

Opsummering af Medicinrådets evidensgennemgang for hæmofili B

– Evidensbaseret valg af faktor IX-præparater

Beh



Om Medicinrådet

Medicinrådet er et uafhængigt råd etableret af Danske Regioner. Medicinrådet udarbejder blandt andet fælles regionale behandlingsvejledninger, som giver en sundhedsfaglig vurdering af de lægemidler, der er sammenlignet inden for et sygdomsområde. Medicinrådet består af tre enheder, som i forbindelse med udarbejdelse af behandlingsvejledninger har følgende opgaver:

- Rådet indstiller udarbejdelse af og godkender behandlingsvejledninger.
- Sekretariatet er overordnet metodeansvarlig og betjener de forskellige fagudvalg og Rådet.
- Fagudvalgene består blandt andet af læger, farmakologer og patienter, som bidrager til vurderingen af sygdomsområdet.

Om behandlingsvejledninger

Behandlingsvejledningerne indeholder vurderinger af, hvilke lægemidler der er mest hensigtsmæssige at behandle patienter med inden for et sygdomsområde. Det vil almindeligvis inkludere en vurdering af:

- hvilke lægemidler der kan anses for at være ligestillede, dvs. lige gode til den relevante patientgruppe
- hvilke patienter der kan behandles med lægemidlerne
- hvilke kriterier der er for opstart af behandling
- hvilke kriterier der er for skift af behandling, herunder skift af lægemiddel hos patienter, der allerede er i behandling
- hvilke kriterier der er for stop af behandling.

Behandlingsvejledningerne danner dermed grundlag for ensartet høj kvalitet for behandling af patienter på tværs af sygehuse og regioner. Behandlingsvejledningerne angiver kliniske rækkefølger af de inkluderede lægemidler på baggrund af en redegørelse for evidensen for klinisk effekt og sikkerhed.

Medicinrådets behandlingsvejledning omfatter følgende dokumenter: Opsummering, evidensgennemgang, lægemiddelrekommandation og eventuelt en omkostningsanalyse.

I *Medicinrådets opsummering* (dette dokument) præsenteres hovedresultatet af den senest opdaterede evidensgennemgang. Desuden indgår det kliniske sammenligningsgrundlag, der viser dosis og behandlingsperiode for de ligestillede

©Medicinrådet, 2023
Publikationen kan frit refereres
med tydelig kildeangivelse.

Sprog: dansk
Format: pdf
Udgivet af Medicinrådet, 23. november 2023



lægemidler. Dette danner sammen med en eventuel *omkostningsanalyse* baggrund for Medicinrådets *lægemiddelrekommandation* til regionerne.

I *Medicinrådets evidensgennemgang* er datagrundlaget og analyserne nærmere beskrevet. Medicinrådet tager i analyserne udgangspunkt i en protokol, der er godkendt af Rådet tidligere. I evidensgennemgangen tager Medicinrådet blandt andet stilling til, om der er klinisk betydnende forskelle mellem lægemidlerne, eller om to eller flere af disse kan ligestilles.

For yderligere information se *Metodehåndbog for Medicinrådets vurdering af flere lægemidler inden for samme terapiområde*. Du finder denne på Medicinrådets hjemmeside.

Dokumentoplysninger

Godkendelsesdato 22. november 2023

Ikrafttrædelsesdato 22. november 2023

Dokumentnummer 184112

Versionsnummer 1.1



Opsummering af Medicinrådets evidensgennemgang

Formål og behandling

Formålet med at udarbejde en fælles regional behandlingsvejledning for hæmofili B er at give evidensbaserede anbefalinger for valg af faktor IX-præparat til patienter med hæmofili B, herunder muligheder for skift af præparat.

Behandlingen af hæmofili B omfatter infusion af rekombinant koagulationsfaktor IX (rFIX) profylaktisk eller on-demand, hvor patienten tager faktormedicin ved behov, når der opstår symptomer på en blødning. Patienter med svær hæmofili tilbydes profylaktisk hjemmebehandling før eller på tidspunktet for den første ledblødning og fortsætter livslangt. Behandlingsmålet er at undgå ledblødninger og deraf svære ledforandringer, kroniske smerter og invaliditet samt undgå livstruende blødning.

Medicinrådets anbefaling for valg af faktor IX til hæmofili B

Behandlingsvejledningen omfatter valg af rekombinant faktor IX-præparat (rFIX).

1. Klinisk betydnende forskelle mellem rFIX anvendt som profylakse

Patienter, der påbegynder profylakse.

Anbefaling	rFIX	Dosis (IE/kg)	Interval	Ugentlig dosis
Anvend	Albutrepenonacog alfa (Idelvion)	35 IE/kg	7 dage	35 IE/kg
	Eftrenonacog alfa (Alprolix)	50 IE/kg	7 dage	50 IE/kg
	Nonacog alfa (BeneFix)	40 IE/kg	3,5 dage	80 IE/kg
	Nonacog beta pegol (Refixia)	40 IE/kg	7 dage	40 IE/kg

Patienter, der er i profylakse med standard rFIX, hvor der er lægefaglig indikation for at skifte til et rFIX med forlænget halveringstid.

