

# Medicinrådets lægemiddelrekommandation og behandlingsvejledning for hæmofili B

- Evidensbaseret valg af faktor IX-præparater

# Rek



## Om Medicinrådet

Medicinrådet er et uafhængigt råd etableret af Danske Regioner.

Medicinrådet udarbejder fælles regionale behandlingsvejledninger. Behandlingsvejledningerne indeholder vurderinger af, hvilke lægemidler der er mest hensigtsmæssige at behandle patienter med inden for et terapiområde. De danner dermed grundlag for ensartet høj kvalitet for behandling af patienter på tværs af sygehuse og regioner. Medicinrådet angiver kliniske rækkefølger af de inkluderede lægemidler på baggrund af en redegørelse for evidensen for klinisk effekt og sikkerhed.

## Om Medicinrådets lægemiddelrekommandation

Lægemiddelrekommandationen er Medicinrådets prioriterede liste for brugen af lægemidler, når både de kliniske og økonomiske aspekter er sammenvæjet. Medicinrådets lægemiddelrekommandation er udgivet sammen med Medicinrådets behandlingsvejledning.

Se *Metodehåndbog for Medicinrådets vurdering af flere lægemidler inden for samme terapiområde* for yderligere information. Du finder denne på Medicinrådets hjemmeside under siden Metoder.

*Fremkommer der nye og væsentlige oplysninger af betydning for behandlingsvejledningens indhold, kan Medicinrådet tage den op til fornyet behandling. Det samme gælder, hvis der er begået væsentlige fejl i forbindelse med sagsbehandlingen.*

Dokumentoplysninger	
Godkendelsesdato	23. december 2021
Ikrafttrædelsesdato	1. april 2022
Dokumentnummer	130439
Versionsnummer	1.1

© Medicinrådet, 2022  
Publikationen kan frit refereres  
med tydelig kildeangivelse.

Sprog: dansk  
Format: pdf  
Udgivet af Medicinrådet, 4. januar 2022



# Medicinrådets lægemiddelrekommandation vedrørende faktor IX-præparater til hæmofili B

## Formål

Denne lægemiddelrekommandation er Medicinrådets anbefaling til regionerne om, hvilke specifikke lægemidler der er mest hensigtsmæssige at anvende til behandling af patienter inden for terapiområdet hæmofili B.

De klinisk ligestillede lægemidler er her prioriteret ud fra deres lægemiddelpriser, da fagudvalget tidligere har vurderet, at de lægemiddelrelaterede omkostninger ikke varierer imellem præparaterne.

## Patienter, som ikke tidligere har været behandlet (PUP)

For nye patienter, som ikke tidligere har været behandlet med FIX (PUP), anbefaler Medicinrådet at anvende nonacog alfa (BeneFix), som er det eneste godkendte præparat til PUP.

Prioriteret anvendelse	Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Ugentlig dosis
Anvend som 1. valg til alle PUP	BeneFix (nonacog alfa)	80 IE/kg

## Tidligere behandlede patienter (PTP)

### Profylakse

PTP i profylakse med et standard rFIX, hvor der IKKE er lægefaglig indikation for at skifte til et rFIX med forlænget halveringstid.

Prioriteret anvendelse	Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Ugentlig dosis
Anvend som 1. valg	BeneFix (nonacog alfa)	80 IE/kg (40 IE/gk x2)



**PTP i profylakse med standard rFIX, hvor der er lægefaglig indikation for at skifte til et rFIX med forlænget halveringstid.**

Medicinerådet har vurderet, at profylakse med følgende rFIX med forlænget halveringstid er klinisk ligeværdige valg til patienter, hvor der er lægefaglig indikation for at skifte fra et standard rFIX til et rFIX med forlænget halveringstid.

Det betyder, at patienter, som har vanskelig veneadgang eller vanskeligt ved at gennemføre sufficient profylakse med et standard rFIX, skal tilbydes behandling med 1. valgspræparatet (Alprolix).

