

Tillæg til Medicinrådet evidensgennemgang vedrørende lægemidler til hæmofili B

*Direkte indplacering af concizumab til
patienter fra 12 år med hæmofili B (uden
inhibitor)*

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	21. januar 2026
Ikrafttrædelsesdato	21. januar 2026
Dokumentnummer	232701
Versionsnummer	1.0



Sagsoplysninger

Lægemiddel	Concizumab (Alhemo)
Indikation	Rutinemæssig profylakse af blødning hos patienter med: hæmofili B (medfødt faktor IX-mangel) i alderen 12 år eller derover.
Lægemiddelfirma	Novo Nordisk
ATC-kode	B02BX10

Sagsbehandling

Anmodning modtaget fra ansøger	23. oktober 2025
Fyldestgørende ansøgning modtaget (dag 0)	23. oktober 2025
Udkast til tillægget sendt til Amgros og virksomheden	9. januar 2026
Rådets godkendelse af tillæg	21. januar 2026
Sagsbehandlingstid (opgjort i arbejdsdage)	12 uger (60 arbejdsdage)
Fagudvalg	Fagudvalget vedrørende blødersygdomme



Indholdsfortegnelse

Begreber og forkortelser	4
1. Baggrund	5
1.1 Hæmofili B	5
1.2 Concizumab.....	6
2. Metode.....	6
3. Resultater	7
3.1 Overblik over studier	7
3.1.1 EXPLORER 8 (concizumab)	7
3.1.2 BASIS (marstacimab)	9
3.1.3 Sammenligning af baselinekarakteristika	10
3.1.4 Databehandling og analyse	11
3.2 Resultater pr. effektmål	12
3.2.1.1 Årlig blødningsrate (ABR) (kritisk).....	12
3.2.1.2 Ophør pga. bivirkninger	12
3.2.2 Tromboemboli	13
3.2.3 Livskvalitet (vigtigt)	13
3.2.4 Reaktioner på injektionsstedet	13
3.2.5 Anafylaksi og inhibitor	14
3.2.6 Evidensens kvalitet	14
3.3 Andre overvejelser	14
3.4 Øvrige forhold	14
4. Samlet vurdering	15
4.1 Klinisk sammenligningsgrundlag	16
5. Referencer	17
6. Sammensætning af fagudvalg	18
7. Versionslog	19

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

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



Begreber og forkortelser

ABR:	Årlig blødningsrate
Anti-TFPI:	Anti-vævsfaktor pathway inhibitor
APCC:	Bypassing agents
BU:	Bethesda enhed
EMA:	Det Europæiske Lægemiddelagentur (<i>European Medicines Agency</i>)
EPAR:	<i>European Public Assessment Report</i>
FDA:	<i>Food and Drug Administration</i>
FIX:	<i>Faktor IX</i>
FXa:	<i>Faktor X alfa</i>
ITC:	<i>Intention to treat</i>
ITI:	<i>Immuntolerancebehandling</i>
ITT:	<i>Intention-to-treat</i>
PGI:	<i>Patient global impression</i>
PICO:	Population, intervention, komparator og effektmål (<i>Population, Intervention, Comparator and Outcome</i>)
PP:	<i>Per-protocol</i>
RCT:	Randomiseret kontrolleret studie (<i>Randomised Controlled Trial</i>)
RR:	Relativ risiko
SD:	Standard deviation
SMD:	<i>Standardized Mean Difference</i>



1. Baggrund

Dette tillæg er udarbejdet som følge af Novo Nordisks ansøgning vedr. vurdering af en ny indikationsudvidelse for concizumab til profylaktisk behandling af patienter fra 12 år med hæmofili B. Medicinrådet har tidligere vurderet concizumab til patienter med inhibitor mod faktor IX (FIX).

Formålet er at vurdere om:

1. Concizumab kan ligestilles med marstacimab som subkutan profylakse hos patienter fra 12 år med hæmofili B, som har vanskelig veneadgang eller complianceproblemer .

Medicinrådet har foretaget vurderingen vha. en direkte indplacering af concizumab i behandlingsvejledningerne for [hæmofili B](#). Dokumentet: Opsummering af Medicinrådets evidensgennemgang bliver opdateret hermed.

