

Opsummering af Medicinrådets evidens- gennemgang vedrørende lægemidler til hæmofili B

Medicinrådets behandlingsvejledning

Beh



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 behandlingsvejledninger

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. Relevante overvejelser er typisk:

- Hvilke lægemidler udgør den bedste behandling, og betragtes nogle af dem som ligeværdige alternativer til den relevante patientgruppe?
- Hvilke patienter kan behandles med lægemidlerne?

Desuden adresserer behandlingsvejledningen, hvilke kriterier der er for anvendelse af lægemidlerne:

- Kriterier for opstart af behandling.
- Kriterier for skift af behandling.
- Kriterier for stop eller dosisjustering af behandling.

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

Medicinrådets opsummering (dette dokument) baseres på den senest opdaterede evidensgennemgang. Heri indgår den samlede kliniske vurdering af lægemidlerne samt det kliniske sammenligningsgrundlag, der viser dosis og behandlingsperiode for de ligestillede lægemidler. Dette danner sammen med en eventuel *omkostningsanalyse* baggrund for Medicinrådets *lægemiddelrekommandation* til regionerne.

I opsummeringen indplaceres lægemidlerne i en eller flere af følgende kategorier:



Anvend

Medicinrådet vurderer, at disse lægemidler/behandlingsregimer er klinisk ligestillede og dermed mulige førstevalgspræparater som standardbehandling til patientpopulationen i det kliniske spørgsmål.

Procentsatsen beskriver den andel af patientpopulationen i det kliniske spørgsmål, der som minimum bør starte behandling med det lægemiddel, der bliver førstevalg i lægemiddelrekommandationen.

Overvej

Medicinrådet vurderer, at disse lægemidler/behandlingsregimer *ikke* er at betragte som klinisk ligestillede med de lægemidler/behandlingsregimer, som er angivet under "anvend". Medicinrådet anbefaler derfor kun at anvende lægemidler/ behandlingsregimer angivet under "overvej", hvis det ikke er muligt at anvende mindst ét af de ligestillede lægemidler under "anvend".

Anvend ikke rutinemæssigt

Medicinrådet vurderer, at disse lægemidler/behandlingsregimer angivet er forbundet med flere ulemper og færre positive effekter end lægemidlerne under "anvend" (og "overvej"). Derfor anbefaler Medicinrådet, at lægemidlerne angivet under "anvend ikke rutinemæssigt" kun anvendes i særlige tilfælde.

Anvend ikke

Medicinrådet vurderer, at disse lægemidler/behandlingsregimer er forbundet med væsentlige ulemper. Derfor anbefaler Medicinrådet, at lægemidlerne angivet under "anvend ikke" ikke anvendes.

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

Dokumentoplysninger

Godkendelsesdato	21. januar 2026
------------------	-----------------

Dokumentnummer	232702
----------------	--------

Versionsnummer	1.3
----------------	-----

© Medicinrådet, 2026
Publikationen kan frit refereres
med tydelig kildeangivelse.

Sprog: dansk
Format: pdf
Udgivet af Medicinrådet, 22. januar 2026



Om opsummeringen

Opsummeringen indeholder Medicinrådets anbefalinger for valg af lægemidler til patienter med hæmofili B, herunder patienter som har udviklet inhibitor mod et FIX-præparat.

Anbefalingerne er baseret på Medicinrådets tillæg for [marstacimab](#) og [concizumab](#) samt [Medicinrådets gennemgang af terapiområdet hæmofili B - version 1.0 fra juni 2018](#).

Denne version 1.3 er opdateret med følgende:

- Concizumab indikationsudvidelse til patienter ≥ 12 år med hæmofili B (uden inhibitor) er direkte indplaceret i behandlingsvejledningen i kategorien: Patienter med vanskelig veneadgang eller complianceproblemer, hvor ugentlig intravenøs injektion med faktor IX (FIX)-præparater ikke er mulig (tabel 3).
- Klinisk sammenligningsgrundlag er udarbejdet med sammenligningsdosis for concizumab og marstacimab (tabel 6)

Medicinrådets kliniske vurdering

Medicinrådets kliniske vurdering er baseret på en samlet gennemgang af lægemidlernes effekt og sikkerhed og andre overvejelser om valg mellem lægemidlerne.

Hæmofili B

Hæmofili B skyldes mangel på faktor IX (FIX) – en koagulationsfaktor, som er nødvendig for at standse blødninger. Medicinrådets anbefalinger omfatter valg af lægemidler til profylaktisk (forebyggende) behandling og on-demand behandling (behandling ved behov) til patienter, som har udviklet neutraliserende antistoffer (inhibitor) mod et FIX-præparat.

