

Tillæg til Medicinrådets evidensgennemgange vedrørende lægemidler til hæmofili A og B

Direkte indplacering af marstacimab

Tillæg



Om Medicinrådet

Medicinrådet er et uafhængigt råd etableret af Danske Regioner. Når behandlingsvejledningerne bliver udarbejdet, er rollefordelingen mellem de tre enheder følgende:

- *Rådet* beslutter, hvilke behandlingsvejledninger der skal udarbejdes eller opdateres, og godkender de endelige dokumenter.
- *Sekretariatet* er overordnet projekt- og metodeansvarlige, faciliterer fagudvalgets arbejde og udarbejder udkast til dokumenterne.
- *Fagudvalgene* bidrager med specifik viden om sygdom og behandling inden for deres fagområde og samarbejder med sekretariatet om udkast til behandlingsvejledninger inden for et sygdomsområde.

Om Medicinrådets behandlingsvejledninger og tillæg

Formålet med Medicinrådets behandlingsvejledninger er at vurdere, hvilke lægemidler der ud fra en samlet klinisk og økonomisk betragtning er mest hensigtsmæssige at behandle patienter med inden for et sygdomsområde.

Behandlingsvejledningen indeholder Medicinrådets kliniske vurdering af de lægemidler, der kan sammenlignes, inden for et sygdomsområde.

Medicinrådets behandlingsvejledning inkluderer følgende dokumenter: protokol, evidensgennemgang og opsummering. På baggrund af behandlingsvejledningen kan Medicinrådet udarbejde en evt. omkostningsanalyse og lægemiddelrekommandation.

Dette dokument er et *tillæg til evidensgennemgangen* i form af en direkte indplacering af et nyt lægemiddel i behandlingsvejledningen.

For yderligere information se *Metodevejledning for Medicinrådets vurdering af flere lægemidler inden for samme sygdomsområde*. Du finder denne på Medicinrådets hjemmeside.

Dokumentoplysninger

Godkendelsesdato	3. september 2025
------------------	-------------------

Ikrafttrædelsesdato	3. september 2025
---------------------	-------------------

Dokumentnummer	217396
----------------	--------

Versionsnummer	1.0
----------------	-----



Sagsoplysninger

Lægemiddel	Marstacimab (Hypavzi)
Indikation	Rutineprofylakse mod blødningsepisoder hos patienter i alderen 12 år og derover med en vægt på mindst 35 kg, som har: - svær hæmofili A (medfødt faktor VIII-mangel, FVIII < 1 %) uden faktor VIII-hæmmere eller - svær hæmofili B (medfødt faktor IX-mangel, FIX < 1 %) uden faktor IX-hæmmere.
Lægemiddelfirma	Pfizer ApS
ATC-kode	B02BX11

Sagsbehandling

Anmodning modtaget fra ansøger	17. december 2024
Fyldestgørende ansøgning modtaget (dag 0)	17. februar 2025
Udkast til tillægget sendt til Amgros og virksomheden	2. juli 2025
Rådets godkendelse af tillæg	3. september 2025
Sagsbehandlingstid (opgjort i arbejdsdage)	16 uger (80 arbejdsdage) Der har været clock-stop i sagen fra den 14. marts til den 6. juni 2025.
Fagudvalg	Fagudvalget vedrørende blødersygdomme



Indholdsfortegnelse

Begreber og forkortelser	4
1. Baggrund	5
1.1 Hæmofili A	5
1.2 Hæmofili B	6
1.3 Marstacimab	7
2. Metode.....	7
3. Resultater	8
3.1 Hæmofili A	8
3.1.1 Overblik over studier	8
3.1.2 BASIS (marstacimab)	9
3.1.3 OLE (marstacimab).....	9
3.1.4 HAVEN 3 (emicizumab)	10
3.1.5 Baseline karakteristika	10
3.1.6 Medicinrådets vurdering af studiernes sammenlignelighed	11
3.1.7 Databehandling og analyse	11
3.1.8 Resultater pr. effektmål	11
3.1.8.1 Årlig blødningsrate (kritisk).....	12
3.1.8.2 Ophør pga. bivirkninger (kritisk)	13
3.1.8.3 Tromboemboli (vigtigt)	13
3.1.8.4 Livskvalitet (vigtigt)	14
3.1.9 Evidensens kvalitet	14
3.2 Hæmofili B	14
3.2.1 Overblik over studier	14
3.2.2 BASIS (marstacimab)	15
3.2.3 B-LONG (eftrenonacog alfa).....	15
3.2.4 Baseline karakteristik	15
3.2.5 Samlet vurdering af studier	16
3.2.6 Databehandling og analyse	17
3.2.7 Resultater pr. effektmål	17
3.2.7.1 Årlig blødningsrate (kritisk).....	18
3.2.7.2 Inhibitor (kritisk), anafylaksi (kritisk) og tromboemboli (vigtig)	18
3.2.7.3 Livskvalitet (vigtig)	18
3.2.7.4 Øvrige sikkerhedsdata	19
3.2.8 Evidensens kvalitet	19
3.3 Andre overvejelser	19
4. Medicinrådets kliniske vurdering af lægemidler	21
4.1 Hæmofili A	21
4.2 Hæmofili B	22



5.	Referencer	23
6.	Sammensætning af fagudvalg	25
7.	Versionslog	26

Begreber og forkortelser

ABR:	Årlig blødningsrate
aPCC:	Et lægemiddel med <i>bypassing</i> aktivitet
EHL:	<i>Extended Half-Life</i>
EMA:	Det Europæiske Lægemiddelagentur (<i>European Medicines Agency</i>)
FIX:	<i>Faktor IX</i>
FVIII:	<i>Faktor VIII</i>
FXII:	<i>Faktor XII</i>
HAEMO-A-QoL	<i>Hemophilia-Specific Quality of Life Questionnaire for Adults</i>
Haemo-QoL	<i>Hemophilia-Specific Quality of Life Questionnaire for children and adolescents</i>
mITT:	Modificerede Intention to Treat
PICO:	Population, intervention, komparator og effektmål (<i>Population, Intervention, Comparator and Outcome</i>)

© Medicinrådet, 2025
Publikationen kan frit refereres
med tydelig kildeangivelse.

Sprog: dansk
Format: pdf
Udgivet af Medicinrådet, 4. september 2025



1. Baggrund

Dette tillæg er udarbejdet som følge af Pfizer ApS' ansøgning vedr. vurdering af marstacimab, som er et nyt subkutant lægemiddel til profylaktisk behandling af patienter over 12 år med svær hæmofili A og B (uden inhibitorer).