1.1 Hæmofili B

- Kan concizumab ligestilles med marstacimab hos patienter fra 12 år med hæmofili B?

PICO for indplacering af concizumab i behandlingsvejledningen for hæmofili B er specificeret i Tabel 1-2. og tager udgangspunkt i Medicinrådets protokol for behandlingsvejledning for hæmofili B. .

Fagudvalget vurderer, at der er [REDACTED] med hæmofili B (uden inhibitor), som kan blive kandidater til enten concizumab eller marstacimab i nær fremtid.

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

Population	Intervention	Komparator	Effektmål
Patienter fra 12 år med hæmofili B	Concizumab profylakse	Marstacimab profylakse	Årlig blødningsrate (ABR) Ophør pga. bivirkninger Anafylaksi Tromboemboli Livskvalitet



1.2 Concizumab

Concizumab (Alhemo) er en anti-vævsfaktor pathway inhibitor (anti-TFPI), godkendt af EMA til rutinemæssig profylakse af blødning hos patienter med:

- hæmofili A (medfødt faktor VIII-mangel) i alderen 12 år eller derover.
- hæmofili B (medfødt faktor IX-mangel) i alderen 12 år eller derover.

I denne rapport vurderer Medicinrådet kun concizumab til hæmofili B. Det skyldes, at evt. relevante kandidater med hæmofili A allerede er i behandling med emicizumab og der mangler erfaring med skift til concizumab.

Concizumab har også indikationerne

- hæmofili A (medfødt faktor VIII-mangel) med FVIII-inhibitorer i alderen 12 år eller derover (vurderet af Medicinrådet 3. september 2025)
- hæmofili B (medfødt faktor IX-mangel) med FIX-inhibitorer i alderen 12 år eller derover (vurderet af Medicinrådet 3. september 2025).

Concizumab virker uafhængigt af FVIII og FIX, da det binder sig til *tissue factor pathway inhibitor* (TFPI) og forhindrer dermed TFPI-inhibition af FXa, hvilket forlænger koagulationsstartfasen (øger FXa-aktivitet) og muliggør tilstrækkelig trombindannelse til effektiv hæmostase.

Lægemidlet administreres subkutant en gang dagligt og leveres i penne med styrkerne 15, 60, 150 og 300 mg. Behandlingen optitreres i løbet af de første 4 uger, hvorpå plasmakoncentrationen måles og på denne baggrund fastsættes individuel vedligeholdelsesdosis (0,15, 0,20 eller 0,25 mg/kg) med evt. yderligere måling og justering efter 8 uger. Produktresuméet indeholder en omfattende vejledning og skemaer for dosering ift. kropsvægt og individuel dosis.

Lægemidlet skal opbevares på køl (2-8 °C). Efter ibrugtagning er holdbarheden 4 uger udenfor køleskab..

2. Metode

Virksomheden har indsendt dokumentation for concizumab i form af et fase 3 studie (EXPLORER 8), herunder subgruppedata for patienter med hæmofili B.

Medicinrådet vurderer, at dokumentationen er udarbejdet i overensstemmelse med Medicinrådets metoder og kan danne grundlag for nærværende tillæg.



3. Resultater

3.1 Overblik over studier

Nedenfor beskriver og vurderer Medicinrådet den litteratur, som ligger til grund for vurderingen, se Tabel 3-1.

