

Midlertidig behandlingsprotokoll Orkambi

Norsk senter for Cystisk Fibrose

Den midlertidige behandlingsprotokollen er kortfattet og bakgrunnsinformasjon vedr. Cystisk Fibrose og medikamentet er utelatt. Det vises til produktinformasjon fra Vertex pharmaceuticals, felleskatalogen og Orkambistudiene for detaljer vedr. medikamentelle interaksjoner, forsiktighetsregler etc. Behandlingsprotokollen er midlertidig, da man allerede arbeider med å samstemme de skandinaviske behandlingsprotokollene for Orkambi. Resultater av dette arbeidet forventes innen utgangen av 2016.

Den midlertidige behandlingsprotokollen er basert på produktinformasjon fra Vertex (1), Orkambistudien (2), felleskatalogteksten, HELFO sine retningslinjer for individuell refusjon (se HELFOS nettsider) og den danske behandlingsprotokollen (oversatt til norsk av Dr. Bakkeheim).

(1) http://pi.vrtx.com/files/uspi_lumacaftor_ivacaftor.pdf

(2) Wainwright CE et al. N Engl J Med 2015;373:220-231

11/5-2016

Audun Os

Lege, Norsk senter for Cystisk Fibrose

Indikasjon for behandling med Orkambi

Inklusjon:

- Cystisk fibrose hos pasienter >12 år som er homozygote for F508del-mutasjonen i CFTR-genet (tekst fra Felleskatalogen per mai -16).

Eksklusjon:

- Lungetransplantasjon
- Pasienter >18 år med meget mild lungesykdom (dvs FEV1 > 90 %, uten kronisk infeksjon og med minimalt behov for behandling (f.eks. kun orale kurer, ingen innleggelser, ingen eksaserbasjoner)
- Pasienter med kjent alvorlig non-compliance
- Pasienter med alvorlig nedsatt leverfunksjon (Child-Pugh Class C)
- Graviditet, fertilitetsbehandling og amming
- Behandling med ciclosporin, tacrolimus, everolimus og serolimus (f.eks. levertransplanterte)
- Alvorlig nyreinsuffisiens (kreatinin-clearance < 30 ml/min)

Individuell refusjon: (HELFO sine vilkår per mai -16, <https://helfo.no/viktige-meldinger/retningslinjer-for-individuell-stonad-til-orkambi-ved-cystisk-fibrose>)

- Krav til sykdommens alvorlighetsgrad er strengere enn de generelle retningslinjene for individuell stønad etter § 3a i folketrygdløven.
- Det er kun spesialist i barne- eller lungesykdommer med særskilt kompetanse på cystisk fibrose som kan søke om individuell stønad til Orkambi (lumakaftor og ivakaftor). Søknaden skal sendes til Helfo.
- Vilkår som må være oppfylt for å få stønad: Pasienten må være 12 år eller eldre. Det skal foreligge positiv gentest for homozygot Phe508del CFTR-mutasjon i to separate prøver foretatt i 2015 eller senere. Pasienten skal ha hatt en signifikant forverring i lungesykdommen eller betydelig økning i komplikasjoner de siste 12 måneder tross optimal medikamentell og ikke-medikamentell behandling. Legen må bekrefte at pasienten har forpliktet seg til å følge behandlingsprotokoll som utarbeides av det medisinske fagmiljøet. Legen må bekrefte at ikke-medikamentelle tiltak er forsøkt. Preparatet skal brukes som tilleggsbehandling til relevante forhåndsgodkjente legemidler ved aktuell refusjonskode Minst ett forhåndsgodkjent slimløsende legemiddel (ATC-kode R05CB) og antibiotika (ATC-gruppe J01) skal være forsøkt. Dette må dokumenteres i søknaden.
- Søknaden til Helfo må også inneholde: Redegjørelse for hvorfor forhåndsgodkjent legemiddelbehandling ikke lenger er tilstrekkelig. Opplysninger om hvilken tilleggsbehandling som gis mot cystisk fibrose. Kontaktopplysninger til deg som søker. Helfo trenger din postadresse og telefonnummer for å kontakte deg hvis vi trenger tilleggsopplysninger til søknaden og for at vi kan sende deg en kopi av vedtaket hvis pasienten har gitt samtykke til det.
- Helfos vedtak om stønad tidsbegrenses til ett år fra søknadsdato.