Formålet er at vurdere om:

1. Marstacimab kan ligestilles med subkutan profylaktisk behandling med emicizumab hos patienter i alderen 12 år og derover med svær hæmofili A uden inhibitorer.
2. Marstacimab kan indplaceres som alternativ til intravenøs profylaktisk behandling med Faktor IX præparatet eftrenonacog alfa (Alprolix) hos patienter i alderen 12 år og derover med svær hæmofili B uden inhibitorer og vanskelig veneadgang.

Medicinerådet har foretaget vurderingen vha. en direkte indplacering af marstacimab i behandlingsvejledningen for [hæmofili A](#) og [hæmofili B](#) [1,2]. Dokumenterne: Opsummering af Medicinerådets evidensgennemgang bliver opdateret hermed.

1.1 Hæmofili A

- Kan marstacimab ligestilles med subkutan profylaktisk behandling med emicizumab hos patienter i alderen 12 år og derover med svær hæmofili A uden inhibitorer?

I behandlingsvejledningen for hæmofili A [1] anbefaler Medicinerådet profylakse i form af intravenøs hjemmebehandling med faktor VIII (FVIII). Emicizumab, der er et non-faktor-præparat kan overvejes, hvis patienten har:

- Vanskelig veneadgang, hvor det ikke er muligt at gennemføre profylakse med et EHL-præparat.
- Complianceproblemer, hvor det ikke muligt at gennemføre profylakse med ugentlige intravenøse injektioner.
- Gennembrudsblødninger, trods optimeret profylakse med et EHL-præparat.

PICO for indplacering af marstacimab er specificeret i Tabel 1-1, og tager udgangspunkt i klinisk spørgsmål 4 i Medicinerådets [protokol for behandlingsvejledning for hæmofili A](#) [3].

Fagudvalget vurderer, at [REDACTED] patienter med hæmofili A aktuelt kan være kandidater til at skifte til marstacimab.



Tabel 1-1. PICO for vurdering af marstacimab til hæmofili A

Population	Intervention	Komparator	Effekt mål
Patienter ≥ 12 år med svær hæmofili A	Marstacimab	Emicizumab	Blødningsrate (median antal blødninger per år, ABR)
			Ophør pga. bivirkninger
			Tromboemboli
			Livskvalitet

1.2 Hæmofili B

- Kan marstacimab indplaceres som alternativ til intravenøs profylaktisk behandling med FIX-præparatet eftrenonacog alfa (Alprolix) hos patienter i alderen 12 år og derover med svær hæmofili B, som har vanskelig veneadgang eller complianceproblemer?

I behandlingsvejledningen for hæmofili B [2] anbefaler Medicinrådet profylakse med et faktor IX-præparat (FIX) med forlænget halveringstid. Eftrenonacog alfa, nonacog beta pegol og albutrepenonacog alfa er ligestillede til patienter med vanskelig veneadgang og eftrenonacog alfa (Alprolix) er aktuelt 1. valg i lægemiddelrekommendationen.

Ansøger har valgt at sammenligne sig med eftrenonacog alfa, da de forventer, at marstacimab primært vil blive set som et relevant behandlingsalternativ for patienter med hæmofili B med vanskelige venøse adgangsforhold eller complianceproblemer, hvor det ikke er muligt at udføre profylaksebehandling med ugentlige intravenøse injektioner. Marstacimab vil derfor ikke indgå som et muligt alternativ til patienter med behov for høj dalværdi pga. høj blødningsrisiko og/eller har gennembrudsblødninger, på den eksisterende profylakse, hvor kun nonacog beta pegol og albutrepenonacog alfa er ligestillede.

PICO for indplacering af marstacimab er specificeret i Tabel 1-2, og tager udgangspunkt i Medicinrådets [protokol for behandlingsvejledning for hæmofili B](#) [4].

Fagudvalget vurderer, at [REDACTED] patienter med hæmofili B aktuelt kan være kandidater til at skifte til marstacimab.



Tabel 1-2. PICO for vurdering af marstacimab til hæmofili B

Population	Intervention	Komparator	Effektmål
Patienter ≥ 12 år med svær hæmofili B, som har vanskelig veneadgang	Marstacimab	Eftrenonacog alfa	Blødningsrate (median antal blødninger per år, ABR)
			Inhibitor
			Anafylaksi
			Tromboemboli
			Livskvalitet

1.3 Marstacimab

Marstacimab (Hypavzi) er godkendt af EMA til rutineprofylakse mod blødningsepisoder hos patienter på 12 år og derover med en vægt på mindst 35 kg, som har:

- svær hæmofili A (medfødt FVIII-mangel, FVIII $< 1\%$) uden FVIII-inhibitorer eller
- svær hæmofili B (medfødt FIX-mangel, FIX $< 1\%$) uden FIX-inhibitorer.

Marstacimab er et humant monoklonalt IgG1-antistof, som targeterer tissue factor pathway inhibitor, der er den primære hæmmer af den ekstrinsiske koagulationskaskade. Hermed styrkes den ekstrinsiske koagulationskaskade som en kompensation for nedsat koagulation i den intrinsiske koagulationskaskade pga. faktor-mangel hos patienter med hæmofili A og B.

Den anbefalede dosis er en indledende støddosis på 300 mg ved subkutan injektion, efterfulgt af 150 mg ved subkutan injektion én gang ugentligt. Marstacimab findes som forfyldte enkeltdosispenne på 150 mg. Lægemidlet har ved opbevaring på køl (2 °C - 8 °C) en holdbarhed på op til tre år. Ved opbevaring udenfor køleskab er holdbarheden 7 dage. [5]

2. Metode

Virksomheden har indsendt dokumentation for effekten af marstacimab til hæmofili A og B baseret på upubliceret data fra BASIS-studiet og OLE-studiet samt publiceret data fra HAVEN 3-studiet [6] vedrørende emizicumab til hæmofili A og B-LONG-studiet [7] vedrørende eftrenonocog alfa til hæmofili B.

Resultaterne af effektmålene er gennemgået ved en naiv sammenligning.

Medicinerådet vurderer, at dokumentationen er udarbejdet i overensstemmelse med Medicinerådets metoder og kan danne grundlag for dette tillæg til behandlingsvejledningen.



3. Resultater

3.1 Hæmofili A

3.1.1 Overblik over studier

Nedenfor beskriver og vurderer Medicinrådet den litteratur, som ligger til grund for vurderingen, se Tabel 3-1. Data i tabellen udgøres af selekterede behandlingsarme fra de respektive studier med patientpopulation og intervention, der er relevant for indeværende ansøgning og de dertil hørende kliniske spørgsmål.

