

LANDSTINGEN REKOMMENDERAS ANVÄNDA JINARC® – DET FÖRSTA LÄKEMEDLET MOT DEN VANLIGASTE ÄRFTLIGA NJURSJUKDOMEN

- **NT-rådet rekommenderar landstingen att använda JINARC®**
- **JINARC® är det första specifika läkemedlet mot ADPKD, som också kallas cystnjurar och är den vanligaste ärftliga njursjukdomen.**
- **Barn till en person med ADPKD löper 50% risk att ärva sjukdomen.**
- **Beslutet från NT-rådet är en vägledande rekommendation för samtliga landsting och möjliggör ett jämlikt användande av JINARC® i hela Sverige.**

STOCKHOLM 31 mars 2017

– JINARC® utgör ett medicinskt genombrott i behandlingen av cystnjurar eftersom det är det första läkemedlet som kan påverka sjukdomsförloppet, tidigare har det bara varit möjligt att behandla symptomen som cystnjurar ger upphov till. JINARC® bromsar utvecklingen av cystorna i njuren och på så vis kan patientens njurfunktion bevaras under längre tid, säger Viktoria Sjöblom, nordisk medicinsk rådgivare på Otsuka.

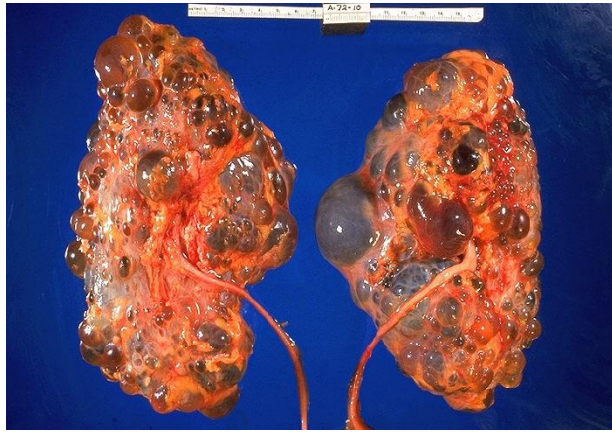
ADPKD (Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease) är en ärftlig, progressiv och kronisk sjukdom som ger cysttillväxt i njurarna. Cystorna leder till en ökad njurvolym och resulterar i komplikationer så som akut och kronisk smärta, högt blodtryck och njursvikt. Sjukdomen fortskrider olika snabbt hos olika individer, många behöver till slut dialys eller transplantation för att överleva. JINARC® (tolvaptan) godkändes av den europeiska kommissionen 2015.

För vilka passar behandling med JINARC®?

Behandlingen är avsedd till patienter med normal till måttligt nedsatt njurfunktion som har tecken på ett snabbt sjukdomsförlopp.

NT-rådet rekommenderar landstingen att behandling med JINARC® initieras till patienter med tecken på snabbt sjukdomsförlopp och när den kroniska njursjukdomen är i stadium 2 eller 3.

– I treårsstudien TEMPO 3:4 har det konstaterats att läkemedlet bromsar försämringstakten av njurfunktionen och minskar ökningen av njurvolymen. Läkemedlet innehåller en aktiv substans som blockerar effekten av vasopressin, ett hormon som är involverat i bildandet av cystor och produktion av vätska i njurarna. Genom att blockera effekten av vasopressin bromsas utvecklingen av cystor och sjukdomssymtomen minskar, säger docent Britta Hylander, överläkare vid Njurmedicinska kliniken, Karolinska universitetssjukhuset, Solna.



En frisk njure är stor som en knytnäve och väger 150 gram. Cystnjurar kan väga flera kilo och fylla upp en stor del av magen. Den tidigare släta, friska ytan på njurarna på bilden är nästan helt ersatt av cystor.