Tabel 3-1. Studie af concizumab hos patienter med hæmofili B og inhibitor

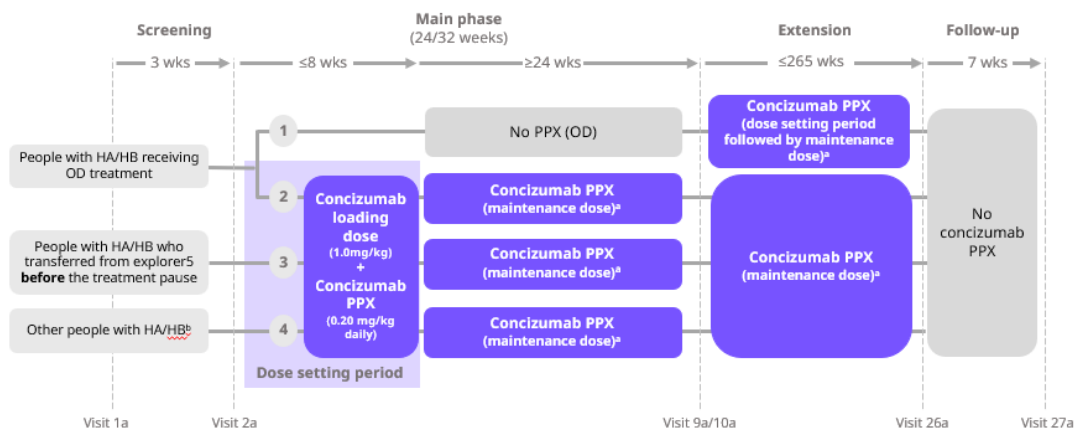
Studienavn NCT-nummer	Population	Intervention	Komparator	Relevante effektmål
EXPLORER 8 NCT04082429 24-32 ugers opfølgning [1] (56 uger i forlængelsesstudie [2])	Patienter fra 12 år med moderat/svær hæmofili B	Concizumab Dosistitrering op til 8 uger efterfulgt af vedligeholdelsesdosis på enten 0,15, 0,20 eller 0,25 mg/kg i 24 uger.	Ingen profylakse	ABR Inhibitorer Anafylaksi Tromboemboli Livskvalitet Reaktioner på injektionsstedet
BASIS [3], NCT03938792 52 ugers opfølgning	Patienter med svær hæmofili B . Alder 12-74 år. Forudgående profylaktisk behandling.	Marstacimab Startdosis 300 mg efterfulgt af vedligeholdelsesdosis på 150 mg subkutan én gang ugentligt i 52 uger. Mulighed for at øge til 300 mg (> 50 kg)	6-mdrs. observationsperiode med faktor IX	ABR Inhibitorer Anafylaksi Livskvalitet Tromboemboli Ophør pga. bivirkninger Reaktioner på injektionsstedet

3.1.1 EXPLORER 8 (concizumab)

EXPLORER 8 er et ublindat randomiseret fase 3 studie, der inkluderede patienter fra 12 år med enten hæmofili A eller B, som blev randomiseret eller allokeret til 4 forskellige behandlingsarme [1]. Se Figur 1.



Figur 3-1. EXPLORER 8 studie design



HA = hæmofili A; HB = hæmofili B; OD = behandling efter behov; PPX = profylakse. a. Individuel vedligeholdelsesdosis var enten 0,15, 0,20 eller 0,25 mg/kg concizumab.

Det primære endepunkt var antallet af behandlede spontane og traumatiske blødningsepisoder (opgjort ved besøg 9a/10).

Udvalgte eksklusionskriterier var tidligere eller nuværende tromboembolisk sygdom, systemisk behandlingskrævende inflammatorisk sygdom samt anden blødningsforstyrrelse end hæmofili A eller B.

Ansøgningen inkluderer data for subgruppen af patienter med hæmofili B fra arm 2 og 4:

- Arm 2: 24 patienter med hæmofili B (de fleste tidlige behandlet on-demand)
- Arm 4: 30 patienter med hæmofili B som havde været i stabil profylakse i mindst 24 uger i det ikke-interventionelle studie (EXPLORER 6).

Arm 3 omfattede kun patienter med hæmofili A, som tidligere havde indgået i fase 2 studiet EXPLORER 5 og er derfor ikke relevant ift. at belyse effekten på blødninger.

Patienterne i de aktive behandlingsarme gennemgik dosistitrering i op til 8 uger efterfulgt af 24 ugers vedligeholdelsesperiode (dvs. op til 32 ugers behandling i alt).

Efter studieperioden (24/32 uger) overgik alle deltagerne til profylakse med concizumab i forlængelsesstudiet.

Patienterne modtog en startdosis på 1,0 mg/kg concizumab på dag 1 (besøg 2a) efterfulgt af en initial daglig dosis på 0,20 mg/kg concizumab fra behandlingsdag 2. Dosis kunne justeres til 0,25 mg/kg eller 0,15 mg/kg i en initial 5–8 ugers dosisjusteringsperiode, og patienterne fortsatte med denne dosis i resten af studiet.



