

Medicinrådets  
lægemiddelrekommandation  
og behandlingsvejledning  
vedrørende lægemidler til  
von Willebrand sygdom

# Rek



## Om Medicinrådet

Medicinrådet er et uafhængigt råd etableret af Danske Regioner.

Medicinrådet udarbejder fælles regionale behandlingsvejledninger. Behandlingsvejledningerne indeholder vurderinger af, hvilke lægemidler der er mest hensigtsmæssige at behandle patienter med inden for et terapiområde. De danner dermed grundlag for ensartet høj kvalitet for behandling af patienter på tværs af sygehuse og regioner. Medicinrådet angiver kliniske rækkefølger af de inkluderede lægemidler på baggrund af en redegørelse for evidensen for klinisk effekt og sikkerhed.

## Om Medicinrådets lægemiddelrekommandation

Lægemiddelrekommandationen er Medicinrådets prioriterede liste for brugen af lægemidler, når både de kliniske og økonomiske aspekter er sammenvæjet. Medicinrådets lægemiddelrekommandation er udgivet sammen med Medicinrådets behandlingsvejledning.

Se *Metodehåndbog for Medicinrådets vurdering af flere lægemidler inden for samme terapiområde* for yderligere information. Du finder denne på Medicinrådets hjemmeside under siden Metoder.

*Fremkommer der nye og væsentlige oplysninger af betydning for behandlingsvejledningens indhold, kan Medicinrådet tage den op til fornyet behandling. Det samme gælder, hvis der er begået væsentlige fejl i forbindelse med sagsbehandlingen.*

### Dokumentoplysninger

**Godkendelsesdato** 4. oktober 2022

**Ikrafttrædelsesdato** 1. januar 2023

**Dokumentnummer** 152380

**Versionsnummer** 1.1

© Medicinrådet, 2022  
Publikationen kan frit refereres  
med tydelig kildeangivelse.

Sprog: dansk  
Format: pdf  
Udgivet af Medicinrådet, 5. oktober 2022



# Medicinrådets lægemiddelrekommandation vedrørende von Willebrand sygdom

## Formål

Medicinrådets lægemiddelrekommandation angiver på baggrund af Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende von Willebrand sygdom hvilke specifikke lægemidler, det er mest hensigtsmæssigt at anvende. Klinisk ligestillede lægemidler er prioriteret ud fra deres lægemiddelpriser.

## On-demandbehandling af patienter med normalt eller let nedsat faktor-VIII (FVIII)-niveau (> 30 %)

Medicinrådet har vurderet, at Haemate, Veyvondi, Willfact og Wilnativ er klinisk ligeværdige og kan ligestilles som on-demandbehandling til patienter med normalt eller let nedsat FVIII-niveau.

- Skift til et billigere von Willebrand faktor (vWf)-præparat, da besparelsen i lægemiddeludgifter opvejer de administrative omkostninger, der er forbundet med skiftet.
- Anvend ikke Wilnativ til patienter med et lavt forbrug pga. risiko for medicinspild, da Wilnativ har en kort holdbarhed (2 mdr.) udenfor køleskab.

Tabel 1.

Prioriteret anvendelse	Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Sammenligningsdosis <sup>§</sup>
Anvend som 1. valg til 90 % af patienterne*	Wilnativ (vWf + FVIII)	20 IE/kg
2. valg	Haemate (vWf + FVIII)	40 IE/kg
3. valg	Veyvondi (vonicog alfa) <sup>¶</sup>	40 IE/kg
4. valg	Willfact (vWf)	40 IE/kg

\*Procentsatsen angiver, hvor stor en andel af populationen, som fagudvalget vurderer, vil kunne behandles med det af lægemidlerne, som er førstevalg i lægemiddelrekommandationen. <sup>§</sup>Ligestillede doser af von Willebrand faktor. <sup>¶</sup>Lægemidlet har kun indikation til voksne ≥ 18 år. FVIII: Faktor VIII; vWf: von Willebrand faktor.



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

Medicinerådet har vurderet, at Haemate og Wilnativ er klinisk ligeværdige og kan ligestilles som on-demandbehandling til patienter med lavt FVIII-niveau.

- Skift til et billigere von Willebrand faktor (vWf)-præparat, da besparelsen i lægemiddeludgifter opvejer de administrative omkostninger, der er forbundet med skiftet.
- Anvend Haemate til patienter med et lavt forbrug, da Wilnativ har en kort holdbarhed (2 mdr.) udenfor køleskab. Hermed mindskes risikoen for medicinspild.

