

Regional samverkansgrupp läkemedel,
Sydöstra Sjukvårdsregionen

2023-03-17

Givlaari (givosiran) för behandling av akut hepatisk porfyri (AHP) hos vuxna och ungdomar från 12 års ålder – endast vid rekommendation från Porfyricentrum, Karolinska institutet

Denna rekommendation gäller Sydöstra sjukvårdsregionen (Region Jönköpings län, Region Kalmar län och Region Östergötland).

RPO Mag- och tarmsjukdomar rekommenderar att patienter med AHP remitteras till Porfyricentrum, Karolinska institutet för bedömning av behandling.

Kostnad

1 ml (189 mg) kostar 490 264,25 kr

Dosering är 2.5 mg per kg kroppsvikt

Givlaari (givosiran) är endast subventionerat till patienter som haft minst fyra sjukdomsrelaterade attacker som krävt sjukhusinläggning de senaste 12 månaderna.

Nationellt prisavtal finns för förskrivning på recept.

Antal patienter

Mycket litet antal patienter. I dagsläget ingen patient inom Sydöstra sjukvårdsregionen.

Bakgrund

Givosiran är en liten interfererande som orsakar nedbrytning av aminolevulinsyrasyntas 1 budbärar-RNA i hepatocyter genom RNA-interferens, vilket leder till en reduktion av inducerat lever-ALAS1 mRNA jämfört med normalt. Detta leder till minskade nivåer av cirkulerande neurotoxiskt aminolevulinsyra (ALA) och porfobilinogen (PBG) som är de viktigaste faktorerna som orsakar attacker och andra sjukdomsmanifestationer av AHP.