Tabel 3-2. Fordeling af patienter på de tre forskellige doser i EXPLORER 8 arm 4

Vedligeholdelsesdosis	Concizumab arm 4 (n=27) ^a
0,15 mg/kg (%)	4 (14,8%)
0,20 mg/kg (%)	14 (51,9%)
0,25 mg/kg (%)	9 (33,3%)

a. Ikke oplyst for 3 patienter (udgået, samtykke trukket tilbage)

Medicinrådets vurdering

Medicinrådet vurderer, at data fra arm 4 (patienter i tidligere profylakse) bedst afspejler danske klinisk praksis, hvor alle patienter med svær hæmofili B tilbydes profylaktisk behandling. Samtidig er det denne behandlingsarm, som er mest sammenlignelig med de patienter som indgik i Medicinrådets vurdering af marstacimab, som også var patienter i tidligere profylakse.

3.1.2 BASIS (marstacimab)

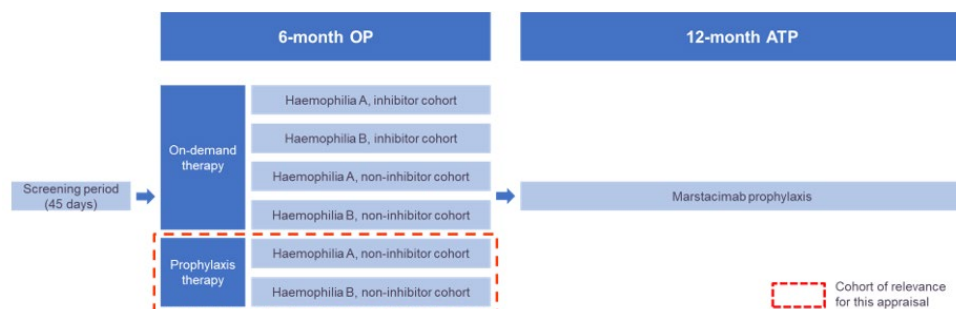
BASIS-studiet er et ublindat envejs overkrydsnings fase 3-studie med planlagt deltagelse af cirka 145 personer i alderen 12 til 74 år med svær hæmofili A eller moderat/svær hæmofili B [3]. Udvalgte eksklusionskriterier var tidligere eller nuværende iskæmisk hjertesygdom, trombose og koronarsygdom, anden blødningsforstyrrelse end hæmofili A eller B samt immunmodulerende 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 3-2).

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 3-2. Oversigt ver BASIS-studiet



Kilde: Tilpasset fra den kliniske studie rapport 2023

Startdosis var 300 mg efterfulgt af ugentlig dosis på 150 mg. Efter 6 måneders behandling var det tilladt (klinikervurdering) at øge dosis til 300 mg hos patienter med vægt over 50 kg, som havde haft 2 eller flere behandlingskrævende spontane blødninger. I praksis fik 6 (33%) ud af de 18 patienter med hæmofili B øget deres dosis til 300 mg i løbet af 12 måneders studieperiode.

3.1.3 Sammenligning af baselinekarakteristika

Tabel 3-3 viser en oversigt over baselinekarakteristika fra de to studier.

Tabel 3-3. Baselinekarakteristika for relevante studiearme

	Concizumab	Marstacimab
	EXPLORER 8 arm 4 hæg B (n=30)	BASIS hæg B (n=18)
Alder		
År, gennemsnit (SD)	31,6 (13,3)	Ikke oplyst
12-17 år, ≥ 18 år, n (%)	6 (20%) 24 (80%)	4 (22%) 14 (78%)
Race		
Asiat	1 (3%)	■
Sort/ afroamerikaner	1 (3%)	■
Hvid	27 (90%)	■
Andet	1 (3%)	■
Faktor IX niveau		
< 1%	28 (93%)	18 (100%)



	Concizumab	Marstacimab
	EXPLORER 8 arm 4 hæm B (n=30)	BASIS hæm B (n=18)
1-2%	2 (7%)	0
Tidligere behandling		
On-demand	■	0
Profylakse	■	18 (100%)
Tidligere ABR		
Median (IQR)	■	■
Mean (SD)	■	■
Vægt/ BMI		
Vægt kg, gennemsnit (SD)	84,2 (20,2)	■
Vægt kg, median (min-max)	-	■
BMI, gennemsnit (SD)	27,4 (6,3)	■
Target joints, n (%)		
0	19 (64,3%)	■
≥ 1	11 (36,7%)	■

■ Baseret på 18 patienter
i stabil profylakse med faktoterapi, som indgik i 26 ugers observationelle periode før intervention.

