelt avhengig av responsen.

Virkningsmekanisme

Somapacitan er et langtidsvirkende derivat av humant veksthormon (somatropin) som administreres subkutan en gang per uke. For å muliggjøre en ukentlig dosering har somapacitan en liten albuminbindende enhet festet til veksthormonet. Dette gir en lettere og reversibel binding til sirkulerende albumin, noe som reduserer utskillelsen og forlenger halveringstiden. Den samme teknikken har tidligere blitt brukt til å forlenge halveringstider for insulin og GLP-1-analoger (2, 6).

Tidligere godkjent indikasjon

Somapacitan til hormonsubstitusjonsbehandling ved veksthormonmangel hos voksne (AGHD)

Mulig indikasjon

Somapacitan til hormonsubstitusjonsbehandling ved veksthormonmangel hos pre-pubertale barn (1).

Kommentar fra FHI ved Companion Diagnostics

- ☐ Metoden **vil medføre** bruk av ny diagnostisk metode (ny diagnostisk praksis)
- ☐ Metoden **vil ikke medføre** bruk av ny diagnostisk metode (allerede etablert diagnostisk praksis)
- ☐ Det er på nåværende tidspunkt **uavklart** om metoden vil medføre bruk av ny diagnostisk metode
- ☒ Det er **ikke vurdert** 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
Voksne (23-79 år), veksthormonnaive pasienter diagnostisert med veksthormonmangel (AGHD) (n=301)	Somapacitan injeksjon ukentlig i 34 uker + 52 uker	Hovedperiode (34 uker): Somatropin injeksjon daglig i 34 uker eller Placebo injeksjon ukentlig i 34 uker <u>Forlengelsesperiode (52 uker):</u> Placebo → somapacitan Somatropin → rerandomisering 1:1 til somatropin injeksjon daglig eller somapacitan injeksjon ukentlig	Endring i trunkal fettprosent fra baseline til 34 uker	NCT02229851 Fase III REAL 1	Studie avsluttet 7.mai 2018. Resultater foreligger.
Pre-pubertale barn fra 2 opp til 11 år, behandlingsnaive, diagnostisert med veksthormonmangel (n=200)	Somapacitan injeksjon ukentlig i 52 uker	Somatropin injeksjon daglig i 52 uker	Hastighet på vekst i løpet av 52 uker, dvs høyde ved 52 uker – høyde ved baseline	NCT03811535 Fase III REAL 4	Aktiv, forventes avsluttet september 2025. Foreløpige resultater: Miller B., et al

3.2 Metodevurderinger og –varsel, nasjonalt og internasjonalt

Metodevurdering	- Samme metode er bestilt til vurdering for andre indikasjoner: se NyeMetoder ID2020_028 (hormonbehandling ved veksthormonmangel hos voksne).
Metodevarsel	- Det foreligger minst ett relevant metodevarsel (7).

4. Referanser

1. Specialist Pharmacy Service. Somapacitan [Available from: <https://www.sps.nhs.uk/medicines/somapacitan/>].
2. European Medicine Agency. Sogroya - EPAR 2018 [Available from: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/sogroya>].
3. Felleskatalogen. Veksthormonmangel 2015 [Available from: <https://www.felleskatalogen.no/medisin/sykdom/mangel-veksthormon>].
4. Melmed S. Pathogenesis and Diagnosis of Growth Hormone Deficiency in Adults. New England Journal of Medicine. 2019;380(26):2551-62.
5. European Medicine Agency. Somapacitan: EU/3/18/2068: Orphan designation for the treatment of growth hormone deficiency 2018 [Available from: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3182068>].
6. Johannsson G, Gordon MB, Højby Rasmussen M, Håkonsson IH, Karges W, Sværke C, et al. Once-weekly Somapacitan is Effective and Well Tolerated in Adults with GH Deficiency: A Randomized Phase 3 Trial. J Clin Endocrinol Metab. 2020;105(4):e1358-76.
7. Statens Legemiddelverk. Somapacitan til hormonsubstitusjonsbehandling ved veksthormonmangel hos voksne (AGHD) 2020 [Available from: <https://www.mednytt.no/metodevarsler/2020/somapacitan-til-hormonsubstitusjonsbehandling-ved-veksthormonmangel-hos-voksne-aghd/>].

5. Versjonslogg

5.1 Dato	5.2 Endringer gjort i dokument
27.03.2020	Laget metodevarsel LM 027 2020*
06.01.2023	Metodevarsel oppdatert til å varsle indikasjon for barn og ungdom i tillegg til indikasjon for voksne. Dette metodevarselet erstatter nå LM027 2020
DD.MM.ÅÅÅÅ	Endret status for metoden
*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 . Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.	