

# Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende lægemidler til von Willebrand sygdom

## 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 mulig 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 fælles 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.

## Om behandlingsvejledningen

Behandlingsvejledningen er Medicinrådets vurdering af flere lægemidler til samme sygdom. I behandlingsvejledninger tager Medicinrådet typisk stilling til, om der er klinisk betydende forskelle mellem lægemidlerne, eller om to eller flere af disse kan ligestilles.

Se Medicinrådets [metodehåndbog](#) for yderligere information.

## Dokumentoplysninger

Godkendelsesdato	24. april 2019
Ikrafttrædelsesdato	24. april 2019
Dokumentnummer	47986
Versionsnummer	1.0
Protokolgodkendelse	12. december 2018

© Medicinrådet, 2019. Publikationen kan frit refereres med tydelig kildeangivelse.

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

[www.medicinraadet.dk](http://www.medicinraadet.dk)

Sprog: dansk

Format: pdf

Udgivet af Medicinrådet, 24. april 2019

## Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefalinger omfatter valg af faktorpræparater til behandling af patienter med von Willebrand sygdom, som er i on-demand eller profylaktisk behandling eller gennemgår et større kirurgisk indgreb.

De fleste patienter med von Willebrand sygdom har sygdommen i mild grad. Behandlingen indledes her med en prøvedosis af desmopressin. Medicinrådets anbefalinger omhandler alene patienter, der ikke tåler desmopressin, eller hvor effekten heraf ikke er tilfredsstillende. Patienten vil i givet fald blive behandlet med et præparat med von Willebrand faktor (vWf) i eventuel kombination med faktor VIII (FVIII).

**On-demandbehandling** vil sige, at patienten kun anvender faktorpræparatet, når der opstår en blødning. De fleste patienter med von Willebrand sygdom har mild sygdom og behandles kun on-demand. Da vWf-præparater findes både med og uden FVIII, har fagudvalget valgt at opdele patienterne efter om de: 1) har normal eller let nedsat FVIII-aktivitet (og kun behov vWf) eller 2) har lav FVIII-aktivitet (og derfor behov for både vWf og FVIII, hvor det kan være en fordel med et kombinationspræparat, så patienten kun skal anvende ét præparat).

**Profylaktisk behandling** kan anvendes hos patienter med moderat eller svær sygdom som hjemmebehandling (2-3 gange ugentligt) for at forebygge blødninger.

**Større kirurgiske indgreb** medfører et øget behov for faktorpræparat i op til flere uger efter indgrebet. Fagudvalget har ikke udarbejdet anbefalinger for mindre kirurgiske indgreb, da patienterne typisk kun behandles få dage, og her kan anvende deres vanlige faktorpræparat.

Generelt gælder for anbefalingerne:

- Hos familiemedlemmer/søskende med von Willebrand sygdom er det som udgangspunkt mest praktisk at anvende samme præparat. Det minimerer medicinospild, når der kun er ét præparat på lager i hjemmet og på rejser.

Baseret på den gennemgåede evidens samt fagudvalgets kliniske vurdering anbefaler Medicinrådet følgende behandlinger:

### **Anbefaling: On-demandbehandling af patienter med normalt eller let nedsat FVIII-niveau (> 30 %)**

<b>Patienter, som er 18 år eller ældre med normalt eller let nedsat FVIII-niveau (&gt; 30 %)</b>	
<b>Anbefaling</b>	<b>Behandling</b>
Anvend til 90 % af populationen*	Haemate Veyvondi** Willfact Wilnativ
<p>*Populationen er meget lille, da det er patienter med mild sygdom, som ikke opnår tilfredsstillende effekt med desmopressin. %-satsen angiver, hvor stor en andel af populationen, som fagudvalget vurderer, vil kunne behandles med det af lægemidlerne, som bliver førstevalg i en lægemiddelrekommandation.</p> <p>** Kun til voksne <math>\geq</math> 18 år.</p>	

**Anbefaling: On-demandbehandling af patienter med von Willebrand sygdom og med lavt FVIII-niveau (< 30 %)**

Kombinationspræparaterne Haemate og Wilnativ er at foretrække fremfor de rene vWf-præparater Veyvondi og Willfact.

Skift til et billigere vWf-præparat, hvis besparelsen i lægemiddeludgifter som minimum opvejer de administrative omkostninger, der er forbundet med skiftet.

<b>Patienter med lavt FVIII-niveau (&lt; 30 %)</b>	
<b>Anbefaling</b>	<b>Behandling</b>
Anvend til 90 % af populationen*	Haemate Wilnativ
Overvej	Veyvondi** Willfact
*Populationen gælder patienter, som ikke opnår tilfredsstillende effekt med desmopressin. %-satsen angiver, hvor stor en andel af populationen, som fagudvalget vurderer, vil kunne behandles med det af lægemidlerne, som bliver førstevalg i en lægemiddelrekommandation. ** Kun til voksne $\geq 18$ år.	

**Anbefaling: Forebyggelse og behandling af blødning ved større kirurgiske indgreb til patienter med von Willebrand sygdom**

Anvend det præparat, som patienten plejer at anvende on-demand eller som profylaktisk behandling (se anbefalinger for disse).

Skift til et vWf præparat uden FVIII, hvis FVIII stiger ( $> 150$  %) under større kirurgiske indgreb.