Medicinerådet bemærker, at:

- For concizumab indgik 2 (7 %) patienter med moderat hæmofili B. For marstacimab indgik kun patienter med svær hæmofili B
- For concizumab havde ■ patienter tidligere været i on-demand behandling (ABR kun opgjort for patienter i tidligere profylakse). For marstacimab havde alle patienter tidligere været i profylaktisk behandling
- BMI og vægt højere for concizumab end for marstacimab.

3.1.4 Databehandling og analyse

Vurderingen er baseret på en naiv sammenligning af data for subgrupperne med hæmofili B i tidligere profylaktisk behandling fra de to studier.



3.2 Resultater pr. effektmål

3.2.1.1 Årlig blødningsrate (ABR) (kritisk)

Den mediane ABR for alle blødninger var [redacted] efter 24/32 ugers behandling med concizumab sammenlignet [redacted] efter 12 måneders behandling med marstacimab (forskul [redacted]). For behandlede blødninger var den mediane forskel [redacted].

Tabel 3-1. Resultater for blødningsrelaterede effektmål for concizumab versus marstacimab

	Concizumab arm 4 hæm B (n=26) 32 uger	Marstacimab Hæm b (n=18) 12 måneder	Absolut forskel
ABR, alle blødninger, median (IQR)	[redacted]	[redacted]	[redacted]
ABR, behandlede blødninger, median (IQR)	[redacted]	[redacted]	[redacted]
ABR – behandlede, mean (95 % CI)	[redacted]	Ikke oplyst	-
ABR alle, mean (95 % CI)	[redacted]	4,71	[redacted]

ABR: Årlig blødningsrate

Medicinerådets vurdering

Medicinerådet har i protokollen prædefineret en mindste klinisk relevante forskel for patienter med hæmofili B til en median ABR på 3 for alle blødninger. Forskellen mellem concizumab og marstacimab [redacted] er dermed ikke klinisk relevant.

Når den gennemsnitlige ABR for concizumab er højere end den mediane ABR, skyldes det en outlier med et meget højt antal blødninger, som påvirker gennemsnittet markant med så få patienter i studiet. Den gennemsnitlige ABR tillægges derfor ikke betydning i vurderingen.

3.2.1.2 Ophør pga. bivirkninger

Concizumab: 2 (4 %) ud af 64 patienter i hele sikkerhedspopulationen ophørte med behandlingen pga. bivirkninger.

Marstacimab: En patient (1,2%) ophørte med marstacimab pga. meningiom, som blev vurderet ikke at være relateret til behandlingen.



3.2.2 Tromboemboli

For concizumab var ingen tilfælde af tromboemboli i studiepopulationen med hæmofili B. I de samlede studier, hvor der også indgik patienter med hæmofili A, var der 2 tilfælde af tromboemboli.

For marstacimab var der ingen tilfælde i studiet, men i et tidligere bioækvivalens studie fik en rask deltager en dyb venetrombose og en lungeemboli ni dage efter eksponering for 300 mg marstacimab (og 29 dage efter en COVID-vaccine).

[REDACTED]

Medicinrådets vurdering

Der er ikke en klinisk relevant forskel i antallet af tromboembolier mellem BASIS og EXPLORER 8 studierne. Bemærk, at hverken concizumab eller marstacimab er undersøgt hos patienter med risiko for tromboemboli (se endvidere afsnit 3.3 Andre overvejelser).

3.2.3 Livskvalitet (vigtigt)

Livskvalitet er for begge lægemidler vurderet med Haem-A-QoL.

For concizumab blev der for patienter med hæmofili B (n=30) observeret en forbedring i Haem-A-QoL total score fra baseline til 24 uger på [REDACTED] point (kun opgjort deskriptivt).