FAKTA

- ADPKD (Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease) kallas ofta cystnjurar och är den vanligaste ärftliga njursjukdomen. Barn till en person med ADPKD löper 50 % risk att ärva sjukdomen.
- Uppskattningsvis har 3 500 personer ADPKD i Sverige.
- ADPKD är den tredje vanligaste orsaken till terminal njursvikt hos vuxna i Sverige, och svarar för ungefär 10 % av de patienter som har så svår njursjukdom att de behöver dialys eller njurtransplantation för att överleva.
- Sjukdomsförloppet är olika snabbt hos olika individer med ADPKD
- Tecken på snabbt sjukdomsförloppet är: högt blodtryck eller andra symtom i tidig ålder, familjehistorik med tidig dialys eller transplantation, försämring av njurfunktion i tidig ålder eller stor njurvolym i förhållande till ålder.
- JINARC® (tolvaptan) godkändes av den europeiska kommissionen i maj 2015 med indikationen att bromsa utvecklingen av cystbildning och njursvikt hos vuxna med evidens för snabbt sjukdomsförlopp. Behandling initieras i CKD-stadium 1-3.
- TEMPO 3:4 studien, en klinisk fas III-studie med patienter med ADPKD visade att nedgången i njurfunktion minskade med 30% hos patienter som behandlades med JINARC® jämfört med de som behandlades med placebo. Den årliga ökningen av njurvolymen minskade hos patienter som behandlades med JINARC® och dom upplevde även mindre smärta jämfört med patienter som fick placebo.
- Mer information om ADPKD finns på: www.cystnjurar.se
- NT-rådet har landstingsmandat att avge rekommendationer om förhållningssätt till nya läkemedelsterapier å samtliga landets landstings vägnar.
- NT-rådet beslutar om rekommendationer på samma medicinska grund och etiska plattform som Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV).
- NT-rådets rekommendation in sin helhet finns på: www.janusinfo.se

TEMPO 3:4 är den största kliniska studien inom ADPKD. Den Europeiska kommissionen godkände JINARC® i maj 2015 och baserade beslutet på data från studien TEMPO 3:4, den största kliniska studien inom ADPKD som hittills utförts. TEMPO 3:4 är en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad fas III studie. I studien, som pågick i tre år, nådde JINARC® det primära effektmåttet och visade att den årliga ökningen av total njurvolym (TKV, Total Kidney Volume) sänktes till nästan hälften (-49 %) hos patienter som fått JINARC® jämfört med patienter som fått placebo ($p < 0,001$). Studien visade även att JINARC® signifikant minskade försämringen av njurfunktionen, 30 % vs placebo ($p < 0,001$). Förekomsten av biverkningar hos patienterna som fick JINARC® var jämförbara med dem som observerats i patientgruppen som fått placebo. Det var färre oönskade händelser som kunde kopplas till ADPKD i gruppen som fick JINARC® men fler biverkningar relaterade till produktens verkningsmekanism (t ex törst och ökad urinmängd). 4.4% av patienterna som fick JINARC® och 1.0% av de som fick placebo fick förhöjning av levervärdet alaninaminotransferas (ALAT). Två (2/957, 0,2 %) av dessa patienter, liksom en tredje patient från den öppna uppföljningen av studien, uppvisade signifikant höjning av ALAT med samtidiga höjningar av totalt bilirubin (TB). Dessa samtidiga höjningar var reversibla vid snabb utsättning av JINARC®. Då dessa höjningar innebär att en allvarlig leverskada kan uppstå, kommer patienter som behandlas med JINARC® följas upp med månatliga blodprover under de första 18 månaderna av behandlingen och därefter var tredje månad. JINARC® måste sättas in och övervakas under ledning av läkare med specialkunskap om ADPKD och som har fullständig kännedom om riskerna med behandlingen och övervakningskrav.