Anbefaling	rFIX med forlænget halveringstid	Dosis (IE/kg)	Interval	Ugentlig dosis
Anvend	Albutrepenonacog alfa (Idelvion)	35 IE/kg	7 dage	35 IE/kg
	Eftrenonacog alfa (Alprolix)	50 IE/kg	7 dage	50 IE/kg
	Nonacog beta pegol (Refixia)	40 IE/kg	7 dage	40 IE/kg



Patienter, der er i profylakse, hvor der er lægefaglig indikation for at skifte til et rFIX med høj dalværdi.

Anbefaling	rFIX med høj dalværdi	Dosis (IE/kg)	Interval	Ugentlig dosis
Anvend	Albutrepenonacog alfa (Idelvion)	35 IE/kg	7 dage	35 IE/kg
	Nonacog beta pegol (Refixia)	40 IE/kg	7 dage	40 IE/kg

2. Skift af rFIX-præparat hos patienter i profylakse

MEDICINRÅDETS ANBEFALING:

- Skift på lægefaglig indikation fra standard rFIX til et rFIX med forlænget halveringstid, hvis patienten har:
 1. Vanskelig veneadgang.
 2. Vanskeligt ved at gennemføre sufficient profylakse med et standard rFIX.
- Skift på lægefaglig indikation fra standard rFIX eller eftrenonacog alfa (Alprolix) til albutrepenonacog alfa (Idelvion) eller nonacog beta pegol (Refixia), hvis patienten har behov for høj dalværdi pga. høj blødningsrisiko og/eller har gennembrudsblødninger på den eksisterende profylakse.

3. On-demandbehandling

Patienter i on-demandbehandling med standard rFIX, hvor der er fortsat indikation for on-demandbehandling.

Anbefaling	Standard rFIX	Sammenligningsgrundlag (IE/kg)
Anvend som 1. valg	Nonacog alfa (BeneFix)	1 IE/kg

- Overvej et rFIX med forlænget halveringstid hos patienter med moderat hæmofili, der har flere blødninger per år, men ikke er kandidat til eller ønsker profylaktisk behandling.



Fagudvalgets øvrige overvejelser

Skift af profylakse på lægefaglig indikation

Ved skift fra standard FIX til rFIX med forlænget halveringstid på lægefaglig indikation finder fagudvalget, at fordelene ved at skifte til en bedre behandling overstiger ulemperne. Fagudvalget vurderer, at det længere dosisinterval for rFIX med en forlænget halveringstid er en fordel hos:

- Patienter med vanskelig veneadgang (herunder børn og unge), da lavere infusionshyppighed giver lavere risiko for komplikationer.
- Patienter, som har vanskeligt ved at gennemføre sufficient profylakse med standard rFIX.

Skift af profylakse på ikke-lægefaglig indikation

Et skift indebærer ekstra sygehusbesøg til oplæring af patienten i anvendelse af et nyt device og evt. nye rutiner i forbindelse med dosering samt kontrol/blodprøver. Ved skift alene på baggrund af pris bør besparelsen som minimum opveje ulemperne og omkostningerne (oplæring, ekstra ambulante besøg, blodprøver mv.).

Da de tre rFIX med forlænget halveringstid ikke er sammenlignelige med hensyn til dalværdi, finder fagudvalget det ikke forsvarligt at skifte til et rFIX med lavere dalværdi hos en velbehandlet patient.

Da dosering af rFIX med forlænget halveringstid er meget forskellig fra standard FIX med hensyn til både dosis, doseringsinterval og dalværdi, finder fagudvalget det ikke forsvarligt at skifte fra rFIX med forlænget halveringstid tilbage til standard rFIX.

Skift af on-demandbehandling

I praksis anbefaler fagudvalget, at patienter i on-demandbehandling skifter præparat, når de har opbrugt deres eksisterende beholdning af faktorpræparat, så spild minimeres mest muligt.

De patienter, der har det laveste forbrug, bør være på det standard FIX, der har længst holdbarhed, og ikke skifte til et standard FIX med kortere holdbarhed. De patienter, der har det højeste forbrug, kan have gavn af FIX med forlænget halveringstid.



Sammensætning af fagudvalg og kontaktinformation til Medicinrådet

Se Medicinrådets gennemgang af terapiområdet for hæmofili B.



Versionslog

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.1	22. november 2023	Patientpopulationerne opdeles ikke længere i PUP og PTP. Refixia er nu godkendt til børn under 12 år.
1.0	12. december 2018	Godkendt af Medicinrådet.

Medicinrådets sekretariat

Medicinrådet Dampfærgevej 21-23, 3. sal
2100 København Ø

+ 45 70 10 36 00

medicinraadet@medicinraadet.dk

www.medicinraadet.dk