Prioriteret anvendelse	Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Ugentlig dosis
Anvend som 1. valg	Alprolix (eftrenonacog alfa)	50 IE/kg
2. valg	Refixia (nonacog beta pegol)*	40 IE/kg
3. valg	Idelvion (albutrepenonacog alfa)	35 IE/kg

\* Kun børn og voksne > 12 år.

**PTP i profylakse med standard rFIX eller rFIX med forlænget halveringstid, hvor der er lægefaglig indikation for at skifte til et rFIX med høj dalværdi.**

Medicinerådet har vurderet, at profylakse med følgende rFIX med forlænget halveringstid er klinisk ligeværdige valg til patienter, hvor der er lægefaglig indikation for at skifte til et rFIX med høj dalværdi.

Det betyder, at patienter over 12 år, som enten har behov for høj dalværdi pga. høj blødningsrisiko og/eller har gennembrudsblødninger på den eksisterende profylakse, skal tilbydes behandling med 1. valgspræparatet (Refixia). Er patienten under 12 år tilbydes behandling med 2. valgspræparatet (Idelvion).

Prioriteret anvendelse	Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Ugentlig dosis
Anvend som 1. valg	Refixia (nonacog beta pegol)*	40 IE/kg
2. valg	Idelvion (albutrepenonacog alfa)	35 IE/kg

\* Kun børn og voksne > 12 år.



## On-demandbehandling

Patienter i on-demandbehandling med standard rFIX, hvor der er fortsat indikation for on-demandbehandling

Prioriteret anvendelse	Præparatnavn (lægemiddelnavn)	Sammenligningsdosis
Anvend som 1. valg	BeneFix (nonacog alfa)	1 IE/kg

For patienter med moderat hæmofili, der har flere blødninger per år, men ikke er kandidat til eller ønsker profylaktisk behandling, kan man overveje at skifte til et rFIX med forlænget halveringstid.



# Medicinrådets behandlings- vejledning vedrørende faktor IX- præparater til hæmofili B

## Formål og behandling

Formålet med at udarbejde en fælles regional behandlingsvejledning for hæmofili B er at give evidensbaserede anbefalinger for valg af faktor IX-præparat til patienter med hæmofili B, herunder muligheder for skift af præparat.

Behandlingen af hæmofili B omfatter infusion af rekombinant koagulationsfaktor IX (rFIX) profylaktisk eller on-demand, hvor patienten tager faktormedicin ved behov, når der opstår symptomer på en blødning. Patienter med svær hæmofili tilbydes profylaktisk hjemmebehandling før eller på tidspunktet for den første ledblødning og fortsætter livslangt. Behandlingsmålet er at undgå ledblødninger og deraf svære ledforandringer, kroniske smerter og invaliditet samt undgå livstruende blødning.

## Medicinrådets anbefaling vedrørende valg af faktor IX til hæmofili B

Behandlingsvejledningen omfatter valg af rekombinant faktor IX-præparat (rFIX) til tidligere behandlede patienter (PTP).

For nye patienter, som ikke tidligere har været behandlet med FIX (PUP), anbefaler Medicinrådet at anvende nonacog alfa (BeneFix), som er det eneste godkendte præparat til PUP.

### **PATIENTER, SOM IKKE TIDLIGERE HAR VÆRET BEHANDLET MED rFIX (PUP):**

Anvend nonacog alfa (BeneFix), som er det eneste godkendte præparat til PUP.

### *1. Klinisk betydende forskelle mellem rFIX anvendt som profylakse*

**PTP i profylakse med et standard rFIX, hvor der IKKE er lægefaglig indikation for at skifte til et rFIX med forlænget halveringstid.**

Anbefaling	Standard rFIX	Dosis (IE/kg)	Interval	Ugentlig dosis
Anvend	Nonacog alfa (BeneFix)	40 IE/kg	3,5 dage	80 IE/kg



**PTP i profylakse med standard rFIX, hvor der er lægefaglig indikation for at skifte til et rFIX med forlænget halveringstid.**

Anbefaling	rFIX med forlænget halveringstid	Dosis (IE/kg)	Interval	Ugentlig dosis
Anvend	Albutrepenonacog alfa (Idelvion)	35 IE/kg	7 dage	35 IE/kg
	Eftrenonacog alfa (Alprolix)	50 IE/kg	7 dage	50 IE/kg
	Nonacog beta pegol (Refixia)*	40 IE/kg	7 dage	40 IE/kg

\* Kun børn og voksne > 12 år.

