

Medicinrådets lægemiddelrekommandation og behandlingsvejledning for hæmofili B

- Evidensbaseret valg af faktor IX-præparater

Om Medicinrådet:

Medicinrådet er et uafhængigt råd, som udarbejder anbefalinger og vejledninger om lægemidler til de fem regioner.

Medicinrådet vurderer, om nye lægemidler og nye indikationer kan anbefales som standardbehandling og udarbejder fælles regionale behandlingsvejledninger.

Nye lægemidler vurderes i forhold til effekt, eksisterende behandling og pris. Det skal give lavere priser og lægemidler, der er til størst mulig gavn for patienterne.

De regionale behandlingsvejledninger er vurderinger af, hvilke lægemidler der er mest hensigtsmæssige til behandling af patienter inden for et terapiområde og dermed grundlag for ensartet høj kvalitet for patienterne på tværs af sygehuse og regioner.

Dokumentoplysninger

Godkendelsesdato	12. december 2018
Ikrafttrædelsesdato	1. april 2019
Dokumentnummer	34834
Versionsnummer	1.0

© Medicinrådet, 2018. Publikationen kan frit refereres med tydelig kildeangivelse.

Medicinrådet, Dampfærgevej 27-29, 3. th., 2100 København Ø

www.medicinraadet.dk

Sprog: dansk

Format: pdf

Udgivet af Medicinrådet, 12. december 2018

Medicinrådets lægemiddelrekommandation vedrørende faktor IX-præparater til hæmofili B

Formål

Denne lægemiddelrekommandation er Medicinrådets anbefaling til regionerne om, hvilke specifikke lægemidler der er mest hensigtsmæssige at anvende til behandling af patienter inden for terapiområdet hæmofili B.

De klinisk ligestillede lægemidler er her prioriteret ud fra deres lægemiddelpriser, da fagudvalget tidligere har vurderet, at de lægemiddelrelaterede omkostninger ikke varierer imellem præparaterne.

Patienter, som ikke tidligere har været behandlet (PUP)

For nye patienter, som ikke tidligere har været behandlet med FIX (PUP), anbefaler Medicinrådet at anvende nonacog alfa (BeneFix), som er det eneste godkendte præparat til PUP.

Prioriteret anvendelse	Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Ugentlig dosis
Anvend som 1. valg til alle PUP	BeneFix (nonacog alfa)	80 IE/kg

Tidligere behandlede patienter (PTP)

Profylakse

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

Medicinrådet har vurderet, at profylakse med følgende standard rFIX er klinisk ligeværdige valg til tidligere behandlede patienter (PTP), hvor der IKKE er lægefaglig indikation for at skifte til et rFIX med forlænget halveringstid.

Da samtlige patienter allerede er i profylakse med 1. valgspræparatet, er der ingen, som skal skifte præparat, med mindre der er lægefaglig indikation for skift (se anbefaling for skift på lægefaglig indikation).

Prioriteret anvendelse	Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Ugentlig dosis
Anvend som 1. valg	BeneFix (nonacog alfa)	80 IE/kg (40 IE/gk x 2)
2. valg	Rixubis* (nonacog gamma)	80 IE/kg (40 IE/gk x 2)

*Ingen tilbud – AIP pr. 28.11.2018

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

Medicinrådet har vurderet, at profylakse med følgende rFIX med forlænget halveringstid er klinisk ligeværdige valg til patienter, hvor der er lægefaglig indikation for at skifte fra et standard rFIX til et rFIX med forlænget halveringstid.

Det betyder, at patienter over 12 år, som har vanskelig veneadgang eller vanskeligt ved at gennemføre sufficient profylakse med et standard rFIX, skal tilbydes behandling med 1. valgspræparatet (Refixia). Er patienten under 12 år tilbydes behandling med 2. valgspræparatet (Alprolix).

Prioriteret anvendelse	Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Ugentlig dosis
Anvend som 1. valg	Refixia (nonacog beta pegol)*	40 IE/kg
2. valg	Alprolix (eftrenonacog alfa)	50 IE/kg
3. valg	Idelvion (albutrepenonacog alfa)	35 IE/kg

* Kun børn og voksne > 12 år

PTP i profylakse med standard rFIX eller rFIX med forlænget halveringstid, hvor der er lægefaglig indikation for at skifte til et rFIX med høj dalværdi

Medicinrådet har vurderet, at profylakse med følgende rFIX med forlænget halveringstid er klinisk ligeværdige valg til patienter, hvor der er lægefaglig indikation for at skifte til et rFIX med høj dalværdi.

