

Medicinrådets anbefaling vedrørende nonacog beta pegol som standardbehandling til hæmofili B

Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet anbefaler forebyggende behandling med nonacog beta pegol (Refixia) som standardbehandling ved hæmofili B til en mindre gruppe af patienter, som har behov for et højt niveau af faktor IX i blodet (høj dalværdi). Nonacog beta pegol kan her, under hensyntagen til omkostningerne, anvendes på lige fod med albutrepenonacog alfa (Idelvion), som i øjeblikket er 1. valg til denne patientgruppe.

Nonacog beta pegol har ingen klinisk merværdi ift. eftrenonacog alfa (Alprolix), men er aktuelt dyrere. Nonacog beta pegol anbefales derfor ikke for nuværende til den generelle population med hæmofili B, som ikke har behov for høj dalværdi.

Nonacog beta pegol er ikke godkendt til børn under 12 år, hvorfor Medicinrådet ikke anbefaler lægemidlet til denne aldersgruppe.

Sygdom og behandling

Hæmofili B er en arvelig blødersygdom, der skyldes manglende faktor IX i blodet, som er nødvendig for at stoppe blødninger. Ca. 100 patienter i Danmark har sygdommen. Heraf har ca. 30 patienter faktor IX-mangel i så svær grad, at de får forebyggende hjemmebehandling med faktor IX en eller flere gange om ugen.

Tilførsel af faktor IX forebygger, at patienten oplever blødninger i muskler og led, som på sigt kan medføre invaliditet. Herudover sikrer behandlingen med faktor IX, at patienten ikke forbløder efter fx et fald eller en operation. Hyppigheden af infusioner varierer afhængig af produkt. RADS (Rådet for Anvendelse af Dyr Sygehusmedicin) har i december 2016 anbefalet de nye langtidsvirkende faktor IX-produkter, som kan gives med 7, 10 eller 14 dages interval. De langtidsvirkende produkter er dog ikke godkendt til patienter, som ikke har fået et faktor IX-produkt før. Disse patienter (typisk nydiagnosticerede mindre børn) bliver i stedet behandlet med almindeligt faktor IX, som gives 2-3 gange om ugen.

Om lægemidlet

Nonacog beta pegol er rekombinant faktor IX konjugeret til polyethylenglycol (PEG), hvilket medfører en længere virkningstid. Det er godkendt til behandling af børn og voksne fra 12 år og derover, som tidligere har været i behandling med et faktor IX-produkt. Forebyggende behandling sker som hjemmebehandling med infusion af 40 IE/kg én gang ugentligt.

Sundhedsfaglig vurdering

Forebyggende behandling med nonacog beta pegol (Refixia) ved hæmofili B giver:

- **Ingen klinisk merværdi** ift. eftrenonacog alfa (Alprolix) og albutrepenonacog alfa (Idelvion) (evidensens kvalitet er **meget lav**).
- **Ingen klinisk merværdi** for en mindre gruppe af patienter med behov for høj dalværdi ift. albutrepenonacog alfa (Idelvion), som er anbefalet til netop denne patientgruppe (evidensens kvalitet er **meget lav**).

Vurderingen omfatter patienter fra 12 år, som tidligere har været behandlet med et faktor IX-præparat.

Medicinrådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til klinisk merværdi

For den mindre gruppe patienter med behov for højt faktor IX-niveau (høj dalværdi) er omkostningerne ved behandling med nonacog beta pegol lavere end for behandling med albutrepenonacog alfa. Der er dermed et rimeligt forhold mellem meromkostninger og klinisk merværdi.

Omkostningerne ved at behandle den generelle hæmofili B population med nonacog beta pegol er betydeligt højere end for behandling med eftrenonacog alfa. Der er dermed ikke et rimeligt forhold mellem meromkostninger og klinisk merværdi.

Overvejelser om alvorlighed/forsigtighed

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

Relation til eksisterende behandlingsvejledning

Nonacog beta pegol er, klinisk set, ligeværdigt til eftrenonacog alfa og albutrepenonacog alfa, som anbefales i RADS-vejledningen fra december 2016. Omkostninger til behandling med nonacog beta pegol er på niveau med albutrepenonacog alfa, som RADS anbefaler til de patienter, som har behov for et højere faktorniveau (dalværdi). Eftrenonacog alfa har lavere behandlingsomkostninger end både albutrepenonacog alfa og nonacog beta pegol og er derfor aktuelt 1. valg til min. 75 procent af patienterne.

Tilslutning til anbefaling

Anbefalingen har tilslutning fra alle rådsmedlemmer.

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