**Tabel 2.**

Prioriteret anvendelse	Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Sammenligningsdosis <sup>5</sup>
Anvend som 1. valg til 90 % af patienterne*	Wilnativ (vWf + FVIII)	20 IE/kg
2. valg	Haemate (vWf + FVIII)	40 IE/kg

\*Procentsatsen angiver, hvor stor en andel af populationen, som fagudvalget vurderer, vil kunne behandles med det af lægemidlerne, som er førstevalg i lægemiddelrekommandationen. <sup>5</sup>Ligestillede doser af von Willebrand faktor. FVIII: Faktor VIII; vWf: von Willebrand faktor.

## Forebyggelse og behandling af blødning ved større kirurgiske indgreb til patienter med von Willebrand sygdom

Medicinerådet har vurderet, at Haemate, Veyvondi, Willfact og Wilnativ er klinisk ligeværdige og kan ligestilles som behandling af blødning hos patienter, der gennemgår større kirurgiske indgreb.

- 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-niveauet stiger (> 150 %) under større kirurgiske indgreb.

**Tabel 3.**

Prioriteret anvendelse	Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Sammenligningsdosis <sup>5</sup>
Anvend	Veyvondi (vonico <sup>®</sup> alfa) <sup>¶</sup>	40 IE/kg
2. valg	Willfact (vWf)	40 IE/kg

<sup>5</sup>Ligestillede doser af von Willebrand faktor. Doseres individuelt efter ønsket faktorniveau. <sup>¶</sup>Lægemidlet har kun indikation til voksne ≥ 18 år. vWf: von Willebrand faktor.



## Profylaktisk behandling af patienter med von Willebrand sygdom

Medicinrådet har vurderet, at Haemate, Willfact og Wilnativ er klinisk ligeværdige og kan ligestilles som profylaktisk behandling.

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

**Tabel 4.**

Prioriteret anvendelse	Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Sammenligningsdosis <sup>5</sup>
Anvend som 1. valg til 90 % af patienterne*	Wilnativ (vWf + FVIII)	20 IE/kg
2. valg	Haemate (vWf + FVIII)	40 IE/kg
3. valg	Willfact (vWf)	40 IE/kg

\*Procentsatsen angiver, hvor stor en andel af populationen, som fagudvalget vurderer, vil kunne behandles med det af lægemidlerne, som er førstevalg i lægemiddelrekommandationen. <sup>5</sup>Ligestillede doser af von Willebrand faktor. FVIII: Faktor VIII; vWf: von Willebrand faktor.



# Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende lægemidler til von Willebrand sygdom

## Formål

Medicinrådet udarbejder behandlingsvejledninger for terapiområder til regionerne, som skal danne grundlag for ensartet lægemiddelbehandling af høj kvalitet for patienterne på tværs af sygehuse og regioner.

Formålet med behandlingsvejledningen for von Willebrand sygdom er at:

- undersøge hvilke lægemidler, doser, regimer og formuleringer, der kan anses som ligestillede ift. klinisk effekt og sikkerhed ved anvendelse til samme patientpopulation.
- give anbefalinger for valg af lægemidler til patienter med von Willebrand sygdom.

I dokumentet "Baggrund for Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende lægemidler til von Willebrand sygdom" er evidensen for de væsentligste effekter gennemgået systematisk og sammenholdt med en klinisk vurdering. Dokumentet findes på Medicinrådets hjemmeside.

På baggrund af behandlingsvejledningen udarbejder Medicinrådet efterfølgende en lægemiddelrekommandation til regionerne, hvor eventuelle klinisk ligestillede lægemidler er prioriteret ud fra deres totalomkostninger.

## Medicinrådets anbefaling vedrørende lægemidler til behandling af von Willebrand sygdom

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 for 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 medicinspild, 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 %)**

**Tabel 5. Patienter med normalt eller let nedsat FVIII-niveau (> 30 %)**

Anbefaling	Lægemiddel
Anvend til 90 % af populationen*	Haemate
	Veyvondi**
	Willfact
	Wilnativ

\* Populationen er meget lille, da det er patienter med mild sygdom, som ikke opnår tilfredsstillende effekt med desmopressin. Procentsatsen angiver, hvor stor en andel af populationen, der vil kunne behandles med det af lægemidlerne, som bliver førstevalg i en lægemiddelrekommandation. \*\*Lægemidlet har kun indikation til voksne  $\geq$  18 år.

#### **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.



**Tabel 6. Patienter med lavt FVIII-niveau (< 30 %)**

Anbefaling	Lægemiddel
Anvend til 90 % af populationen*	Haemate Wilnativ
Overvej	Veyvondi** Willfact

\* Populationen gælder patienter, som ikke opnår tilfredsstillende effekt med desmopressin. Procentsatsen angiver, hvor stor en andel af populationen, der vil kunne behandles med det af lægemidlerne, som bliver førstevalg i en lægemiddelrekommandation. \*\*Lægemidlet har kun indikation 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-niveauet stiger (> 150 %) under større kirurgiske indgreb.

