

Opsummering af Medicinrådets evidensgennemgang vedrørende lægemidler til hæmofili A

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

Dokumentnummer	224925
----------------	--------

Versionsnummer	1.2
----------------	-----

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

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



Om opsummeringen

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

Anbefalingerne er baseret på [Medicinrådets anbefalingsrapport for efanesoctocog alfa](#) fra oktober 2024, Medicinrådets tillæg for [marstacimab](#) og [concizumab](#) og [Baggrund for Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende lægemidler til hæmofili A – version 1.1](#) fra april 2022.

Denne version 1.2 er en opsummering af behandlingsvejledningen opdateret med følgende:

- Faktor VIII (FVIII)-præparatet efanesoctocog alfa, som Medicinrådet anbefalede i oktober 2024, er indplaceret i en ny kategori (tabel 2), hvor det er ligestillet med emicizumab til patienter med complianceproblemer og gennembrudsblødninger.
- Marstacimab er direkte indplaceret i behandlingsvejledningen til patienter ≥ 12 år (uden inhibitor), som ikke kan tåle emicizumab (tabel 2 og 3).
- Concizumab er direkte indplaceret i behandlingsvejledningen til patienter ≥ 12 år med inhibitor mod faktor VIII-præparater, som ikke kan tåle emicizumab (tabel 5).
- Anbefalingen for turoctocog alfa pegol er udvidet til også at omfatte børn < 12 år (jf. EMA indikationsudvidelse oktober 2024).
- Anbefalingen for damoctocog alfa pegol er udvidet til også at omfatte børn fra 7-12 år (jf. EMA indikationsudvidelse april 2025).
- *Extended half life* (EHL)-præparaterne anbefales nu fremfor standard FVIII-præparaterne til profylakse (tabel 1) og on-demand behandling (tabel 4).

Ændret markedssituation med indikationsudvidelser til børn og lavere priser på EHL

Efter Medicinrådet udgav sin første behandlingsvejledning i maj 2019, er der kommet øget konkurrence og lavere priser på EHL-præparaterne, og de fleste er nu også godkendt til børn under 12 år. Den øgede konkurrencen har medført, at EHL er billigere end standard FVIII til både profylakse og on-demand behandling.

Det har medført, at de fleste patienter i dag er i behandling med et EHL-præparat, hvilket er til fordel for patienterne. Den længere virkningstid kan også være en fordel ved on-demand behandling, fordi nogle patienter kan undgå en ekstra dosis, som oftest vil kræve et ekstra sygehusbesøg.

Derfor anbefaler Medicinrådet nu EHL-præparaterne som 1. valg til både profylakse og on-demand behandling.



Medicinrådets kliniske vurdering

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

Hæmofili A

Hæmofili A skyldes mangel på faktor VIII – 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 FVIII-præparat.

Profylaktisk behandling

Ved hæmofili A 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 A og enkelte patienter med moderat hæmofili A får tilbudt profylaktisk hjemmebehandling med et FVIII-præparat eller non-faktor behandling. Det foregår i praksis ved, at patienten eller evt. dennes forældre selv indgiver behandling intravenøst eller subkutant. Man skelner imellem standard FVIII-præparater, der typisk anvendes 3-4 gange ugentlig, EHL-præparater, der typisk anvendes 2 gange om ugen, og EHL-præparater med høj dalværdi, der typisk anvendes en gang om ugen. Non-faktor-præparater gives subkutant.

Patienter i profylaktisk behandling

- Anvend et af de ligestillede EHL-præparater, som er godkendt til aldersgruppen (tabel 1).
- Overvej et standard FVIII-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 (middellang halveringstid):</u>
	Damoctocog alfa pegol (Jivi) ¹
	Efmoroctocog alfa (Elocta)
	Rurioctocog alfa pegol (Adynovi) ¹
	Turoctocog alfa pegol (Esperoct)
	<u>EHL-præparater med høj dalværdi (lang halveringstid):</u>
	Efanesoctocog alfa (Altuvoc)



Anbefaling	Lægemiddel (præparat)
Overvej	<u>Standard FVIII-præparater (kort halveringstid):</u> Lonotocog alfa (Afstyla) Moroctocog alfa (ReFacto) Octocog alfa (Advate og Kovaltry) Simoctocog alfa (Nuwiq) Turoctocog alfa (NovoEight)

¹ Rurioctocog alfa pegol kun EMA-indikation til voksne og børn > 12 år og damoctocog alfa pegol kun EMA-indikation til voksne og børn > 7 år.