Det betyder, at patienter over 12 år, som enten har behov for høj dalværdi pga. høj blødningsrisiko og/eller har gennembrudsblødninger på den eksisterende profylakse, skal tilbydes behandling med 1. valgspræparatet (Refixia). Er patienten under 12 år tilbydes behandling med 2. valgspræparatet (Idelvion).

Prioriteret anvendelse	Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Ugentlig dosis
Anvend som 1. valg	Refixia (nonacog beta pegol)*	40 IE/kg
2. valg	Idelvion (albutrepenonacog alfa)	35 IE/kg

* Kun børn og voksne > 12 år

On-demandbehandling

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

Medicinrådet har vurderet, at behandling on-demand med følgende standard rFIX er klinisk ligeværdige valg til tidligere behandlede patienter (PTP), hvor der ikke er indikation for profylaktisk behandling.

Da samtlige patienter i forvejen behandles med 1. valgspræparatet, er der ingen, som skal skifte præparat.

Prioriteret anvendelse	Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Ugentlig dosis
Anvend som 1. valg	BeneFix (nonacog alfa)	1 IE/kg
2. valg	Rixubis* (nonacog gamma)	1 IE/kg

*Ingen tilbud – AIP pr. 28.11.2018

Patienter med moderat hæmofili, der har flere blødninger per år, men ikke er kandidat til eller ønsker profylaktisk behandling, kan man overveje at skifte til et rFIX med forlænget halveringstid.

Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende faktor IX-præparater til hæmofili B

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 vedrørende valg af faktor IX til hæmofili B

Behandlingsvejledningen omfatter valg af rekombinant faktor IX-præparat (rFIX) til tidligere behandlede patienter (PTP).

For nye patienter, som ikke tidligere har været behandlet med FIX (PUP), anbefaler Medicinrådet at anvende nonacog alfa (BeneFix), som er det eneste godkendte præparat til PUP.

Patienter, som ikke tidligere har været behandlet med rFIX (PUP): <ul style="list-style-type: none"> Anvend nonacog alfa (BeneFix), som er det eneste godkendte præparat til PUP.
--

1. Klinisk betydnende forskelle mellem rFIX anvendt som profylakse

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

Anbefaling	Standard rFIX	Dosis (IE/kg)	Interval	Ugentlig dosis
Anvend	Nonacog alfa (BeneFix)	40 IE/kg	3,5 dage	80 IE/kg
	Nonacog gamma (Rixubis)	40 IE/kg	3,5 dage	80 IE/kg

PTP 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

* Kun børn og voksne > 12 år

PTP i profylakse med standard rFIX eller rFIX med forlænget halveringstid, 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

* Kun børn og voksne > 12 år

2. Skift af rFIX-præparat hos patienter i profylakse

Medicinrådets anbefaling:

- Skift fra standard rFIX til et standard rFIX med lavere pris, såfremt besparelsen som minimum opvejer de behandlingsrelaterede omkostninger for patient og sygehus.
- 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	Nonacog alfa (BeneFix)	1 IE/kg
	Nonacog gamma (Rixubis)	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 doseres forskelligt og ikke er sammenlignelige enhed til enhed eller med hensyn til doseringsinterval og dalværdi, finder fagudvalget det ikke forsvarligt at skifte mellem disse hos en velbehandlet patient.

