

# Medicinrådets anbefaling vedrørende emicizumab som mulig standardbehandling til hæmofili A med inhibitor mod Faktor VIII

## Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler emicizumab** som mulig standardbehandling til patienter med inhibitor mod Faktor VIII, og hvor immuntolerancebehandling ikke er mulig - eller ikke har været succesfuld.

Emicizumab tilfører både en vigtig klinisk merværdi og betydelige besparelser i sammenligning med profylaktisk behandling med *activated prothrombin complex concentrate* (APCC).

## Sygdom og behandling

*Inhibitor* mod faktor VIII er en sjælden tilstand, der kan opstå hos patienter med hæmofili A, og som gør, at det faktor VIII-præparat, som skal beskytte patienten mod blødninger, ikke længere virker. Behandlingen af tilstanden sigter mod at gøre faktorpræparatet virksomt igen ved at give immuntolerancebehandling med daglig infusion af store doser faktor VIII gennem flere år. Det lykkes ikke altid at fjerne inhibatoren, og nogle patienter, ofte små børn, er ikke i stand til at gennemføre denne krævende behandling. Patienten vil i så fald aktuelt få tilbudt profylaktisk behandling med APCC.

## Om lægemidlet

Emicizumab efterligner funktionen af faktor VIII, som patienter med hæmofili A mangler, og som er nødvendig for at standse blødninger. Det sker ved, at emicizumab binder sig til andre faktorer i blodet (IXa og X), som også har betydning for blodets evne til at størkne. Emicizumab gives som subkutan injektion én gang om ugen. Blødninger, som opstår på trods af behandling med emicizumab, skal behandles med *bypassing agents*.

Der er aktuelt cirka 10 patienter med inhibitor mod faktor VIII, hvor emicizumab kan være en relevant behandling.

## Sundhedsfaglig vurdering

Medicinrådet vurderer, at profylaktisk behandling med emicizumab hos patienter med inhibitor mod FVIII, hvor immuntolerancebehandling ikke er mulig, eller ikke har været succesfuld, giver en:

- Vigtig klinisk merværdi sammenlignet med profylakse med APCC. Evidensens kvalitet er meget lav.

Den kliniske erfaring er, at nogle patienter ikke kan gennemføre og opnå tilfredsstillende profylaktisk behandling med APCC. For disse patienter, med meget høj blødningsrisiko, vil emicizumab være det eneste reelle profylaktiske behandlingstilbud.

## Medicinrådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til klinisk merværdi

Medicinrådet har vurderet, at profylakse med emicizumab giver en **vigtig** klinisk merværdi sammenlignet med profylakse med APCC.

Samtidig medfører behandlingen med emicizumab betydelige besparelser sammenlignet med APCC.

Medicinrådet vurderer derfor, at omkostningerne for emicizumab er rimelige i forhold til den kliniske merværdi, som lægemidlet tilbyder.

## Overvejelser om alvorlighed/forsigtighed

Medicinrådet har ikke fundet anledning til at inddrage forhold vedrørende alvorlighed eller forsigtighed i anbefalingen.

## Relation til eksisterende behandlingsvejledning

Blødningsepisoder hos patienter med inhibitor mod FVIII behandles iht. RADS' behandlingsvejledning fra november 2016. Spørgsmålet om profylaktisk behandling vil blive adresseret, når Medicinrådet udarbejder en ny vejledning for terapiområdet.

## Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefaling bygger på en faglig vurdering af, om ny medicin giver merværdi for patienterne i forhold til eksisterende behandling samt en vurdering af omkostningerne ved at anvende medicinen.

Regionernes indkøbsorganisation Amgros indgår aftale om en pris for medicinen med ansøgeren. På baggrund af den forhandlede pris vurderer Medicinrådet, om medicinens merværdi står mål med prisen, og om medicinen derfor kan anbefales som mulig standardbehandling.

Anbefaling til mulig standardbehandling betyder, at medicinen bliver et alment tilbud til en patientgruppe, og at medicinen er tilgængelig på sygehusene.