Tabel 2-1. Overblik over studier, som indgår i tillægsvurderingen til hæmofili A

Studienavn [NCT-nummer]	Population	Intervention	Komparator	Relevante effekt mål
BASIS, NCT03938792	65 patienter med svær hæmofili A uden inhibitorer. Alder 12-74 år. Forudgående profylaktisk behandling.	Marstacimab startdosis på 300 mg subkutan efterfulgt af vedligeholdelsesdosis på 150 mg subkutan én gang ugentligt. Varighed: 12 mdr.	Faktorbehandling i 6-måneders observationsperiode	ABR Livskvalitet Tromboemboli Ophør pga. bivirkninger
Open Label Extension OLE-study (BASIS-LTE) NCT05145127	59 deltagere fra BASIS studiet (både hæmofili A og B)	Marstacimab 150 mg subkutan én gang ugentligt.	Ingen	Som BASIS studiet
HAVEN 3 NCT02847637 [6]	63 patienter med svær hæmofili A uden inhibitorer. Alder ≥12 år. Forudgående profylaktisk behandling.	Emicizumab startdosis på 3 mg/kg en gang ugentligt i fire uger efterfuldt af vedligeholdelsesdosis på 1,5 mg/kg én gang ugentligt. Varighed: ≥ 24 uger	Faktorbehandling i ≥24 ugers observationsperiode i et observationelt studie (n=48) [8] Ingen (n=15)	ABR Livskvalitet Tromboemboli Ophør pga. bivirkninger



3.1.2 BASIS (marstacimab)

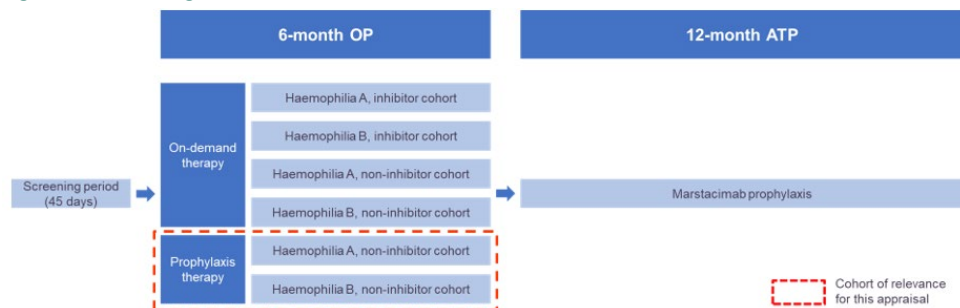
BASIS-studiet (NCT03938792) er et ublindet envejs overkrydsnings fase 3-studie med planlagt deltagelse af cirka 145 personer i alderen 12 til 74 år. Inkluderede patienter havde svær hæmofili A (FVIII aktivitet <1%) eller svær hæmofili B (FIX-aktivitet ≤2 %) med og uden inhibitorer [9]. Udvalgte eksklusionskriterier var profylaktisk behandling med non-faktor terapi (fx emicizumab eller genterapi), planlagt operation, tidligere eller nuværende iskæmisk hjertesygdom, trombose og koronarsygdom samt anden blødningsforstyrrelse end hæmofili A eller B.

Til indeværende ansøgning præsenteres kun data fra patienter med hæmofili A og B uden inhibitorer, som tidligere har været i profylaktisk behandling.

Studiet sammenlignede behandling med marstacimab i en 12 måneders aktiv behandlingsperiode med faktorterapi under en forudgående 6-måneders observationsperiode. 91 patienter, der tidligere havde modtaget profylaktisk behandling, blev inkluderet i observationsperioden, hvoraf 84 (92,3 %) gennemførte og 83 af disse patienter gik videre til den 12-måneders aktive behandlingsperiode, hvor deltagerne modtog profylaktisk behandling med marstacimab (Figur 3-1-1).

Den modificerede Intention to Treat (mITT) analyse bestod af deltagere, der gennemførte observationsperioden og modtog mindst én dosis af marstacimab i den aktive behandlingsperiode. Forsøgets resultater blev målt ved afslutningen af den 12-måneders aktive behandlingsfase.

Figur 3-1-1. Oversigt over BASIS-studiet



Kilde: Tilpasset fra den kliniske studie rapport 2023

3.1.3 OLE (marstacimab)

Fase 3 open label extension (OLE) studiet (NCT05145127) er en forlængelse af BASIS-studiet, som er designet til at evaluere den langsigtede sikkerhed, tolerabilitet og effektivitet af marstacimab som profylakse hos patienter med svær hæmofili. Studiet inkluderede patienter fra BASIS-studiet, som fortsatte med marstacimab-profylakse [10]. Studiet er pågående, men data fra interimanalyse fra marts 2023 inkluderes i denne ansøgning. På dette tidspunkt var 59 patienter med hæmofil A eller B med tidligere profylaktisk behandling og uden inhibitor inkluderet, heraf var sikkerhedsdata tilgængelig for 58 patienter.



3.1.4 HAVEN 3 (emicizumab)

HAVEN 3 [6] er et randomiseret, ublindet studie med patienter ≥ 12 år med svær hæmofili A uden inhibitorer, som tidligere har modtaget on-demand- eller profylaktisk behandling med et FVIII-præparat. Eksklusionskriterier var anden blødningsforstyrrelse end hæmofili A og tegn på tromboembolisk sygdom eller behandling herfor indenfor 12 måneder.

Patienterne med tidligere on-demand behandling blev randomiseret til emicizumab én gang ugentligt (gruppe A), emicizumab hver anden uge (gruppe B) eller ingen profylakse (gruppe C). Patienter i tidligere profylaktisk behandling med FVIII-præparat blev allokeret til profylaktisk behandling med emicizumab (gruppe D). Deltagerne blev som minimum behandlet med emicizumab i 24 uger. Til indeværende ansøgning præsenteres kun data fra de tidligere profylakse-behandlede patienter i gruppe D. Denne gruppe bestod af 63 patienter, hvoraf de 48 af dem havde deltaget i et observationelt studie [8] forud for allokering til emicizumab-behandlingen, der danner grundlag for sammenligningsgrundlag med faktorterapi i mindst 24 uger.