* De meget få nye patienter tilbydes som udgangspunkt det lægemiddel, der bliver førstevalg i lægemiddelrekommendationen. Medicinrådet tilstræber, at så mange patienter som muligt skifter til nyt førstevalg i lægemiddelrekommendationen, men at den enkelte patient højst skifter hvert 3. år (se afsnit om skift).

Patienter i profylaktisk behandling med complianceproblemer eller gennembrudsbloodninger

- Skift til et EHL-præparat med høj dalværdi (efanesoctocog alfa) eller et non-faktor præparat med stabil høj aktivitet (emicizumab) ved:
 - Lægefaglig indikation for at forlænge dosisintervallet pga. complianceproblemer, hvor det ikke muligt at gennemføre profylakse med flere ugentlige intravenøse injektioner eller
 - Gennembrudsbloodninger trods optimeret profylakse med et EHL-præparat.
- Overvej skift til marstacimab til patienter fra 12 år, som ikke kan tåle emicizumab.

Tabel 2. Ligestillede lægemidler til patienter i profylaktisk behandling, der skifter pga. compliance eller bloodninger

Anbefaling	Lægemiddel (præparat)
Anvend	Efanesoctocog alfa (Altuvect) Emicizumab (Hemlibra)
Overvej	Marstacimab (Hypnavigi) ¹ – kun patienter ≥ 12 år

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

Patienter i profylaktisk behandling med vanskelig veneadgang

- Anvend emicizumab hvis det ikke er muligt at gennemføre profylakse med efanesoctocog alfa givet en gang ugentligt.
- Overvej marstacimab til patienter fra 12 år, som ikke kan tåle emicizumab.



Tabel 3. Lægemidler til patienter i profylaktisk behandling med vanskelig veneadgang

Prioriteret anvendelse	Lægemiddel (præparat)
Anvend	Emicizumab (Hemlibra)
Overvej	Marstacimab (Hypnaxzi) ¹ – kun patienter ≥ 12 år

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

On-demand behandling

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, som er godkendt til aldersgruppen, hvis patienten bruger mindst 2 pakninger per år.
- Anvend et præparat med mindst 6 måneders holdbarhed udenfor køleskab, hvis patienten bruger mindre end 2 pakninger per år.
- Overvej et standard FVIII-præparat, hvis patienten ikke kan tåle EHL.

Der skal tages hensyn til, at ca. halvdelen af patienterne har ældre søskende med hæmofili, hvor det er hensigtsmæssigt, at der kun er ét præparat i hjemmet for at minimere medicinspild og lagerbeholdning i hjemmet og på rejser.

Tabel 4. Ligestillede lægemidler til patienter i on demand behandling

Anbefaling	Lægemiddel (præparat)
Anvend et af følgende ligestillede lægemidler som førstevalg*	<u>EHL (middellang halveringstid):</u>
	Damoctocog alfa pegol (Jivi) ¹
	Efmoroctocog alfa (Elocta)
	Rurioctocog alfa pegol (Adynovi) ¹
	Turoctocog alfa pegol (Esperoct)
	<u>EHL-præparater med høj dalværdi (lang halveringstid):</u>
	Efanesoctocog alfa (Altuvoc)
Overvej	<u>Standard FVIII-præparater (kort halveringstid):</u>
	Lonotocog alfa (Afstyla)
	Moroctocog alfa (ReFacto)
	Octocog alfa (Advate og Kovaltry)
	Simoctocog alfa (Nuwiq)
	Turoctocog alfa (NovoEight)



¹ Rurioctocog alfa pegol kun EMA-indikation til voksne og børn > 12 år og damoctocog alfa pegol kun EMA-indikation til voksne og børn > 7 år.

* De meget få nye patienter tilbydes som udgangspunkt det lægemiddel, der bliver førstevalg i lægemiddelrekommandationen. Medicinrådet tilstræber, at patienterne skifter til nyt førstevalg i lægemiddelrekommandation, når deres hjemmelager er opbrugt (se afsnit om skift).

Patienter med inhibitor mod FVIII

Inhibitor er dannelse af neutraliserende antistoffer mod FVIII, som gør FVIII-præparatet uvirksomt. Patienterne vil blive tilbudt immuntolerancebehandling (ITI) med hyppige infusioner af FVIII 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 såkaldte *bypassing agents*.

Profylaktisk behandling til patienter med inhibitorer

- Anvend profylakse med emicizumab, indtil patienten har genvundet tolerance overfor FVIII.
- Overvej concizumab til patienter fra 12 år, som ikke kan tåle emicizumab.
- Anvend ikke rutinemæssigt profylakse med APCC.

