

03.11.2021


Givlaari til forebygging av akutte porfyrianfall

Linda Eirin Gilleshammer
Farmasøyt
Nasjonalt kompetansesenter for porfyri sykdommer (NAPOS)


Nasjonal kompetansetjeneste for
SJELDNE DIAGNOSER



Givlaari, nytt legemiddel


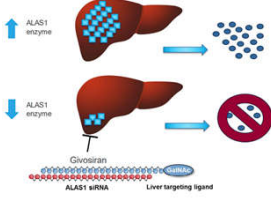


- Forebyggende behandling ved akutt porfyri sykdom
- Gis i form av én månedlig injeksjon
- Ny teknologi – RNA interferens



Givlaari - virkemåte

Reduserer produksjon av enzymet ALAS1 – som fører til reduksjon av ALA og PBG




Effekt på porfyri sykdom

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


Bivirkninger

- Lokale reaksjoner på stikkstedet, kvalme
- Mer sjelden: Lever/ nyre-påvirkning, fatigue



Status på prosess før det kan tas i bruk


- Fikk markedsføringstillatelse 2.mars 2020
- Gjennom vurderingsprosessen Nye Metoder
- Vurderingsrapport utarbeidet av statens legemiddelverk
- Avslag i beslutningsforum 27.september 2021



Avslag

- 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



Ved nytt pristilbud fra produsent: Behov for mer fullstendig vurdering

Punkter som kan belyses bedre:

- Alvorlighetsgrad av sykdom hos pasienter som kan være aktuell for behandling.
- Normosang til forebyggende behandling er utilstrekkelig
- levertransplantasjon som alternativ for noen av de sykeste pasientene.
- Sannsynlig økt livskvalitet ved bruk av Givlaari
- Varighet av behandlingen (sanns. ikke behov for livslang behandling)
- Problemer og kostnader knyttet til høyt forbruk av smertestillende og andre kroniske symptomer