Behandlingsmål

Det forventes at pasientene får:

1. Stabilisering (ev. stigning) i FEV1 eller redusert hastighet i FEV1-fall
2. Stabilisering ev. stigning av vekt
3. Færre innleggelsesdager
4. Færre antibiotika-kurer og/eller mindre intensive kurer
5. Stigning i CFQR-respiratory domain

Behandlingsevaluering etter 6 og 12 måneder

- A. Oppfylles punkt 1 samt to av punktene 2-5 fortsetter behandling
- B. Oppfylles punkt 1 ikke, skal tre av punktene 2-5 oppfylles for at behandling fortsettes

Oppfylles hverken A eller B skal pasienten tas oppi et felles møte med leger ved Norsk senter for cystisk fibrose (NSCF)

Indikasjoner for opphør av behandling

- Alvorlige bivirkninger
- Behov for behandling med immunsuppresiva som grunnet interaksjoner ikke kan benyttes samtidig med Orkambi (f.eks ved transplantasjoner)
- Ønske om graviditet (behandling kan startes opp igjen etter avsluttet amming)
- Non-compliance – både i forhold til behandling og fremmøte til kontroller
- Ved manglende effekt jf ovenstående behandlingsmål skal seponering av medikamentet vurderes i felles møte med leger ved Norsk senter for cystisk fibrose (NSCF)

Hvis behandling stoppes monitoreres målene fortsatt med henblikk på vurdering av eventuell forverring etter seponering

Skjematisk foreløpig protokoll for oppstart og oppfølging ved behandling med Orkambi

Tidspunkt	Tiltak
Før og ved oppstart	<ul style="list-style-type: none"> - To positive gentester fra 2015 eller senere - Klinisk undersøkelse - Kartlegge symptomer, innleggelser, antibiotikabruk siste 12(24)mnd. - CFQR spørreskjema - Høyde, vekt, BMI - EKG siste 6 mnd. - Ekspektoratprøve - Spirometri - FeNO - Ny svettetest - Års-blodprøver inkl. ASAT, ALAT, Bilirubin, CK, kreatinin, albumin, fastende blodsukker, HbA1c - Vurdere gjentatt billeddiagnostikk (HRCT thorax og UL lever siste12 mnd.) - Optimalisering av medikamentell behandling - Sjekke kunnskap om medikamentell behandling/fysioterapiøvelser - Sjekke ev. interaksjoner (inkl. helsekostpreparater) - Oftalmologisk undersøkelse hos pediatriske pasienter (Ev. Multiple-Breath washout: MBW) - Søke om individuell refusjon hos HELFO (se spesialistkrav) - Utstede resept med varighet til neste konsultasjon
Første år	<ul style="list-style-type: none"> - Legekonsultasjon etter 1 mnd., deretter minst hver 3. mnd. - Gjentatt svettetest innen 3 mnd. etter oppstart - Høyde, vekt, BMI - CFQR spørreskjema - FeNO etter 1 mnd - ASAT, ALAT, Bilirubin, CK senest hver 3. mnd. (tidligere transaminasestigning = hyppigere kontroller) - Spirometri ved hver konsultasjon - Ekspektoratprøver ved hver konsultasjon - Kartlegge antibiotikabruk og innleggelser ved hver konsultasjon - Gjennomgang av medikamentliste, vurdere compliance - Sjekke ev. interaksjoner (inkl. helsekostpreparater) - Resept med varighet til neste konsultasjon - Oftalmologisk oppfølgingsundersøkelse hos pediatriske pasienter - Vurdere gjentatt HRCT thorax etter 1. år - Behandlingsevaluering etter 6 og 12 måneder - (Ev. Multiple-Breath washout: MBW)
Senere	<ul style="list-style-type: none"> - Ordinært årlig oppfølgingsregime (årskontroller) inkl. årlige leverprøver - Vurder Oftalmologisk undersøkelse hos pediatriske pasienter - Resept med varighet til neste konsultasjon - HRCT thorax hvert 2. år - Vurdere behov for UL lever/abdomen - (Multiple-Breath washout: MBW)

Sjekkliste i forbindelse med oppstart med Orkambi

Tiltak	Signatur
Genetikk gjennomført 2 x bekrefter homozygot F508del status fra 2015 eller senere.	OK:
Fyller pasienten kravene iht. HELFO sine aktuelle vilkår for individuell refusjon?	OK:
Foreligger ny svettetest?	OK:
Kartlegge symptomer, innleggelser, antibiotikabruk	OK:
Høyde, vekt, BMI kartlagt?	OK:
EKG siste 6 mnd?	OK:
Blodprøver tatt?	OK:
HRCT thorax og UL lever siste 12 mnd.?	OK:
Aktuell Spirometri? FeNO? (MBW?)	OK:
Medikamentelle interaksjoner (OBS helsekost, Johannesurt)	OK:
Repetert informasjon om medikamentell behandling og slimmobilisering?	OK:
Optimalisert medikamentell behandling? (husk krav til at pasienten skal ha forsøkt medikament i ATC R05CB: Pulmozyme, Mucomyst, ..)	OK:
Oftalmologisk undersøkelse (pediatriske pasienter)	OK:
Utstede resept med varighet til neste konsultasjon	OK:
Refusjonssøknad HELFO (kopi til pasienten)	OK: