

Medicinrådets anbefaling vedrørende emicizumab som mulig standardbehandling til hæmofili A

Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler ikke** emicizumab som mulig standardbehandling til svær hæmofili A. Emicizumab tilfører ikke nogen klinisk merværdi hos den generelle patientpopulation og har betydelige meromkostninger sammenlignet med faktor VIII-præparater.

Sygdom og behandling

Hæmofili A er en arvelig blødersygdom, hvor patienten mangler faktor VIII, som er nødvendig for at standse blødninger. Ca. 400 patienter i Danmark har sygdommen. Heraf er ca. 150 patienter i forebyggende behandling. Tilførsel af faktor VIII forebygger blødninger i muskler og led, som på sigt kan medføre invaliditet, samt forhindre at en større blødning bliver livstruende. Patienter med svær hæmofili A får forebyggende behandling med infusioner af faktor VIII typisk 2-3 gange om ugen.

Om lægemidlet

Emicizumab efterligner funktionen af faktor VIII, som patienter med hæmofili A mangler. Det sker ved, at emicizumab binder sig til andre faktorer i blodet (IXa og X), som også har betydning for blodets evne til at størkne. Emicizumab gives som subkutan injektion 1-4 gange om måneden. Blødninger, som opstår på trods af behandling med emicizumab, skal fortsat behandles med et faktor VIII-præparat.

Sundhedsfaglig vurdering

Medicinrådet vurderer, at emicizumab til patienter med svær hæmofili A giver:

- Ingen klinisk merværdi sammenlignet med standard FVIII-præparatet octocog alfa og EHL-præparatet efmorocog alfa.

Medicinrådet finder dog, at den subkutane administrationsform og det lange dosisinterval for emicizumab er en stor fordel hos patienter med:

- Vanskelig veneadgang, hvor det ikke er muligt at gennemføre profylakse med et EHL-præparat.
- Gentagne dokumenterede gennembrudsblødninger trods optimeret profylakse med et EHL-præparat.

Evidensens kvalitet er meget lav.

Medicinrådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til klinisk merværdi

Medicinrådet vurderer, at der ikke er rimeligt forhold mellem meromkostningerne og den kliniske merværdi af emicizumab sammenlignet med octocog alfa og efmorocog alfa til patienter med svær hæmofili A. Behandling med emicizumab er forbundet med betydelige meromkostninger, som udelukkende drives af lægemiddelprisen.

Overvejelser om alvorlighed/forsigtighed

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

Relation til eksisterende behandlingsvejledning

Emicizumab indgår i Medicinrådets behandlingsvejledning for hæmofili A fra den 15. maj 2019, som stemmer overens med Medicinrådets kliniske vurdering og anbefaling for emicizumab.

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.

Godkendelsesdato	19. juni 2019
Ikrafttrædelsesdato	19. juni 2019
Dokumentnummer	49442
Versionsnummer	1.0
Fagudvalgets sammensætning og sekretariatets arbejdsgruppe	Se Baggrund for Medicinrådets anbefaling vedr. emicizumab som mulig standardbehandling til hæmofili A

© Medicinrådet, 2019. Publikationen kan frit refereres med tydelig kildeangivelse.

Medicinrådet, Dampfærgevej 27-29, 3. th., 2100 København Ø

www.medicinraadet.dk

Sprog: dansk

Format: pdf

Udgivet af Medicinrådet, 19. juni 2019