

04.11.2024


## Status for Givlaari

(per høst 2024)

---

Linda Eirin Gilleshammer  
Farmasøyt  
Nasjonalt kompetansesenter for porfyrisykdommer (NAPOS)

Nasjonal kompetansetjeneste for  
**SJELDNE DIAGNOSER**



Følsomhet Intern (gul)

1

## Givlaari (Givosiran)

---

- Legemiddel som gis som månedlig injeksjon
- Ny teknologi
  - RNA interferens
- Forebyggende behandling ved alvorlige tilbakevendende porfyrianfall





Foto: Colourbox




Følsomhet Intern (gul)

2

## Givlaari - virkemåte

---

- Reduserer produksjon av enzymet ALAS1 – første trinn i hemsyntesen
- fører til redusert produksjon av porfyrintorstadiene ALA og PBG



Følsomhet Intern (gul)


3

## Effekt på porfyrisykdom

---

- Reduserer anfallshyppighet
- Reduserer nivåene av ALA/PBG
- Reduserer behov for behandling med Normosang
- Reduserer behov for smertestillende

Flere nyere studier bekrefter god effekt




Følsomhet Intern (gul)

4

## Bivirkninger

---

- Lite og milde bivirkninger rapportert.
- Stort sett lokale reaksjoner på injeksjonsstedet, kvalme og fatigue.
- Det er også rapportert forhøyede leververdier, nyrepåvirkning og økt nivå av homocystein.
- Krever derfor monitorering og evt behandling med Vitamin B6 (reduserer homocystein)




Følsomhet Intern (gul)

5

## Før et nytt legemiddel kan tas i bruk

---

- Må gjennom metodevurdering
  - System for å prioritere bruk av ressursene i spesialisthelsetjenesten
- Kriterier som vurderes:
  - Nytte
  - Ressursbruk
  - Alvorlighet



Følsomhet Intern (gul)

6

## Status på prosess for Givlaari

- Fikk markedsføringstillatelse 2.mars 2020
- Har vært gjennom vurderingsprosessen Nye Metoder
- Avslag i beslutningsforum 27.september 2021
- Ny vurdering (for personer med hyppige alvorlige anfall) ble satt i gang 18.03.2024
- Nå: dokumentasjonsinnhenting pågår



Følsomhet Intern (gul)

7

## Begrunnelse for avslag i 2021

- For dyrt
  - Utgangspris på kr 623 751,- for én ampulle
  - Kostnad per år per pasient 7,5 millioner kr
- For lite dokumentasjon på den relative effekten i forhold til behandling med Normosang

*Det er kun gjennomført en forenklet metodevurdering*



Følsomhet Intern (gul)

8

## Nytt forslag

- Start- og stoppkriterier
- Persontilpasset behandling (dosering etter respons)
  - kortere behandlingsperiode
  - redusert legemiddelforbruk
- Behov for mer grundig vurdering av
  - Alvorlighetsgraden til pasientene som behandlingen foreslås for
  - Kost –nytte vurdering ved alvorlig sykdom
    - Kostnader knyttet til alvorlig sykdom
    - Helsemessige konsekvenser ved alvorlig sykdom



Følsomhet Intern (gul)

9

## Aktuelle momenter ved ny vurdering:

- **Nytt pristilbud fra produsent?**
- **Behov for vurdering av:**
  - Alvorlighetsgrad av sykdom hos pasienter som kan være aktuell for behandling.
  - Forskjeller på effekt mellom Givlaari og Normosang til forebyggende behandling
  - levertransplantasjon som alternativ for noen av de sykeste pasientene (risiko og komplikasjoner)
  - Sannsynlig økt livskvalitet ved bruk av Givlaari
  - Varighet av behandlingen (sannsynlig ikke behov for livslang behandling som tidligere antatt)
  - Problemer og kostnader knyttet til høyt forbruk av smertestillende og andre kroniske symptomer



Følsomhet Intern (gul)

10