Profylaktisk behandling

Ved hæmofili B ses spontane led- og muskelblødninger, der på sigt medfører svære ledforandringer, invaliditet og kroniske smerter. Målet med den profylaktiske behandling er at undgå ledblødninger og livstruende blødninger. Patienter med svær hæmofili B og nogle patienter med moderat hæmofili B får tilbudt profylaktisk hjemmebehandling med et FIX-præparat med forlænget halveringstid (EHL), der typisk anvendes en gang om ugen.



Patienter i profylaktisk behandling

- Anvend et af de ligestillede EHL-præparater (tabel 1).
- Overvej et standard FIX-præparat, hvis patienten ikke kan tåle EHL.

Tabel 1. Ligestillede lægemidler til patienter i profylaktisk behandling

Anbefaling	Lægemiddel (præparat)
Anvend et af følgende ligestillede lægemidler som førstevalg	<u>EHL-præparater</u> Albutrepenonacog alfa (Idelvion) Eftrenonacog alfa (Alprolix) Nonacog beta pegol (Refixia)
Overvej	<u>Standard FIX</u> Nonacog alfa (BeneFix)

Patienter i profylaktisk behandling med høj blødningsrisiko eller gennembrudsblødninger (behov for høj dalværdi)

- Skift til et EHL-præparat med høj dalværdi (albutrepenonacog alfa eller nonacog beta pegol) ved:
 - Høj blødningsrisiko og/eller
 - Gennembrudsblødninger på den eksisterende profylakse.

Tabel 2. Ligestillede lægemidler til patienter med høj blødningsrisiko eller gennembrudsblødninger (behov for profylaktisk behandling med høj dalværdi)

Anbefaling	Lægemiddel (præparat)
Anvend et af følgende ligestillede lægemidler som førstevalg	<u>EHL-præparater med høj dalværdi</u> Albutrepenonacog alfa (Idelvion) Nonacog beta pegol (Refixia)



Patienter i profylaktisk behandling med vanskelig veneadgang eller complianceproblemer

- Anvend profylakse med concizumab eller marstacimab til patienter fra 12 år med vanskelig veneadgang eller complianceproblemer, hvor ugentlig intravenøs injektion ikke er mulig.

Tabel 3. Lægemiddel til patienter med vanskelig veneadgang eller complianceproblemer

Anbefaling	Lægemiddel (præparat)
Anvend	Concizumab (Alhemo) ¹ – kun patienter ≥ 12 år Marstacimab (Hympavzi) ¹ – kun patienter ≥ 12 år

¹ Lægemidlerne har kun EMA-indikation til voksne og børn ≥ 12 år.

Medicinrådet 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.

On-demandbehandling

On-demand betyder, at patienten tager faktormedicin ved behov, når der opstår symptomer på en blødning.

Patienter i on-demand behandling

- Anvend et af de ligestillede EHL-præparater.
- Overvej et standard FIX-præparat, hvis patienten ikke kan tåle EHL.

Tabel 4. Ligestillede lægemidler til patienter i on-demand behandling

Anbefaling	Lægemiddel (præparat)
Anvend et af følgende ligestillede lægemidler som førstevalg	EHL-præparater Albutrepenonacog alfa (Idelvion) Eftrenonacog alfa (Alprolix) Nonacog beta pegol (Refixia)
Overvej	Standard FIX Nonacog alfa (BeneFix)



Patienter med inhibitor mod FIX

Inhibitor er dannelse af neutraliserende antistoffer mod FIX, som gør FIX-præparatet uvirksomt. Patienterne vil blive tilbudt immuntolerancebehandling (ITI) med hyppige infusioner af FIX for at genvinde tolerancen for faktorterapi. Det kan tage flere år, og i den periode gives profylaktisk behandling med non-faktor terapi godkendt til indikationen. Blødninger behandles med en såkaldt *bypassing agent*, hvor eptacog alfa aktuelt er eneste godkendte præparat.

Patienter med inhibitorer i profylaktisk behandling

- Anvend profylakse med concizumab hos patienter fra 12 år, indtil tolerancen for FIX er genvundet.

Tabel 5. Lægemiddel til patienter med inhibitorer i profylakse

Anbefaling	Lægemiddel (præparat)
Anvend	Concizumab (Alhemo) ¹ – kun patienter ≥ 12 år

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

Medicinrådet 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.

Øvrige forhold vedrørende behandlingen

Profylaktisk behandling

Skift af FIX-præparat efter nyt udbud

- Skift til et billigere EHL-præparat med samme eller længere halveringstid, hvis besparelsen i lægemiddeludgifter som minimum opvejer omkostninger og ulemper for patient og sygehus.
- Da EHL-præparaterne ikke er sammenlignelige med hensyn til dalværdi, finder fagudvalget det ikke forsvarligt at skifte til et EHL-præparat med lavere dalværdi hos en velbehandlet patient.



Forholdsregler omkring non-faktorpræparater

For både concizumab og marstacimab er der risiko for trombose hos patienter med risikofaktorer samt i risikosituationer som fx akut svær sygdom og sepsis.

Der er for concizumab kun spinkel erfaring med større kirurgiske indgreb, og for marstacimab ingen erfaring. Concizumab skal pauseres mindst 4 dage før og marstacimab mindst 8 dage før et indgreb.

Skift mellem concizumab og marstacimab efter nyt udbud

- Medicinrådet anbefaler på nuværende tidspunkt ikke skift mellem concizumab og marstacimab, da der hverken er data eller klinisk erfaring hermed.
- Et skift fra marstacimab til concizumab vil kræve en udvaskningsperiode på ca. 3 måneder, hvor der kan være behov for understøttende faktorterapi. Udvasningsperioden ved skift fra concizumab til marstacimab er kortere pga. kortere halveringstid for concizumab.

On-demandbehandling

Skift af FIX-præparat efter nyt udbud

- Ved skift bør besparelsen ved lægemiddeludgifter som minimum opveje de administrative omkostninger, der er forbundet med skiftet.
- Skift, når hjemmelager er opbrugt.



Klinisk sammenligningsgrundlag

Det kliniske sammenligningsgrundlag angiver de doser, som Medicinrådet vurderer, at de ligestillede lægemidler skal sammenlignes i, når omkostningerne beregnes.

Tabel 6. Klinisk sammenligningsgrundlag for ligestillede EHL-præparater til profylakse

Lægemiddelnavn (præparat)	Sammenligningsgrundlag ugentlig dosis
Albutrepenonacog alfa (Idelvion)	35 IE/kg
Eftrenonacog alfa (Alprolix)	50 IE/kg
Nonacog beta pegol (Refixia)	40 IE/kg

Tabel 7. Klinisk sammenligningsgrundlag for ligestillede lægemidler til patienter i profylaktisk behandling, der skifter pga. høj blødningsrisiko eller gennembrudsblødninger (behov for høj dalværdi)

Lægemiddelnavn (præparat)	Sammenligningsgrundlag ugentlig dosis
Albutrepenonacog alfa (Idelvion)	35 IE/kg
Nonacog beta pegol (Refixia)	40 IE/kg

Tabel 8. Klinisk sammenligningsgrundlag for ligestillede EHL-præparater til on-demand behandling

Lægemiddelnavn (præparat)	Sammenligningsgrundlag
Albutrepenonacog alfa (Idelvion)	1 IE/kg
Eftrenonacog alfa (Alprolix)	1 IE/kg
Nonacog beta pegol (Refixia)	1 IE/kg



Tabel 9. Klinisk sammenligningsgrundlag for ligestillede lægemidler til patienter med vanskelig veneadgang eller complianceproblemer

Lægemiddel (præparat)/ vægt	Sammenligningsgrundlag - eksempler				
	25 kg	35 kg	50 kg	70 kg	90 kg
Concizumab (Alhemo)	5 mg	7 mg	10 mg	15 mg	18 mg
Daglig dosis					
Marstacimab (Hypavzi)	Ikke godkendt	150 mg	200 mg	200 mg	200 mg
Ugentlig dosis					

Omkostningsanalyse for skift af lægemiddel efter nyt udbud

Omkostningsanalyserne er ikke opdaterede, da der ikke har været ændringer i anbefalinger for skift af mellem FIX-præparater til profylakse, og udgifter ved skift af lægemidler ved on-demand behandling er marginale.



Sammensætning af fagudvalg og kontaktinformation til Medicinrådet

Se [Medicinrådets gennemgang af terapiområdet hæmofili B - version 1.0.](#)



Versionslog

Versionslog		
Version	Dato	Ændring
1.3	21. januar 2026	Ny indikationsudvidelse for concizumab indplaceret (hæmofili B uden inhibitor)
1.2	3. september 2025	Tilpasset til ny dokumentstruktur (Opsummering) Nye lægemidler indplaceret: Marstacimab og concizumab (med inhibitor) EHL anbefales fremfor standard FIX til patienter, der påbegynder profylakse og til on-demandbehandling.
1.1	22. november 2023	Patientpopulationerne opdeles ikke længere i PUP og PTP. Refixia er nu godkendt til børn under 12 år.
1.0	12. december 2018	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