

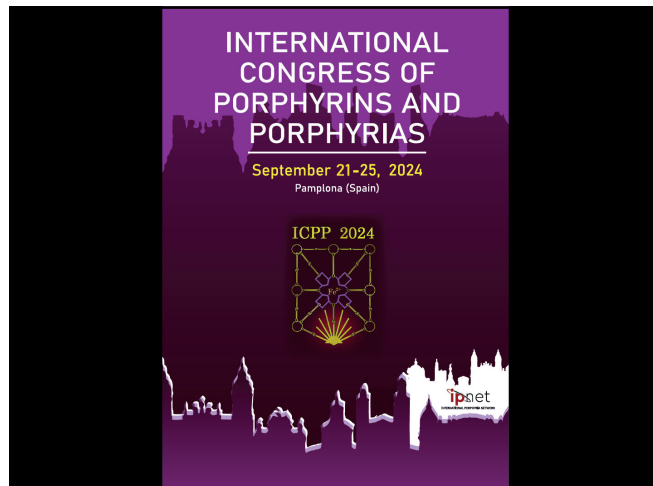
# Nytt om forskning

---

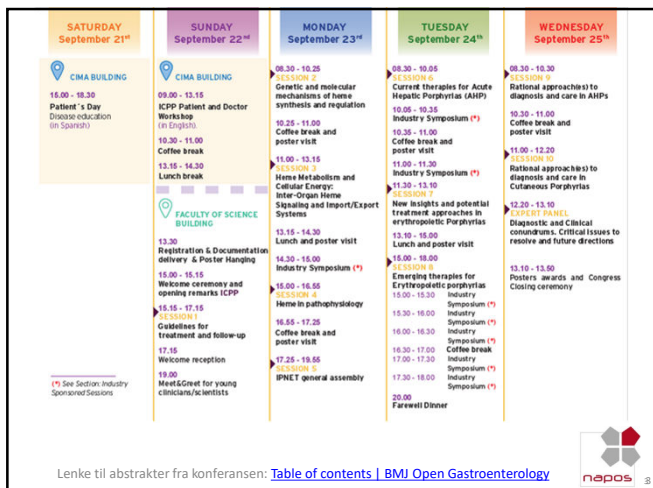
Vegar Engeland Haugen  
Lege  
NAPOS





1



2



Lenke til abstrakter fra konferansen: [Table of contents](#) | [BMJ Open Gastroenterology](#)




3

# To studier

---

1. Virkning av givosiran over 3 år
2. Nytt legemiddel under tidlig utprøving




4

# Studie 1

---

**Efficacy and safety of givosiran for acute hepatic porphyria: Final results of the randomized phase III ENVISION trial**

Lenke Pubmed: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37479139/>




5

# Funn i løpet av 36 måneder:

---

- Pasienter oppga vedvarende bedring i symptomer og livskvalitet
- Lavere antall anfall pr. år (AAR) under behandling

Kuter, D. J. et al. (2023). "Efficacy and safety of givosiran for acute hepatic porphyria: Final results of the randomized phase III ENVISION trial."



6

## Funn i løpet av 36 måneder:

---

- Andelen pasienter med bedring økte med tiden
- Tilfredsstillende risikoprofil
  - 97% fikk en eller annen form for bivirkning
  - 39% med mer alvorlige hendelser
  - 4 stk. som avbrutt studie pga. hendelse
  - 1 dødsfall, ikke ansett som relatert til studien

Kuter, D. J. et al. (2023). "Efficacy and safety of givosiran for acute hepatic porphyria: Final results of the randomized phase III ENVISION trial."



7

## Studie 2

---

**Systemic messenger RNA replacement therapy is effective in a novel clinically relevant model of acute intermittent porphyria developed in non-human primates**

Lenke til pubmed: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/39366725/>

Funn:

- Gjentatt injeksjon av medikamentet uten negative utfall hos apene
- Synkende ALA & PBG ved behandling +++
- Lovende resultater for ev. videre kliniske forsøk



8