Tabel 5. Lægemidler til patienter med inhibitorer i profylakse

Anbefaling	Lægemiddel (præparat)
Anvend	Emicizumab (Hemlibra)
Overvej	Concizumab (Alhemo) ¹ – kun patienter ≥ 12 år
Anvend ikke rutinemæssigt	APCC (Feiba)

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

Behandling af blødning hos patienter med inhibitorer

- Anvend eptacog alfa.
- Overvej APCC ved dårlig hæmostatisk effekt af eptacog alfa, eller hvor længere doseringsinterval er påkrævet.
- Anvend ikke APCC til behandling af blødninger hos patienter i profylakse med emicizumab.
- Anvend ikke APCC til behandling af blødninger hos patienter i profylakse med concizumab i doser højere end 100 IE/kg indenfor 24 timer



Tabel 6. Lægemidler til behandling af blødning hos patienter med inhibitor

Anbefaling	Lægemiddel (præparat)
Anvend	Eptacog alfa (NovoSeven)
Overvej	APCC (Feiba)

Øvrige forhold vedrørende behandlingen

Profylaktisk behandling (uden inhibitor)

Valg af lægemiddel

Faktor-præparater til intravenøs hjemmebehandling

EHL-præparaterne kan doseres med længere interval (typisk 2 gange ugentlig) end standard FVIII-præparaterne (typisk 3-4 gange ugentlig). Ved dosering med samme interval kan man opnå højere dalværdi. EHL-præparatet efanesoctocog alfa har betydelig højere dalværdi og doseres som udgangspunkt kun en gang om ugen.

Fagudvalget vurderer, at de fleste patienter vil foretrække færre infusioner, samt at de fleste patienter med vanskelig veneadgang eller gentagne gennembrudsblødninger vil foretrække at skifte til EHL-præparatet efanesoctocog alfa en gang ugentlig fremfor at øge antallet af ugentlige infusioner.

Subkutane præparater

Emicizumab kan administreres subkutant 1-4 gange om måneden, hvilket er en fordel for patienterne. Marstacimab administreres subkutant en gang om ugen.

En ulempe for de subkutane præparater er, at patienten fortsat har brug for faktorbehandling i tilfælde af blødning. Patienten mister på sigt eller får aldrig rutinen i at selvbehandle en blødning med FVIII. Meget aktive patienter kan have behov for supplerende FVIII for at undgå blødning ved aktiviteter med meget høj blødningsrisiko (visse sportsgrene).

Det er uafklaret, om patienter i tidligere behandling med FVIII-præparat risikerer at miste tolerancen for FVIII og udvikle inhibitor ved behandling af blødning. Det er også uafklaret, hvordan tidligere ubehandlede patienter (PUP) opnår tolerance for FVIII under profylakse med emicizumab, og dermed vil PUP være i vedvarende risiko for udvikling af inhibitor ved behandling af blødning med FVIII.

Marstacimabs sikkerhed og virkning er ikke blevet formelt undersøgt i forbindelse med operationer eller akut sygdom. 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 manglende erfaring med marstacimab til patienter med tromboembolisk risikoprofil. Fagudvalget vurderer, at den manglende erfaring med marstacimab til patienter med tromboembolisk risikoprofil vil medføre, at



lægemidlet ud fra et forsigtighedsprincip ikke vil blive ordineret til patienter med kardiovaskulær risikofaktorer.

Der er ingen forholdsregler for emicizumabbehandling i forbindelse med akut sygdom og kirurgi.

Fagudvalget vurderer, at de fleste patienter som udgangspunkt vil foretrække en subkutan injektion 1-4 gange om måneden frem for infusioner 1-2 gange om ugen.

Skift af lægemiddel

Skift af FVIII-præparat efter et 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.
- Skift (som udgangspunkt) hos så mange patienter som muligt efter hver udbudsrunde under hensyntagen til forsyningssikkerhed.
- For at sikre fortsat compliance og rutine med device tilstræbes som udgangspunkt, at den enkelte patient højst skifter hvert 3. år, da der er tale om en livslang behandling.

Skift af lægemiddel efter nyt udbud for patienter med complianceproblemer eller gennembrudsblødninger

- Skift kun fra emicizumab til efanesoctocog alfa, hvis besparelsen i lægemiddeludgifter som minimum opvejer omkostninger og besvær for patient og sygehus, og det er muligt af hensyn til veneadgang hos patienten.