**Tabel 7. Patienter, som får forhøjet FVIII (> 150 %) ved større kirurgiske indgreb**

Anbefaling	Lægemiddel
Anvend	Veyvondi* Willfact

\*Lægemidlet har kun indikation 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.

**Tabel 8. Patienter i profylaktisk behandling**

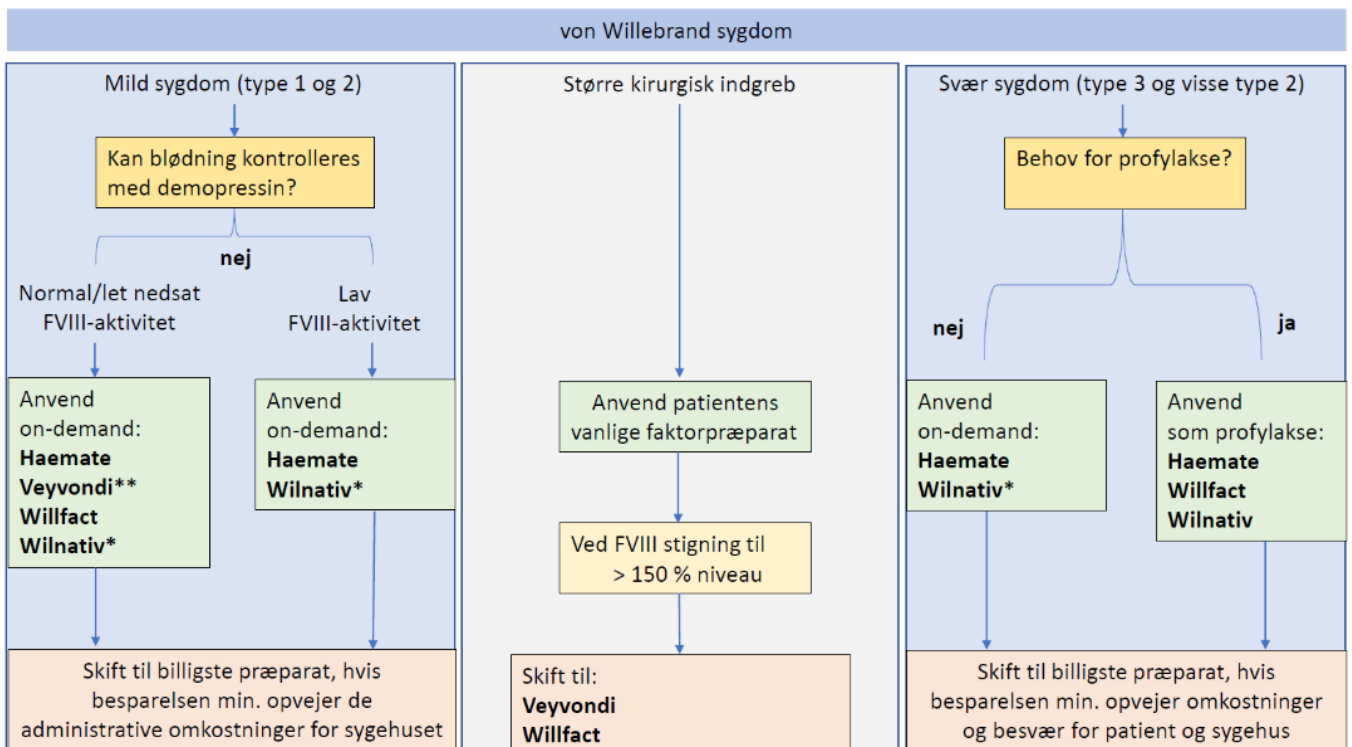
Anbefaling	Lægemiddel
Anvend til 90 % af populationen*	Haemate Willfact Wilnativ

\* Procentsatsen angiver, hvor stor en andel af populationen, der vil kunne behandles med det af lægemidlerne, som bliver førstevalg i en lægemiddelrekommandation.





## Behandlingsalgoritme



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



## 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. Smitte-risikoen 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.



# Sammensætning af fagudvalg og kontaktinformation til Medicinrådet

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



# Versionslog

## Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.1	5. oktober 2022	Nyt udbud har givet yderligere besparelser på 1. valgpræparatet, men ændrer ikke rækkefølgen af lægemidlerne.
1.0	25. september 2019	Godkendt af Medicinrådet

**Medicinrådets sekretariat**

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

+ 45 70 10 36 00

[medicinraadet@medicinraadet.dk](mailto:medicinraadet@medicinraadet.dk)

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