3.1.5 Baseline karakteristika

Tabel 3-2. Baseline karakteristika for patienter i inkluderede studier for hæmofili A

	Marstacimab	Emicizumab
Studie	BASIS (non-inhibitor, tidligere profylakse population))	HAVEN 3 [6] (Arm D)
Antal patienter inkluderet	65	63
Hæmofili type, n (%)		
Hæmofili A	65 (100)	63 (100)
Hæmofili B	0	0
Alder, år		
Median (min; max)	■	36 (13; 68)
≥ 12 til <18 , n (%)	■	7 (11,1)
>18 , n (%)	■	56 (88,9)
Hæmofiligrad, n (%)		
Mild	0	0
Moderat	0	0
Svær	65 (100)	63 (100)
Behandling med profylakse før inklusion, n (%)	65 (100)	63 (100)
Køn, n (%)		
Mand	65 (100)	63 (100)
Herkomst, n (%)		
Asiatisk	■	12 (19,0)
Sort eller afroamerikansk	■	1 (1,6)
Hvid	■	47 (74,6)
Ikke rapporteret	■	3 (4,8)



	Marstacimab	Emicizumab
Vægt, kg		
Gennemsnit (SD)	■	79 (15,4)
Body mass index, kg/m²		
Gennemsnit (SD)	■	25,6 (NR)
Antal Target Joints^a, n (%)		
0	■	37 (58,7)
1	■	8 (12,7)
2	■	18 (28,6)
≥3	■	

^aTarget joint defineres som større led med ≥3 spontane blødninger indenfor en 24-ugers periode.

3.1.6 Medicinrådets vurdering af studierne sammenlignelighed

Der er for de relevante behandlingsarme i alle studierne tale om ukontrollerede undersøgelser. Overordnet er patientpopulationerne sammenlignelige på tværs af studierne med hensyn til tidligere behandling og hæmofilisværhedsgrad.

BASIS studiet (marstacimab) har for hæmofili A en yngre population, flere patienter med asiatisk herkomst og færre deltagere med 0 afficerede led end i HAVEN 3 (emicizumab) [6].

3.1.7 Databehandling og analyse

Databehandlingen er foretaget på baggrund af en indirekte naiv sammenligning i mellem studierne.

3.1.8 Resultater pr. effektmål

Klinisk spørgsmål: *"Kan marstacimab ligestilles med subkutan profylaktisk behandling med emicizumab?"*

Resultater og vurdering af de kritiske og vigtige effektmål følger nedenfor.



Tabel 3-3. Resultater for effektmålene for hæmofili A

Effektmål	Marstacimab		Emicizumab [6] (arm D)	
	Observationelle periode (n=65)	Intervention (n=65)	Observationelle periode (n=48)	Intervention (n=63)
Varighed	26 uger	52 uger	30 uger (median)	33 uger (median)
ABR, alle blødninger, median (IQR)			2,7 (0; 9,4) ^a	1,5 (0; 4,3)
Ophør pga. Bivirkninger, n (%)	0 (0%)	1 ^b	0	0
Tromboemboli	0	0	0	0
Haem-A QoL total score, voksne patienter (ændring fra baseline), gennemsnit	Ikke oplyst for subgruppe	Ikke oplyst for subgruppe	-	-3.02
Haemo-QoL total score, ungdom (ændring fra baseline), gennemsnit	Ikke oplyst for subgruppe	Ikke oplyst for subgruppe	NA	NA

^aFra observationelt studie [8]

^bMeningeom, som blev vurderet ikke relateret til behandlingen.

3.1.8.1 Årlig blødningsrate (kritisk)

Effektmålet blødningsrate er i protokollen for behandlingsvejledningen defineret som den mediane årlige blødningsrate ("annual bleeding rate", ABR). ABR dækker over det samlede antal blødninger (spontane, led- og livstruende), som patienten rapporterer i studieperioden. Mindste kliniske relevante forskel er vurderet til 3 hændelser [3].

Den mediane ABR for patienter med hæmofili A i BASIS studiet var efter 12 måneders behandling med marstacimab

den forudgående 6 måneders observationelle fase, hvor deltagerne havde fået profylaktisk behandling med FVIII-præparater (n=65). I tillægsstudiet OLE findes data for 58 patienter (med både hæmofili A og B), som valgte at fortsætte på marstacimab med en samlet opfølgningstid på gennemsnitligt

Den mediane ABR for alle patienterne (n=63) i emicizumab profylakse (gruppe D) var 1,5 (IQR 0; 4,3) efter 33 ugers behandling [6] sammenlignet med 2,7 (IQR 0; 9,4) i den



forudgående 30 ugers profylaktiske behandling med FVIII-præparater i det observationelle studiet (n=48) [8].

Forskellen på de to mediane ABR ($2,03 - 1,5 = 0,53$) overstiger ikke den mindste kliniske relevante forskel. De relative reduktioner i ABR er sammenlignelige for studierne.

ABR for det samlede antal blødninger blev defineret ens i BASIS og HAVEN 3, men effektmålet blev vurderet efter 52 uger i BASIS og efter 24 uger i HAVEN 3, hvilket kan påvirke sammenligneligheden af resultaterne. Ydermere bemærkes at ABR inden behandling i de to studier er forskellig, hhv. 3,89 (marstacimab) og 2,7 (emicizumab).

Fagudvalgets vurdering

Marstacimab og emicizumab har sammenlignelige effekter på årlig blødningsrate i studierne.

3.1.8.2 Ophør pga. bivirkninger (kritisk)

I BASIS studiet ophørte ingen patienter pga. bivirkning til marstacimab. Én deltager stoppede behandlingen pga. meningeom, som blev vurderet ikke-behandlingsrelateret. Der blev rapporteret om alvorlige uønskede hændelser for 6 patienter (9 %). En af disse hændelser (læghævelse) blev initialt vurderet som behandlingsrelateret, men yderligere diagnostik afkræftede at der var tale om blødning eller trombose.

I alt rapporteres om 262 uønskede hændelser under marstacimab behandlingen (opgøres af ansøger for den samlede gruppe med både hæmofili A og B), heraf 10,8% relateret til injektionsstedet. De uønskede hændelser beskrives som milde og kortvarige.

I HAVEN 3 studiet [6] ophørte ingen patienter pga. bivirkninger til emicizumab. I alt forekom bivirkninger 236 gange hos de 63 patienter, der var i tidligere profylaktisk behandling, heraf 32% relateret til injektionsstedet. Der blev ikke rapporteret om behandlingsrelaterede alvorlige bivirkninger.

Fagudvalgets vurdering

Der er ikke en klinisk relevant forskel i behandlingsophør pga. bivirkninger mellem marstacimab og emicizumab.

3.1.8.3 Tromboemboli (vigtigt)

I BASIS studiet forekom ingen alvorlig tromboembolier under de 12 måneders intervention med marstacimab,

[REDACTED]

I HAVEN 3 forekom ingen alvorlige venøs tromboembolier under behandlingen med emicizumab [6].