Der foreligger ikke resultater for marstacimabs effekt på livskvalitet for subgruppen med hæmofili B (n=18).

For den samlede gruppe med hæmofili A eller B i tidligere profylaktisk behandling blev livskvaliteten (Haem-AQoL) signifikant forbedret efter 12 måneders behandling med marstacimab ift. baseline. Patienter fra 17 år: [REDACTED]. Unge under 17 år: [REDACTED].

Medicinrådets vurdering

Medicinrådet vurderer, at forskellen mellem de to lægemidler næppe er klinisk relevant.

3.2.4 Reaktioner på injektionsstedet

Concizumab: 12 (19 %) af de i alt 64 patienter i sikkerhedspopulationen oplevede i alt 27 reaktioner på injektionsstedet. En enkelt moderat hændelse medførte ophør med concizumab. Resten betegnes som milde.

Marstacimab: 9 (11 %) af 83 patienter i sikkerhedspopulationen oplevede reaktioner på injektionsstedet. Disse var generelt milde og kortvarige og ingen gav anledning til behandlingsophør.



Medicinrådets vurdering

Medicinrådet lægger ikke afgørende vægt på forskellen i reaktioner på injektionsstedet, da der for begge lægemidler er tale om milde tilfælde

3.2.5 Anafylaksi og inhibitor

Ingen tilfælde for nogle af lægemidlerne.

3.2.6 Evidensens kvalitet

Evidensens kvalitet er meget lav. Studierne er forbundet med risiko for bias (ublandet design, selvvalget ABR og livskvalitet), hvilket giver anledning til at nedgradere evidensen for ABR med ét niveau. Estimerne for ABR er desuden usikre, da der er tale om en meget lille subgruppe og deraf meget bredde konfidensintervaller, hvilket medfører nedgradering af evidensen to niveauer for upræcist estimat.

3.3 Andre overvejelser

Håndtering af blødning ved kirurgi og akut sygdom

Fagudvalget er jf. Medicinrådets tidligere vurderinger af [concizumab](#) (til patienter med inhibitor) og [marstimab](#) bekymrede for risikoen for trombose ved begge lægemidler pga:

- Manglende viden omkring sikkerhed og håndtering ved akut sygdom og større kirurgi (concizumab skal pauseres mindst 4 dage før og marstacimab skal pauseres mindst 6 dage før indgrebet)
- Risiko for trombose hos patienter med risikofaktorer
- Sparsomme sikkerhedsdata sammenlignet med eksisterende behandling

Derfor anbefales begge lægemidler kun til en subgruppe af patienter med vanskelig veneadgang eller complianceproblemer.

Produktresuméet for concizumab foreslår en udvaskningsperiode på 5 halveringstider ved skift fra anden non-faktorterapi til concizumab. Ved skift fra marstacimab til concizumab vil det derfor kræve en udvaskningsperiode på ca. 3 måneder, hvor der kan være behov for understøttende faktorterapi. Ved skifte fra concizumab til marstacimab vil udvaskningsperioden være væsentlig kortere pga. concizumabs kortere halveringstid

3.4 Øvrige forhold

Concizumab findes i penne og skal opbevares i køleskab indtil brug. Holdbarhed udenfor køleskab (max 30 grader) er 4 uger. Nåletykkelse er 0,23 mm. Injektionsvolumen er 0,1-+0,3 ml afhængig af dosis.

Marstacimab findes som forfyldte enkeltdosispenne på 150 mg. Lægemidlet har ved opbevaring på køl en holdbarhed på op til tre år. Ved opbevaring udenfor køleskab er holdbarheden 7 dage. Nåletykkelse er 0,4 mm. Injektionsvolumen for 150 mg er er 1 ml (dobbelt ved administration af 300 mg).



Concizumab skal optitreres over 4 uger og herefter justeres efter en plasmakonzentrationsmåling, som virksomheden varetager analysen af, da det ikke er en rutineanalyse i dag. Vedligeholdelsesdosis administreres daglig.

Marstacimab gives i en opstartdosis på 300 mg og herefter 150 mg ugentlig. Mulighed for dosisøgning til 300 mg, hvis patienten oplevet to eller flere spontane blødninger og vejer mindst 50 kg.