För mer information:

Viktoria Sjöblom, medicinsk rådgivare Otsuka, 070-372 36 31

Britta Hylander, docent Karolinska universitetssjukhuset, 070-723 10 60

Otsuka Pharmaceutical är ett globalt företag med filosofin: "*Otsuka - people creating new products for better health worldwide*". Vi arbetar med innovativa läkemedel och medicintekniska produkter, framför allt inom våra kärnområden CNS, endokrinologi, nefrologi, gastroenterologi och onkologi. Otsuka forskar, utvecklar, tillverkar och marknadsför innovativa originalprodukter med fokus på läkemedel för att behandla sjukdomar, och näringsprodukter för den dagliga hälsan. Inom läkemedelsområdet är Otsuka ledande inom psykisk hälsa, och har även forskningsprogram riktade mot flera sjukdomar i behov av bättre behandling, däribland tuberkulos som utgör ett signifikant globalt folkhälsoproblem. Otsuka Group har ungefär 45 000 anställda över hela världen, och företagets produkter finns tillgängliga i 80 länder. Otsuka grundades i Japan 1921. Otsuka Pharmaceutical i Europa har ungefär 600 anställda. **Otsuka Pharma Scandinavia AB** grundades i Stockholm år 2001 och har verksamhet i samtliga nordiska länder.

Referenser:

NT-rådets yttrande angående JINARC® Mars 2017 www.janusinfo.se

JINARC® (tolvaptan) summary of product characteristics 2015 <http://www.ema-europa.eu/>

Gansevoort RT, Arici M, Benzing T, Birn H, Capasso GB, Covic A, Devuyst O et al. NDT. 2016;31(3):337-48.

Torres VE, Harris PC et al. Tolvaptan in patients with autosomal dominant polycystic kidney disease. The New England Journal of Medicine. 2012;367 (25): 2407-2418

Takiar V, Caplan MJ. Polycystic kidney disease: pathogenesis and potential therapies. Biochimica et Biophysica Acta. 2011;1812(10):1337-43

Neumann H, Jilg C et al. Epidemiology of autosomal-dominant polycystic kidney disease: an in-depth clinical study for south-western Germany. NDT 2013;28:1472-1487

Patch C, Charlton J et al. Use of antihypertensive medications and mortality of patients with autosomal dominant polycystic kidney disease: a population-based study. American Journal of Kidney Disease. 2011;57(6):856-862

Patel V, Chowdhury R et al. Advances in the pathogenesis and treatment of polycystic kidney disease. Current Opinion in Nephrology and Hypertension. 2009;18:99-106

Alam A, Perrone RD. Management of ESRD in Patients With Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease. Advances in Chronic Kidney Disease. Vol 17, No 2. March 2010: pp 164-172.

Masoumi A, Reed-Gitomer B et al. Developments in the Management of Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease. Therapeutics and Clinical Risk Management. 2008;4(2):393–407

Thong KM, Ong ACM. The natural history of autosomal dominant polycystic kidney disease: 30-year experience from a single centre. QJM. 2013;2-8

Grantham JJ, Chapman AB et al. Volume progression in Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease: The Major Factor Determining Clinical Outcomes. Clinical Journal of the American Society of Nephrology. 2006;1:148-157

Christophe JL, van Ypersele de Strihou C et al. Complications of autosomal dominant polycystic kidney disease in 50 haemodialysed patients. A case-control study. NDT. 1996;11(7):1271-1276

Rizk D, Jurkovitz C et al. Quality of life in Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease patients not yet on dialysis. Clinical Journal of the American Society of Nephrology. 2009;4:560-6



Perlman RL, Finkelstein FO et al. Quality of life in chronic kidney disease (CKD): a cross-sectional analysis in the Renal Research Institute-CKD study. *American Journal of Kidney Diseases*. 2005;45:658-66

Reif GA, Yamaguchi T et al. Tolvaptan inhibits ERK-dependent cell proliferation, Cl⁻ secretion, and in vitro cyst growth of human ADPKD cells stimulated by vasopressin. *American Journal of Physiology - Renal Physiology*. 2011;301(5):F1005-F1013