Fagudvalgets vurdering

Der er ikke en klinisk relevant forskel i antallet af tromboembolier mellem BASIS og HAVEN 3 studierne.

[REDACTED]. Der lægges vægt på at tromboserisikoen for marstacimab ikke er belyst ved risikosituationer, herunder akut sygdom og kirurgi. Endeligt fremhæves at langtidssikkerhedsdata inkl. tromboemboli er sparsom (uddybes i afsnittet "Andre overvejelser").

3.1.8.4 Livskvalitet (vigtigt)

I BASIS studiet blev den gennemsnitlige ændring i livskvalitet efter 12 måneders behandling med marstacimab opgjort som ændring fra baseline for den samlede gruppe med både hæmofili A og B i tidligere profylaktisk behandling. For patienter på 17 år eller derover blev livskvaliteten forbedret med gennemsnitligt [REDACTED] målt på Haem-A-QoL efter 12 måneders marstacimab behandling. For unge under 17 år var forbedringen i livskvalitet [REDACTED] målt på Haemo-QoL skala efter 12 måneders marstacimab behandling.

I HAVEN 3 studiet blev den gennemsnitlige ændring i livskvalitet efter 25 ugers behandling med emicizumab forbedret med gennemsnitligt -3,02 fra baseline målt på Haem-A-QoL skala [11]

Forskellen på de to haem-A-QoL (-5,0 – -3,02 = -1,98).

Fagudvalgets vurdering

Det er vanskeligt at sammenligne grupperne, når både hæmofili A og B var inkluderet i livskvalitet data for marstacimab. Den umiddelbare vurdering er at forbedring i livskvalitet er sammenlignelig i de to studier.

3.1.9 Evidensens kvalitet

Sammenligningsgrundlaget er to ukontrollerede behandlingsarme, hvilket medfører en meget lav kvalitet af evidensen. Evidensen nedgraderes yderligere to niveauer for effektmålet ABR grundet selvrapportering og upræcist estimat (brede konfidensintervaller).

3.2 Hæmofili B

3.2.1 Overblik over studier

Nedenfor beskriver og vurderer Medicinrådet den litteratur, som ligger til grund for vurderingen, se Tabel 3-4. Data i tabellen udgøres af selekterede behandlingsarme fra de respektive studier med patientpopulation og intervention, der er relevant for indeværende ansøgning og de dertil hørende kliniske spørgsmål.



Tabel 3-4. Overblik over studier, som indgår i tillægsvurderingen til hæmofili B

Studienavn [NCT-nummer]	Population	Intervention	Komparator	Relevante effektmål
BASIS, NCT03938792	18 patienter med svær hæmofili B uden inhibitorer. Alder 12-74 år. Forudgående profylaktisk behandling.	Marstacimab startdosis på 300 mg subkutan efterfulgt af vedligeholdelses dosis på 150 mg subkutan én gang ugentligt. Varighed: 12 mdr.	Faktorbehandling i 6-mdr. observationsperiode	ABR Inhibitorer Anafylaksi Livskvalitet Tromboemboli Ophør pga. bivirkninger
B-LONG (NCT01027364) [7,12]	63 patienter med svær hæmofili B uden inhibitorer. Alder ≥12 år. Forudgående on- demand eller profylaktisk behandling.	Eftrenonacog alfa 50 IU/kg én gang ugentligt. Varighed: 12 mdr. (median)	Baseline	ABR Inhibitorer Anafylaksi Livskvalitet

3.2.2 BASIS (marstacimab)

Se afsnit 3.1.1.1.

3.2.3 B-LONG (eftrenonacog alfa)

B-LONG [7] er et fase 3, ukontrolleret, åbent studie, der vurderer effekten af eftrenonacog alfa som profylaktisk, on-demand eller perioperativ behandling hos patienter på 12 år eller derover år med svær hæmofili ($\leq 2\%$ faktor aktivitet). Patienter, der tidligere havde modtaget profylaktisk behandling med faktor-præparater samt nogle af patienterne med tidligere on-demand behandling blev allokert til profylaktisk behandling med eftrenonacog alfa, enten med fast interval én gang ugentlig med variabel dosering startende på 50 IU/kg (gruppe 1), eller variabel interval (startende hver 10. dag) med fast dosering på 100 IU/kg (gruppe 2). Justeringen blev tilpasset ud fra faktormålinger eller ud fra en klinisk vurdering. For de resterende patienter med tidligere on-demand behandling blev behandlingen med eftrenonacog alfa givet som on-demand (gruppe 3) eller udelukkende perioperativt (gruppe 4). Til indeværende ansøgning vurderes kun data fra de 63 patienter i gruppe 1, da denne gruppe indeholder de tidligere profylaktisk behandlede patienter (53 %) (samt on-demand (47 %)) samtidig med, at behandlingsalgoritmen bedst afspejler dansk klinisk praksis [2].

3.2.4 Baseline karakteristik

Tabel 3-5. Baseline karakteristik for patienter i inkluderede studier for hæmofili B



	Marstacimab	Eftrenonacog alfa
Studie	BASIS (non-inhibitor, tidligere profylakse population))	B-LONG [7] (Gruppe 1)
Antal patienter inkluderet	18	63
Hæmofili type, n (%)		
Hæmofili A	0	0
Hæmofili B	18 (100)	63 (100)
Alder, år		
Median (min; max)	■	28 (12; 71)
≥12 til <18, n (%)	■	6 (9,8)
>18, n (%)	■	55 (90,2)
Hæmofiligrad, n (%)		
Mild	0	0
Moderat	0	13 (21)
Svær	18 (100)	50 (79)
Behandling med profylakse før inklusion, n (%)	18 (100)	33 (53,2)
Køn, n (%)		
Mand	18 (100)	63 (100)
Herkomst, n (%)		
Asiatisk	■	7 (11,1)
Sort eller afroamerikansk	■	7 (11,1)
Hvid	■	41 (65,1)
Ikke rapporteret	■	NA
Andre		8 (12,7)
Vægt, kg		
Median (min; max)	■	70,2 (45; 187)
Body mass index, kg/m²		
Gennemsnit (SD)	■	NA
Antal Target Joints^a, n (%)		
0	■	27 (42,9)
≥1	■	36 (57,1)

^aTarget joint defineres som større led med ≥3 spontane blødninger indenfor en 24-ugers periode.

3.2.5 Samlet vurdering af studier

Alle patienter i BASIS havde svær hæmofili B, hvorimod 20% i B-LONG havde moderat hæmofili B. Forskellen kan skyldes, at B-LONG også inkluderede patienter i tidligere on-demand behandling i den udvalgte behandlingsarm, hvilket også afspejles i en ABR på 10,5 sammenlignet med ABR på ■ i BASIS (se Tabel 3-6).