Forholdsregler omkring skift til marstacimab

- Marstacimab kan påbegyndes når som helst efter seponering af faktorterapi.
- Der foreligger ingen kliniske data, der kan vejlede omkring skift fra non-faktor-baseret terapi, herunder emicizumab, til marstacimab. I produktresuméet foreslås 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 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.

On-demand behandling

Valg af lægemiddel

Der er forskel på præparaternes holdbarhed uden for køleskab, hvilket er relevant for patienter med et lavt faktorforbrug.



Fagudvalget vurderer, at de fleste patienter ikke har præference for det ene eller andet præparat, men at patienter med et lavt forbrug vil foretrække et præparat med lang holdbarhed udenfor køleskab.

Skift af lægemiddel

Skift af FVIII-præparat efter et nyt udbud

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

Patienter med inhibitor mod FVIII

Valg af lægemiddel

Concizumab administreres daglig i form af en forfyldt pen. Emicizumab, der skal udtrækkes af et hætteglas, kan administreres ugentlig og hos nogle patienter hver 2. eller 4. uge. APCC administreres som daglige intravenøse infusioner.

Fagudvalget vurderer, at de fleste patienter (og forældre til patienter) vil foretrække subkutan injektion én gang ugentlig med emicizumab frem for daglig injektion med concizumab, men begge er at foretrække fremfor APCC.

Fagudvalget lægger vægt på, at emicizumab og concizumab (til forskel fra APCC) ikke er plasmaderiverede, hvilket minimerer risikoen for smitteoverførsel. Derudover medfører den subkutane administration lavere risiko for komplikationer samt mulighed for bedre adhærens.

Forholdsregler omkring concizumab

Af det danske produktresumé fremgår, at tilfælde af ikke-fatale arterielle og venøse tromboemboliske hændelser er rapporteret hos patienter med multiple risikofaktorer, herunder høje eller hyppige doser af faktorpræparat ved gennembrudsblødning. Der kan også være risiko for tromboemboliske hændelser ved f.eks. fremskreden aterosklerotisk sygdom, knogletraume, cancer eller sepsis. Fagudvalget er bekymret for risikoen for trombose ved concizumab.

Der er indtil videre kun spinkel erfaring i forbindelse med større kirurgiske indgreb. Det fremgår af produktresuméet, at concizumab skal seponeres mindst 4 dage før indgrebet.

Concizumab doseres individuelt ud fra plasmakoncentrationsmåling.

Skift af lægemiddel

Forholdsregler omkring skift til concizumab

- Der er ingen erfaring med at skifte fra emicizumab til concizumab og heller ingen vejledning i EMA's produktresumé. [FDA](#) anbefaler, at man tager højde for halveringstiden af tidligere produkt, og det Canadiske produktresumé anbefaler konkret, at emicizumab skal seponeres 6 måneder inden start af concizumab, jf.



eksklusionskriterierne i EXPLORER 7-studiet, som igen er i tråd med, at det som tommelfingerregel tager ca. 20 uger, før emicizumab er elimineret (5 x halveringstid på ca. 4 uger).

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

Klinisk sammenligningsgrundlag

I det kliniske sammenligningsgrundlag har Medicinrådet beskrevet sammenligningsdoser for de ligestillede lægemidler. Det kliniske sammenligningsgrundlag skal anvendes i forbindelse med Amgros' udbud og en eventuel omkostningsanalyse.

Tabel 7. Klinisk sammenligningsgrundlag for ligestillede EHL-præparater til profylakse

Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Sammenligningsgrundlag ugentlig dosis
Turoctocog alfa pegol (Esperoct)	80 IE/kg
Damoctocog alfa pegol (Jivi) ¹	80 IE/kg
Rurioctocog alfa pegol (Adynovi) ²	80 IE/kg
Efmoroctocog alfa (Elocta)	80 IE/kg
Efanesoctocog alfa (Altuvoc)	50 IE/kg

1. Jivi har fra i april 2025 indikation til børn ned til 7 år

2. Adynovi har kun indikation til voksne og børn > 12 år.

Tabel 8. Klinisk sammenligningsgrundlag for ligestillede standard FVIII-præparater til profylakse (i kategorien overvej)

Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Sammenligningsgrundlag ugentlig dosis
Simoctocog alfa (Nuwiq)	100 IE/kg
Octocog alfa (Kovaltry)	100 IE/kg
Moroctocog alfa (ReFacto)	100 IE/kg
Turoctocog alfa (NovoEight)	100 IE/kg
Lonoctocog alfa (Afstyla)	100 IE/kg
Octocog alfa (Advate)	100 IE/kg



Tabel 9. Klinisk sammenligningsgrundlag ligestillede lægemidler til patienter med behov for profylakse, der skifter fra EHL pga. compliance eller blødninger

Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Sammenligningsgrundlag ugentlig dosis
Efanesoctocog alfa (Altuvoc)	50 IE/kg
Emicizumab (Hemlibra)	1,5 mg/kg

Tabel 10. Klinisk sammenligningsgrundlag for ligestillede EHL-præparater til on-demand behandling

Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Sammenligningsgrundlag
Turoctocog alfa pegol (Esperoct)	1 IE/kg
Damoctocog alfa pegol (Jivi) ¹	1 IE/kg
Rurioctocog alfa pegol (Adynovi) ²	1 IE/kg
Efmoroctocog alfa (Elocta)	1 IE/kg
Efanesoctocog alfa (Altuvoc)	1 IE/kg

1. Jivi har fra i april 2025 indikation til børn ned til 7 år

2. Adynovi har kun indikation til voksne og børn > 12 år.

Tabel 11. Klinisk sammenligningsgrundlag for ligestillede standard FVIII til on-demand behandling (i kategorien overvej)

Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Sammenligningsgrundlag (for enkeltdosis)
Simoctocog alfa (Nuwiq)	1 IE/kg
Octocog alfa (Kovaltry)	1 IE/kg
Moroctocog alfa (ReFacto)	1 IE/kg
Turoctocog alfa (NovoEight)	1 IE/kg
Lonoctocog alfa (Afstyla)	1 IE/kg
Octocog alfa (Advate)	1 IE/kg



Omkostningsanalyse og lægemiddelrekommandation

Medicinrådet vurderer, at de behandlingsrelaterede omkostninger mellem de ligestillede lægemidler er nogenlunde ens. Der er tale om hjemmebehandling, hvor der kan være individuelle forskelle i den tid som patienter/pårørende anvender til administration af hhv. profylakse med subkutane præparater og intravenøs FVIII. Omkostningerne er derfor ikke medregnet. Rækkefølgen i den endelige lægemiddelrekommandation vil derfor udelukkende afhænge af lægemidlernes pris beregnet for de doser, der er angivet af det kliniske sammenligningsgrundlag i behandlingsvejledningen.

Omkostningsanalyse for skift af lægemiddel efter nyt udbud

Skift mellem emicizumab og efanesoctocog alfa

Medicinrådet opdaterer sin omkostningsanalyse vedr. skift af lægemidler hos patienter i profylaktisk behandling med hæmofili A.

Skift fra emicizumab til efanesoctocog alfa

Skift fra emicizumab (subkutan) til efanesoctocog alfa (intravenøs) vil kræve ekstra tid til oplæring i at anvende intravenøs hjemmebehandling. For små børn vil omkostningerne svare til opstart af en ny patient i profylaktisk behandling med FVIII-præparat, da patienterne som udgangspunkt ikke er oplært i at give intravenøs hjemmebehandling. Fagudvalget estimerer, at det vil kræve to lægekonsultationer og 10 sygeplejerskebesøg af 1 times varighed til at oplære forældrene i at give den intravenøse behandling.

Der er aktuelt kun få voksne, der behandles med emicizumab, og de vil som udgangspunkt tidligere være oplært i at anvende FVIII-præparat, hvorfor der ikke forventes yderligere omkostninger til skift udover de, som Medicinrådet har estimeret for skift mellem FVIII-præparater. For både børn og voksne vil det desuden kræve de samme blodprøver samt spild på 1-2 pakker FVIII-præparat (hjemmelager i tilfælde af blødning), som hvis patienterne skifter mellem to FVIII-præparater.

Skift fra efanesoctocog alfa til emicizumab

Fagudvalget estimerer, at skift fra efanesoctocog alfa (FVIII-præparat til infusion) til emicizumab (subkutan) vil kræve en lægekonsultation og 4 sygeplejebesøg af en times varighed.



Versionslog

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.2 Opsummering	3. september 2025	Tilpasset til ny dokumentstruktur (Opsummering) Nye lægemidler indplaceret: Efanesoctocog alfa (ny kategori), marstacimab og concizumab. Indikationsudvidelser: Turoctocog alfa pegol til børn < 12 år. Damoctocog alfa pegol til børn 7-12 år. EHL anbefales nu fremfor standard FVIII til både profylakse og on-demand behandling.
1.1 Lægemiddel-rekommandation og behandlings-vejledning:	28. september 2022	Opdaterede populationer, målpopulationer for emicizumab samt kriterier for skift iht. den opdaterede behandlingsvejledning, version 1.1.
1.0	23. oktober 2019	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