Medicinrådets vurdering

Patientrepræsentanterne i fagudvalget vurderer, at der kan være forskellige præferencer for behandlingen. Nogle patienter vil formentlig foretrække subkutan injektion én gang ugentlig (marstacimab) frem for daglig injektion (concizumab). Herudover bemærkes at der er forskel på hvor længe de to lægemidler kan opbevares uden for køleskab (marstacimab 1 uge, concizumab 4 uger), hvilket kan have betydning for patienter ved fx rejser.

4. Samlet vurdering

Medicinrådet vurderer, at concizumab kan ligestilles med marstacimab til patienter med hæmofili B fra 12 år med vanskelig veneadgang eller complianceproblemer.

Derfor indplaceres concizumab i behandlingsvejledningen som vist i Tabel 4-1.

Tabel 4-1. Lægemidler 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.



4.1 Klinisk sammenligningsgrundlag

Medicinerådet har beregnet sammenligningsdosis for et års vedligeholdelsesbehandling på baggrund af de faktisk anvendte vedligeholdelsesdoser i studierne.

Da dosis af concizumab er vægtbaseret, men dosis af marstacimab som udgangspunkt er fast, vil dosisforholdet og dermed omkostninger for lægemidler være afhængig af patientens vægt. Det kan potentielt medføre en situation, hvor det ene lægemiddel kan være billigst til en patient med lav vægt, mens det andet kan være billigst til en patient med høj vægt.

Tabel 4-2 viser eksempler på sammenligningsdosis ved forskellig vægt, der vil danne baggrund for lægemiddelrekommandationen. Da Medicinerådet har vurderet, at det er meget få patienter, som potentielt skal tilbydes disse behandlinger, anbefaler Medicinerådet, at klinikken i praksis vælger det af de to lægemidler, som forventes at blive billigst at anvende ud fra patientens eksakte vægt.

Tabel 4-2. 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) ^a	5 mg	7 mg	10 mg	15 mg	18 mg
Daglig dosis					
Marstacimab (Hypavzi) ^b	Ikke godkendt	150 mg	200 mg	200 mg	200 mg
Ugentlig dosis					

a. Baseret på vedligeholdelsesdosis for 27 patienter med hæmofili B i EXPLORER 8 studiet arm 4 (0,209 mg/kg/dag) og tilnærmet mulig daglig dosis ved brug af pen på 150 mg og mindst mulig spild. Studiet inkluderede ikke børn med vægt under 25 kg.

b. Vægtet gennemsnit baseret på, at 6 ud af 18 patienter med hæmofili B (vægt mindst 50 kg) i BASIS-studiet blev øget i ugentlig dosis fra 150 mg til 300 mg.

Beregningen medtager ikke opstartsdosis (concizumab 1 mg på første dag. Marstacimab 300 mg i første uge), da forskellen i omkostninger hertil er minimale set i forholde til, at der er tale om længerevarende kronisk behandling.



5. Referencer

1. Chowdary P, Angchaisuksiri P, Apte S, Astermark J, Benson G, Chan AKC, et al. Concizumab prophylaxis in people with haemophilia A or haemophilia B without inhibitors (explorer8): a prospective, multicentre, open-label, randomised, phase 3a trial. *The Lancet Haematology*. 2024;11(12):e891–904.
2. Angchaisuksiri P, Von Mackensen S, Apte S, Benson G, Eichler H, Findley A, et al. Concizumab prophylaxis in people with hemophilia A or B without inhibitors: patient-reported outcome results from the phase 3 explorer8 study. *Research and Practice in Thrombosis and Haemostasis*. 2025;9(2):102705.
3. Matino D, Gould T. Efficacy and Safety of Marstacimab Prophylaxis in Hemophilia A/B With Inhibitors: Results from the Phase 3 BASIS Trial.



6. Sammensætning af 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
Marianne Hoffmann <i>Overlæge</i>	Region Hovedstaden
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 <i>Patient/patientrepræsentant</i>	Danske Patienter
Christian Krog Madsen <i>Patient/patientrepræsentant</i>	Danske Patienter



7. Versionslog

Versionslog		
Version	Dato	Ændring
1.0	21. januar 2026	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