3.2.6 Databehandling og analyse

Databehandlingen er foretaget på baggrund af en indirekte naiv sammenligning i mellem studierne.

3.2.7 Resultater pr. effektmål

"Kan subkutan behandling med marstacimab indplaceres som alternativ til intravenøs behandling med eftrenonacog alfa hos patienter med svær hæmofili B, som har vanskelige veneadgang?"

Tabel 3-6 viser resultater for alle effektmål der vedrørende det kliniske spørgsmål til hæmofili B. Resultater og vurdering af de kritiske og vigtige effektmål følger nedenfor.

Tabel 3-6. Resultater for effektmål for hæmofili B

Effektmål	Marstacimab		Eftrenonacog alfa [7,12] Tidligere profylakse og on-demand gruppe	
	Observationelle periode (n=18)	Intervention (n=18)	Baseline (n=63)	Intervention (n=61)
Varighed	26 uger	52 uger	-	52 uger (gns.)
ABR, alle blødninger, median (IQR)	■	■	10,5 (0; 21) 2,5 (0; 21) ^a	3,1 (2,4; 4,0)
Inhibitorer	NA	0		0
Anafylaksi	NA	0		0
Alvorlig venøs tromboemboli	■	■		0
Haem-A QoL total score, voksne patienter (ændring fra baseline), Gennemsnit (SD)	Ikke oplyst for subgruppe	Ikke oplyst for subgruppe		-5,5 (6,7) ^a
Haemo-QoL total score, ungdom (ændring fra baseline) Gennemsnit (95% CI)	Ikke oplyst for subgruppe	Ikke oplyst for subgruppe		NA

^aFor patienter i profylaktisk behandling før studiestart (n=33).



3.2.7.1 Årlig blødningsrate (kritisk)

Den mediane ABR i BASIS-studiet var under 12 måneder behandling med marstacimab

For eftrenonacog alfa var den mediane ABR 3,1 (IQR 2,4; 4,0) efter 12 måneders behandling [7]. Ved baseline i dette studie var ABR 2,5 (min; max 0; 21) for subgruppen på tidligere profylaktisk behandling (n=33), mens den var 10,5 for den samlede gruppe af profylakse og on-demand (n=63). I studiet blev ikke opgjort behandlede blødninger.

Fagudvalgets vurdering

Det er ikke muligt at sammenligne effekten af marstacimab og eftrenonacog alfa på det foreliggende datagrundlag, da B-LONG opgøres for den samlede gruppe på tidligere on-demand og profylaktisk behandling. Umiddelbart ser effekten af marstacimab ud til at være sammenlignelig med faktorterapi i den forudgående observationelle periode.

3.2.7.2 Inhibitor (kritisk), anafylaksi (kritisk) og tromboemboli (vigtig)

Der var ingen tilfælde af inhibitorer, anafylaksi eller tromboembolier under behandlingen med marstacimab eller eftrenonacog alfa [7].

Fagudvalgets vurdering

For overvejelser vedrørende tromboemboli, se afsnit 3.3 "Andre overvejelser".

3.2.7.3 Livskvalitet (vigtig)

Der foreligger ikke resultater for marstacimabs effekt på livskvalitet for subgruppen med hæmofili B (n=18). Marstacimabs effekt på den samlede population af hæmofili A og B rapporteres under punkt 3.3.4.

For eftrenonacog alfa er livskvalitet rapporteret for voksne på den sygdomsspecifikke livskvalitetsskala HAEMOA-QOL. De gennemsnitlige ændringer i livskvalitet for de patienter, der inden interventionen var i profylaktisk behandling med andre faktorpræparater, var i gennemsnit forbedret med $-5,5 \pm 6,7$ (SD) fra uge 0 til uge 26 (HAEMO-A-QoL) (n=18) [12].

Fagudvalgets vurdering

Idet der ikke foreligger data for hæmofili B subgruppen behandlet med marstacimab kan fagudvalget ikke vurdere om effekten på livskvalitet er sammenlignelig for de to lægemidler.



3.2.7.4 Øvrige sikkerhedsdata

Ansøger oplyser at der opstod én alvorlig uønsket hændelse under marstacimab, som blev vurderet til at være ikke-behandlingsrelateret. Ingen deltagere stoppede behandlingen pga. bivirkninger.

Under behandling med eftrenonacog alfa [7] opstod alvorlige uønskede hændelser for fem patienter (8%) i den relevante behandlingsgruppe. I hele studiepopulationen ophørte eftrenonacog alfa behandlingen hos én deltager pga. en alvorlig uønsket hændelse, som blev vurderet til at være behandlingsrelateret (det er ikke oplyst, hvilken behandlingsgruppen vedkomne tilhørte).

3.2.8 Evidensens kvalitet

Sammenligningsgrundlaget er to ukontrollerede behandlingsarme, hvilket medfører en meget lav kvalitet af evidensen. Evidensen nedgraderes yderligere to niveauer for effektmålet ABR grundet selvrapportering og upræcist estimat (brede konfidensintervaller).

3.3 Andre overvejelser

Dosisøgning af marstacimab

Marstacimab doseres uafhængig af vægt på 150 mg ugentligt. I produktresuméet beskrives at dosisjustering til 300 mg ugentligt kan overvejes til patienter med en vægt på ≥ 50 kg, hvis sundhedspersonalet vurderer, at blødning ikke er under kontrol i tilstrækkelig grad [5]. I BASIS studiet tillod man dosisøgning efter 6 måneders marstacimab behandling hos patienter med en vægt over 50 kg ved to eller flere blødninger som krævede faktorterapi. For gruppen med tidligere profylaktisk behandling forekom dosisøgning til 300 mg ugentligt for 5 patienter med hæmofili A (7,7%) og 6 (33%) med hæmofili B.

Fagudvalget vurderer, at de vil være forbeholdne for en dosisøgning af marstacimab til 300 mg grundet det lille erfaringsgrundlag.

Sikkerhedsprofil for lægemidlerne

Sikkerhedsdata i produktresuméet for marstacimab baseres på alle 116 deltagere i BASIS studiet samt de 87 der var med i forlængelsesstudiet på skæringsdatoen for data [5]. Her berettes ikke om tromboemboliske hændelser.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] fik en rask

forsøgsdeltager i et bioækvivalens studie en dyb venetrombose og en lungeemboli ni dage efter eksponering for 300 mg marstacimab (og 29 dage efter en COVID-vaccine) [13]. I produktresuméet anbefales at tage højde for fordele/risiko-forholdet ved anvendelse af marstacimab hos patienter med anamnese for tromboemboli [5].