<b>Patienter, som får forhøjet FVIII (&gt;150%) ved større kirurgiske indgreb</b>	
<b>Anbefaling</b>	<b>Behandling</b>
Anvend	Veyvondi* Willfact
* Kun til voksne $\geq 18$ år.	

**Anbefaling: Profylaktisk behandling af patienter med von Willebrand sygdom**

Skift til et billigere vWf-præparat, hvis besparelsen i lægemiddeludgifter som minimum opvejer omkostninger og besvær for patient og sygehus.

<b>Patienter i profylaktisk behandling</b>	
<b>Anbefaling</b>	<b>Behandling</b>
Anvend til 90 % af populationen	Haemate Willfact Wilnativ
%-satsen angiver, hvor stor en andel af populationen, som fagudvalget vurderer, vil kunne behandles med det af lægemidlerne, som bliver førstevalg i en lægemiddelrekommandation.	

## Øvrige forhold vedrørende behandlingen

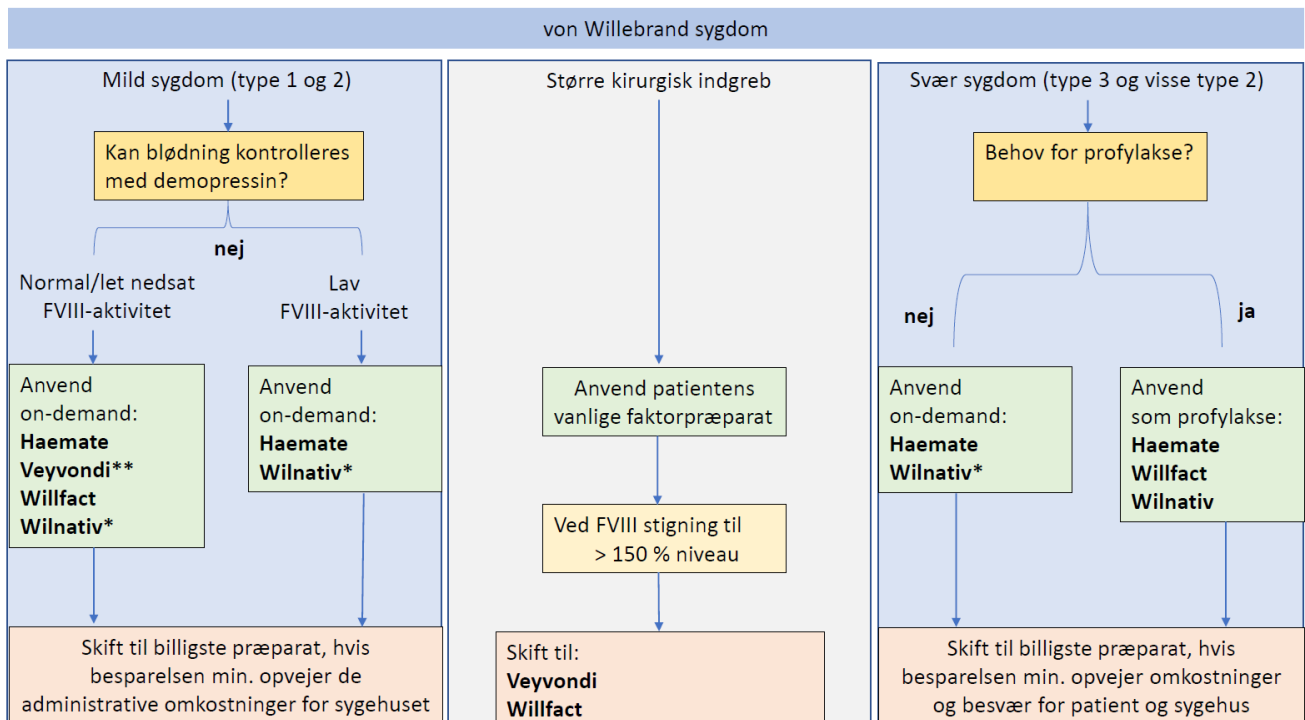
Fagudvalget vurderer, at der er praktiske fordele ved et vWf-kombinationspræparat i de kliniske situationer, hvor der er behov for både vWf og FVIII. I disse situationer foretrækkes derfor et kombinationspræparat.

I de kliniske situationer, hvor der kun er behov for vWf, har rekombinante præparater en lille fordel. Smitterisikoen ved plasmaderiverede præparater er dog teoretisk, og von Willebrand patienter har været behandlet uden tilfælde af smitte gennem mere end 30 år. Derfor vurderer Medicinrådet, at rekombinante præparater ikke alene på den baggrund kan foretrækkes.

Ved kirurgi foretrækker fagudvalget brug af patientens vanlige vWf-præparat.

Fagudvalget vurderer, at patienter i on-demandbehandling skal undgå præparater med kort holdbarhed uden for køleskab, med mindre patienten har et meget højt forbrug.

## Behandlingsalgoritme



\*Ikke hensigtsmæssigt ved lavt forbrug pga. kort holdbarhed udenfor køleskab. \*\* Kun til patienter ≥ 18 år

## Sammensætning af fagudvalg og kontaktinformation til Medicinrådet

Se Baggrund for Medicinrådets behandlingsvejledning vedr. lægemidler til von Willebrand sygdom.

### Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	24. april 2019	Godkendt af Medicinrådet.