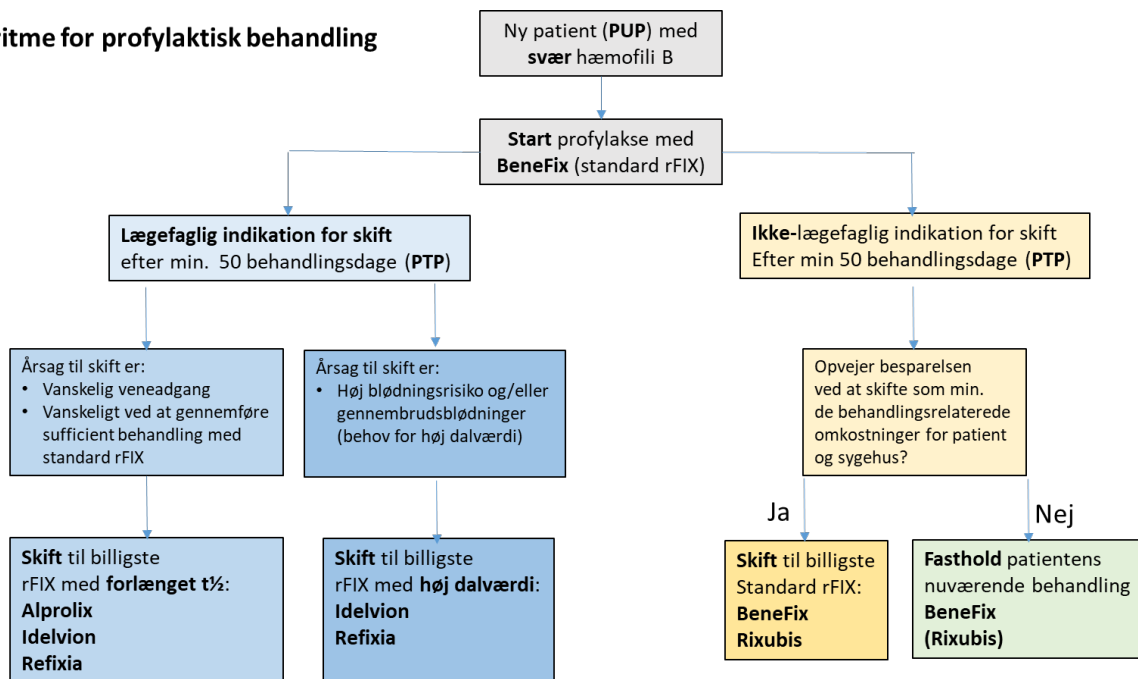
Da dosering af rFIX med forlænget halveringstid er meget forskellig fra standard FIX med hensyn til både dosis, doseringsinterval og dalværdi, finder fagudvalget det ikke forsvarligt at skifte fra rFIX med forlænget halveringstid tilbage til standard rFIX.

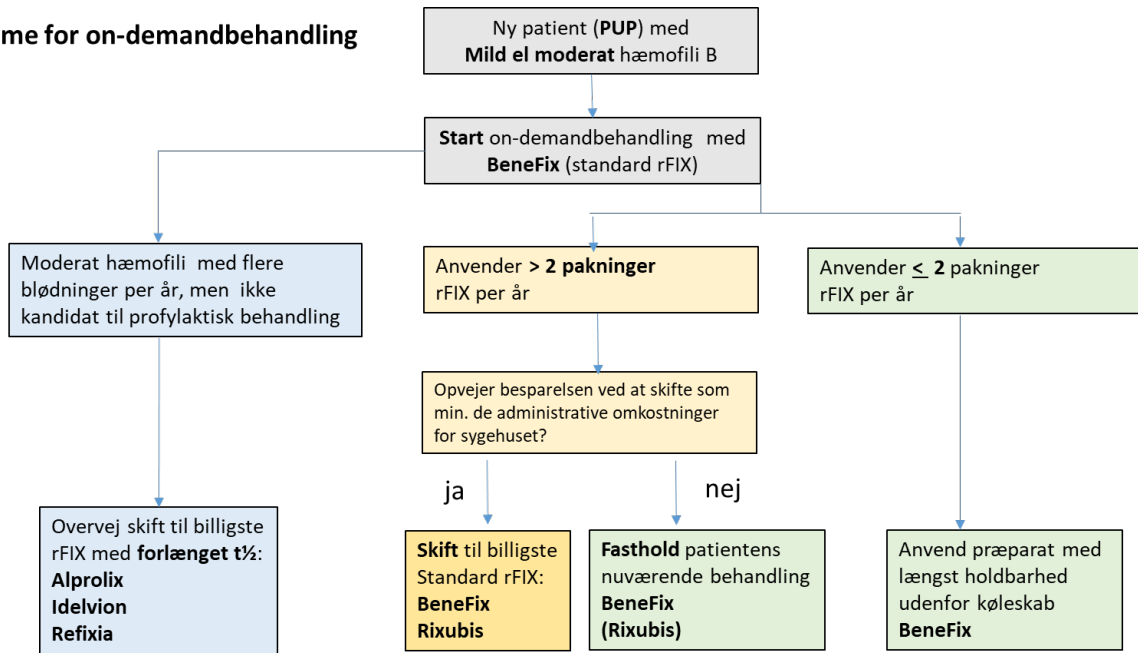
Skift af on-demandbehandling

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.

Algoritme for profylaktisk behandling



Algoritme for on-demandbehandling


Holdbarhed udenfor køleskab:
 BeneFix: 2 år
 Rixubis: 6 måneder

Sammensætning af fagudvalg og kontaktinformation til Medicinrådet
Se Medicinrådets gennemgang af terapiområdet for hæmofili B Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	12.12.2018	Godkendt af Medicinrådet.