Sikkerhedsdata i produktresuméet for emicizumab [14] baseres på 444 patienter fra de kliniske fase tre studier samt data fra overvågning efter markedsføring. Der er rapporteret om tre tilfælde af trombotiske mikroangiopatier og to tilfælde af trombotiske hændelser i de kliniske studier, alle patienter var i samtidig behandling med aPCC (et lægemiddel med *bypassing* aktivitet) i høj dosering.

Fagudvalget vurderer, at den manglende erfaring med marstacimab til patienter med tromboembolisk risikoprofil (eksklusionskriterie i studiet), det sparsomme datagrundlag

vil medføre, at lægemidlet ud fra et forsigtighedsprincip ikke vil blive ordineret til patienter med kardiovaskulær risikofaktorer inkl. alder, rygning, hypertension.

Skift fra anden behandling til marstacimab

I produktresuméet angives at marstacimab kan påbegyndes når som helst efter seponering af faktorterapi [5]. Der foreligger ingen klinisk data, der kan vejlede omkring skift fra ikke-faktor baseret terapi, herunder emicizumab, til marstacimab. Der foreslås i produktresuméet en udvaskningsperiode på mindst fem halveringstider for det tidligere lægemiddel før marstacimab påbegyndes. Der kan være behov for understøttende hæmostatisk behandling i udvaskningsperioden. Emicizumab har en halveringstid på ca. 4-5 uger [5] svarende til en udvaskningsperiode på 5-6 måneder.

Fagudvalget anbefaler ikke et aktivt skifte fra emicizumab til marstacimab grundet den lange udvaskningsperiode og bekymring for blødningsrisiko under skiftet, herunder manglende klarhed omkring understøttende hæmostatisk behandling.

Håndtering ved operationer og akut sygdom

Marstacimabs sikkerhed og virkning er ikke blevet formelt undersøgt i forbindelse med operationer. Patienter i de kliniske studier har fået foretaget mindre kirurgiske indgreb uden at seponere profylakse. Ved større operationer anbefales det i produktresuméet at seponere marstacimab 6-12 dage før og iværksætte behandling med faktorterapi i henhold til lokal behandlingsstandard.

Der er begrænset erfaring med marstacimab til patienter med akut svær sygdom. Producenten anbefaler, at fordele/risiko ved fortsat behandling overvejes ved akut svær sygdom og at patienten skal monitoreres for tidlige tegn på trombose [5].

Patienter fik foretaget kirurgiske indgreb uden seponering af emicizumab-profylakse i de kliniske studier, og håndtering og sikkerhed i forbindelse med kirurgi er velunderbygget [15]. Der er ikke forholdsregler vedrørende emicizumab og akut sygdom i produktresuméet [14].

Sikkerheden af eftrenonacog alfa er velundersøgt ved operationer, hvor det hæmostatiske respons er blevet klassificeret som fremragende/godt [16].



4. Medicinrådets kliniske vurdering af lægemidler

4.1 Hæmofili A

Medicinrådet vurderer, at marstacimab ikke kan ligestilles med emicizumab til patienter med hæmofili A og complianceproblemer eller vanskelig veneadgang.

Medicinrådet vurderer, at den forebyggende effekt mod blødninger er sammenlignelig, men lægger vægt på:

- Manglende viden omkring sikkerhed og håndtering ved akut sygdom og større kirurgi (pauseres mindst 6 dage før indgrebet)
- Risiko for trombose hos patienter med risikofaktorer
- Manglende erfaring med skift fra emicizumab, der muligvis bør seponeres 5-6 måneder inden start af behandling med marstacimab
- Sparsomme sikkerhedsdata sammenlignet med eksisterende behandling

I sjældne tilfælde tåles behandlingen med emicizumab ikke og marstacimab kan da overvejes og indplaceres derfor i behandlingsvejledningen som vist i tabel 4-1 og 4-2.

Tabel 4-1. Ligestillede lægemidler til patienter i profylaktisk behandling, der skifter pga. compliance eller blødninger

Anbefaling	Lægemidler
Anvend	Efanesoctocog alfa (Altuvect) Emicizumab (Hemlibra)
Overvej	Marstacimab (Hypavzi) ¹ – kun patienter ≥ 12 år

¹ Marstacimab kun EMA indikation til voksne og børn ≥ 12 år.

Tabel 4-2. Lægemidler til patienter i profylaktisk behandling med vanskelig veneadgang

Anbefaling	Lægemidler
Anvend	Emicizumab (Hemlibra)
Overvej	Marstacimab (Hypavzi) ¹ – kun patienter ≥ 12 år

¹ Marstacimab kun EMA indikation til voksne og børn ≥ 12 år.



4.2 Hæmofili B

Medicinerådet vurderer, at marstacimab kan anvendes til patienter med hæmofili B med complianceproblemer eller vanskelig veneadgang, hvor profylakse ikke kan gennemføres med ugentlige intravenøse injektioner.

Medicinerådet vurderer, at den forebyggende effekt mod blødninger er sammenlignelig med faktorterapi, men lægger vægt på:

- Manglende viden omkring sikkerhed og håndtering ved akut sygdom og større kirurgi (pauseres mindst 6 dage før indgrebet)
- Risiko for trombose hos patienter med risikofaktorer
- Sparsomme sikkerhedsdata sammenlignet med eksisterende behandling

For at sikre et subkutan alternativ til patienter med hæmofili B indplaceres marstacimab i behandlingsvejledningen som vist i Tabel 4-3.

Medicinerådet kan på baggrund af lægemiddelomkostningerne (herunder den tilbudte pris) vurdere, at et lægemiddel, som er indplaceret i behandlingsvejledningen, ikke skal anbefales i en lægemiddelrekommandation, hvis der ikke er et rimeligt forhold mellem effekt og omkostninger.

Tabel 4-3. Lægemiddel til patienter med vanskelig veneadgang eller complianceproblemer

Anbefaling	Lægemidler
Anvend	Marstacimab (Hypavzi) ¹ patienter ≥ 12 år

¹ Marstacimab kun EMA indikation til voksne og børn ≥ 12 år.



