

Medicinrådets anbefaling vedrørende rurioctocog alfa pegol som mulig standardbehandling til behandling af hæmofili A

Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler** rurioctocog alfa pegol (Adynovi) som mulig standardbehandling til behandling af hæmofili A hos patienter fra 12 år og opefter, som har gentagne dokumenterede gennembrudsblødninger ved behandling med et standard faktor VIII-præparat eller har vanskelig veneadgang.

Rurioctocog alfa pegol har ingen klinisk merværdi sammenlignet med efmoroctocog alfa (Elocta). Omkostningerne til behandlingerne er på samme niveau.

Sygdom og behandling

Hæmofili A er en arvelig blødersygdom, der skyldes manglende faktor VIII i blodet, som er nødvendig for at stoppe blødninger. Ca. 400 patienter i Danmark har sygdommen.

Tilførsel af faktor VIII forebygger blødninger i muskler og led, som på sigt kan medføre invaliditet, samt forhindrer at en større blødning bliver livstruende.

Patienter, som har sygdommen i svær grad, får infusioner med faktor VIII 3-4 gange om ugen. Patienter, som har blødninger hyppigt, eller har vanskelig veneadgang, vil oftest blive tilbudt et faktorpræparat, som har forlænget halveringstid. Hermed kan man opnå bedre blødningsdækning eller færre ugentlige infusioner.

Om lægemidlet

Rurioctocog alfa pegol (Adynovi) er et faktor VIII-præparat, som er konjugeret til polyethylenglycol, hvilket medfører en forlængelse af halveringstiden. Den godkendte indikation for rurioctocog alfa pegol er behandling og forebyggelse af blødning hos patienter i alderen 12 år og opefter med hæmofili A (medfødt FVIII-mangel). Den anbefalede dosis er 40-50 IE/kg to gange ugentligt i intervaller på 3-4 dage.

Sundhedsfaglig vurdering

Medicinrådet vurderer, at rurioctocog alfa pegol (Adynovi) til patienter på 12 år og opefter med hæmofili A giver:

- Ingen klinisk merværdi sammenlignet enhed til enhed (dosis 1:1) med efmoroctocog alfa (Elocta). Evidensens kvalitet vurderes at være meget lav.

Den kliniske merværdi af rurioctocog alfa pegol ift. efmoroctocog alfa er vurderet for patienter, som har vanskelig veneadgang eller gentagne dokumenterede gennembrudsblødninger ved behandling med et standard faktor VIII-præparat.

Medicinrådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til klinisk merværdi

Medicinrådet konkluderer, at der er et rimeligt forhold mellem lægemidlets kliniske merværdi (ingen merværdi) og omkostningerne ved behandling med rurioctocog alfa pegol (Adynovi) sammenlignet med efmoroctocog alfa (Elocta).

Overvejelser om alvorlighed/forsigtighed

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

Relation til eksisterende behandlingsvejledning

Der foreligger en behandlingsvejledning fra RADS fra 2016 for medicinsk behandling af hæmofili. Medicinrådet har besluttet at udarbejde en ny behandlingsvejledning for hæmofili A, hvor man bl.a. vil tage stilling til, hvilken plads rurioctocog alfa pegol (Adynovi) har i forhold til andre lægemidler til behandling af sygdommen.

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.