5. Referencer

1. Medicinrådet. Medicinrådets lægemiddelrekommandation og behandlingsvejledning vedrørende lægemidler til hæmofili A [internet]. 2022 [citeret 1. juli 2025]. Tilgængelig fra: <https://filer.medicinraadet.dk/media/ixqbekv4/medicnr%C3%A5dets-l%C3%A6gemiddelrek-og-beh-vejl-vedr-l%C3%A6gemidler-til-h%C3%A6mofili-a-version-1-1.pdf>
2. Medicinrådet. Opsummering af Medicinrådets evidensgennemgang for hæmofili B [internet]. 2023. [citeret 1. juli 2025]. Tilgængelig fra: <https://filer.medicinraadet.dk/media/ta1lvjty/medicinradets-laegemiddelrekommandation-for-faktor-ix-praeparater-haemofili-b-version-1-2.pdf>
3. Medicinrådet. Protokol for Medicinrådets behandlingsvejledning for haemofili A [internet]. 2018. [citeret 1. juli 2025]. Tilgængelig fra: https://filer.medicinraadet.dk/media/hxhbyxhn/protokol-for-behandlingsvejledning-for-haemofili-a-vers-10_adlegacy.pdf
4. Medicinrådet. Protokol for Medicinrådets behandlingsvejledning for haemofili B [internet]. 2018 [citeret 1. juli 2025]. Tilgængelig fra: https://filer.medicinraadet.dk/media/bcceirn5/protokol-behandlingsvejledning-haemofili-b-10_adlegacy.pdf
5. European Medicines Agency (EMA). Produktresumé - Hympavzi [internet]. [citeret 1. juli 2025]. Tilgængelig fra: https://www.ema.europa.eu/da/documents/product-information/hympavzi-epar-product-information_da.pdf
6. Mahlangu J, Oldenburg J, Paz-Priel I, Negrier C, Niggli M, Mancuso ME, et al. Emicizumab Prophylaxis in Patients Who Have Hemophilia A without Inhibitors. New England Journal of Medicine [internet]. 2018 [citeret 9. juni 2025];379(9):811–22. Tilgængelig fra: <https://www.nejm.org/doi/pdf/10.1056/NEJMoa1803550>
7. Powell JS, Pasi KJ, Ragni M V., Ozelo MC, Valentino LA, Mahlangu JN, et al. Phase 3 Study of Recombinant Factor IX Fc Fusion Protein in Hemophilia B. New England Journal of Medicine [internet]. 2013 [citeret 9. juni 2025];369(24):2313–23. Tilgængelig fra: <https://www.nejm.org/doi/pdf/10.1056/NEJMoa1305074>
8. Kruse-Jarres R, Oldenburg J, Santagostino E, Shima M, Kempton CL, Kessler CM, et al. Bleeding and safety outcomes in persons with haemophilia A without inhibitors: Results from a prospective non-interventional study in a real-world setting. Haemophilia [internet]. 2019 [citeret 9. juni 2025];25(2):213–20. Tilgængelig fra: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/30724422/>



9. Study Details | Study of the Efficacy and Safety PF-06741086 in Adult and Teenage Participants With Severe Hemophilia A or Moderately Severe to Severe Hemophilia B | ClinicalTrials.gov [internet]. [citeret 9. juni 2025]. Tilgængelig fra: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03938792?term=NCT03938792&rank=1>.
10. Study Details | Open-Label Extension Study of Marstacimab in Hemophilia Participants With or Without Inhibitors | ClinicalTrials.gov [internet]. [citeret 9. juni 2025]. Tilgængelig fra: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05145127>
11. European Medicines Agency (EMA). Assessment report - Hemlibra [internet]. 2018 [citeret 1. juli 2025]. Tilgængelig fra: https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/hemlibra-epar-public-assessment-report_en.pdf
12. Wyrwich KW, Krishnan S, Auguste P, Poon JL, von Maltzahn R, Yu R, et al. Changes in health-related quality of life with treatment of longer-acting clotting factors: results in the A-LONG and B-LONG clinical studies. Haemophilia [internet]. 2016 [citeret 9. juni 2025];22(6):866–72. Tilgængelig fra: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/27385432/>
13. European Medicines Agency (EMA). Assessment report - Hymoviz [internet]. 2024. [citeret 1. juli 2025]. Tilgængelig fra: https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/hymoviz-epar-public-assessment-report_en.pdf
14. European Medicines Agency (EMA). Produktresumé - Hemlibra [internet]. [citeret 1. juli 2025]. Tilgængelig fra: https://www.ema.europa.eu/da/documents/product-information/hemlibra-epar-product-information_da.pdf
15. Castaman G, Croteau SE, Quon D, Lee L, Polito L, Jiménez-Yuste V. A literature review of major surgery experience with emicizumab in people with hemophilia A without factor VIII inhibitors. Res Pract Thromb Haemost [internet]. 2025 [citeret 27. juni 2025];9(1). Tilgængelig fra: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/40093965/>
16. European Medicines Agency (EMA). Produktresumé - Alprolix [internet]. [citeret 1. juli 2025]. Tilgængelig fra: https://www.ema.europa.eu/da/documents/product-information/alprolix-epar-product-information_da.pdf



6. Sammensætning af fagudvalg

Forvaltningslovens § 3, stk. 2/ § 4, stk. 2, har været anvendt i forbindelse med udpegning af medlemmer til dette fagudvalg.

Medicinrådets fagudvalg vedrørende blødersygdomme	
Forperson	Indstillet af
Eva Funding <i>Overlæge</i>	Lægevidenskabelige Selskaber, Dansk Hæmatologisk Selskab og udpeget af Region Hovedstaden
Medlemmer	Udpeget af
Peter Buur van Kooten Niekerk (næstforperson) <i>Afdelingslæge</i>	Region Midtjylland – behandling af voksne
Torben Stamm <i>Afdelingslæge</i>	Region Midtjylland – behandling af børn
Rune Larsen <i>Overlæge</i>	Region Sjælland
Rasmus Huan Olsen <i>Afdelingslæge, klinisk lektor</i>	Dansk Selskab for Klinisk Farmakologi
Rikke Holck Hansen <i>Farmaceut</i>	Dansk Selskab for Sygehusapoteksledelse
Johanne Andersen Højbjerg <i>Afdelingslæge</i>	Dansk Selskab for Klinisk Biokemi
Anders Abildgaard <i>Afdelingslæge</i>	Dansk Selskab for Trombose og Hæmostase
Ole Mark Patient/patientrepræsentant	Danske Patienter
Christian Krog Madsen Patient/patientrepræsentant	Danske Patienter



7. Versionslog

Versionslog		
Version	Dato	Ændring
1.0	3. september 2025	Godkendt af Medicinrådet.

Medicinrådets sekretariat

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

+ 45 70 10 36 00
medicinraadet@medicinraadet.dk

www.medicinraadet.dk