**PTP i profylakse med standard rFIX eller rFIX med forlænget halveringstid, hvor der er lægefaglig indikation for at skifte til et rFIX med høj dalværdi.**

Anbefaling	rFIX med høj dalværdi	Dosis (IE/kg)	Interval	Ugentlig dosis
Anvend	Albutrepenonacog alfa (Idelvion)	35 IE/kg	7 dage	35 IE/kg
	Nonacog beta pegol (Refixia)*	40 IE/kg	7 dage	40 IE/kg

\* Kun børn og voksne > 12 år.

## 2. Skift af rFIX-præparat hos patienter i profylakse

### MEDICINRÅDETS ANBEFALING:

- Skift fra standard rFIX til et standard rFIX med lavere pris, såfremt besparelsen som minimum opvejer de behandlingsrelaterede omkostninger for patient og sygehus.
- Skift på lægefaglig indikation fra standard rFIX til et rFIX med forlænget halveringstid, hvis patienten har:
  1. Vanskelig veneadgang.
  2. Vanskeligt ved at gennemføre sufficient profylakse med et standard rFIX.
- Skift på lægefaglig indikation fra standard rFIX eller eftrenonacog alfa (Alprolix) til albutrepenonacog alfa (Idelvion) eller nonacog beta pegol (Refixia), hvis patienten har behov for høj dalværdi pga. høj blødningsrisiko og/eller har gennembrudsblødninger på den eksisterende profylakse.



### 3. On-demandbehandling

**Patienter i on-demandbehandling med standard rFIX, hvor der er fortsat indikation for on-demandbehandling**

Anbefaling	Standard rFIX	Sammenligningsgrundlag (IE/kg)
Anvend som 1. valg	Nonacog alfa (BeneFix)	1 IE/kg

- Overvej et rFIX med forlænget halveringstid hos patienter med moderat hæmofili, der har flere blødninger per år, men ikke er kandidat til eller ønsker profylaktisk behandling.

## Fagudvalgets øvrige overvejelser

### *Skift af profylakse på lægefaglig indikation*

Ved skift fra standard FIX til rFIX med forlænget halveringstid på lægefaglig indikation finder fagudvalget, at fordelene ved at skifte til en bedre behandling overstiger ulemperne. Fagudvalget vurderer, at det længere dosisinterval for rFIX med en forlænget halveringstid er en fordel hos:

- Patienter med vanskelig veneadgang (herunder børn og unge), da lavere infusionshyppighed giver lavere risiko for komplikationer.
- Patienter, som har vanskeligt ved at gennemføre sufficient profylakse med standard rFIX.

### *Skift af profylakse på ikke-lægefaglig indikation*

Et skift indebærer ekstra sygehusbesøg til oplæring af patienten i anvendelse af et nyt device og evt. nye rutiner i forbindelse med dosering samt kontrol/blodprøver. Ved skift alene på baggrund af pris bør besparelsen som minimum opveje ulemperne og omkostningerne (oplæring, ekstra ambulante besøg, blodprøver mv.).

Da de tre rFIX med forlænget halveringstid doseres forskelligt og ikke er sammenlignelige enhed til enhed eller med hensyn til doseringsinterval og dalværdi, finder fagudvalget det ikke forsvarligt at skifte mellem disse hos en velbehandlet patient.

Da dosering af rFIX med forlænget halveringstid er meget forskellig fra standard FIX med hensyn til både dosis, doseringsinterval og dalværdi, finder fagudvalget det ikke forsvarligt at skifte fra rFIX med forlænget halveringstid tilbage til standard rFIX.

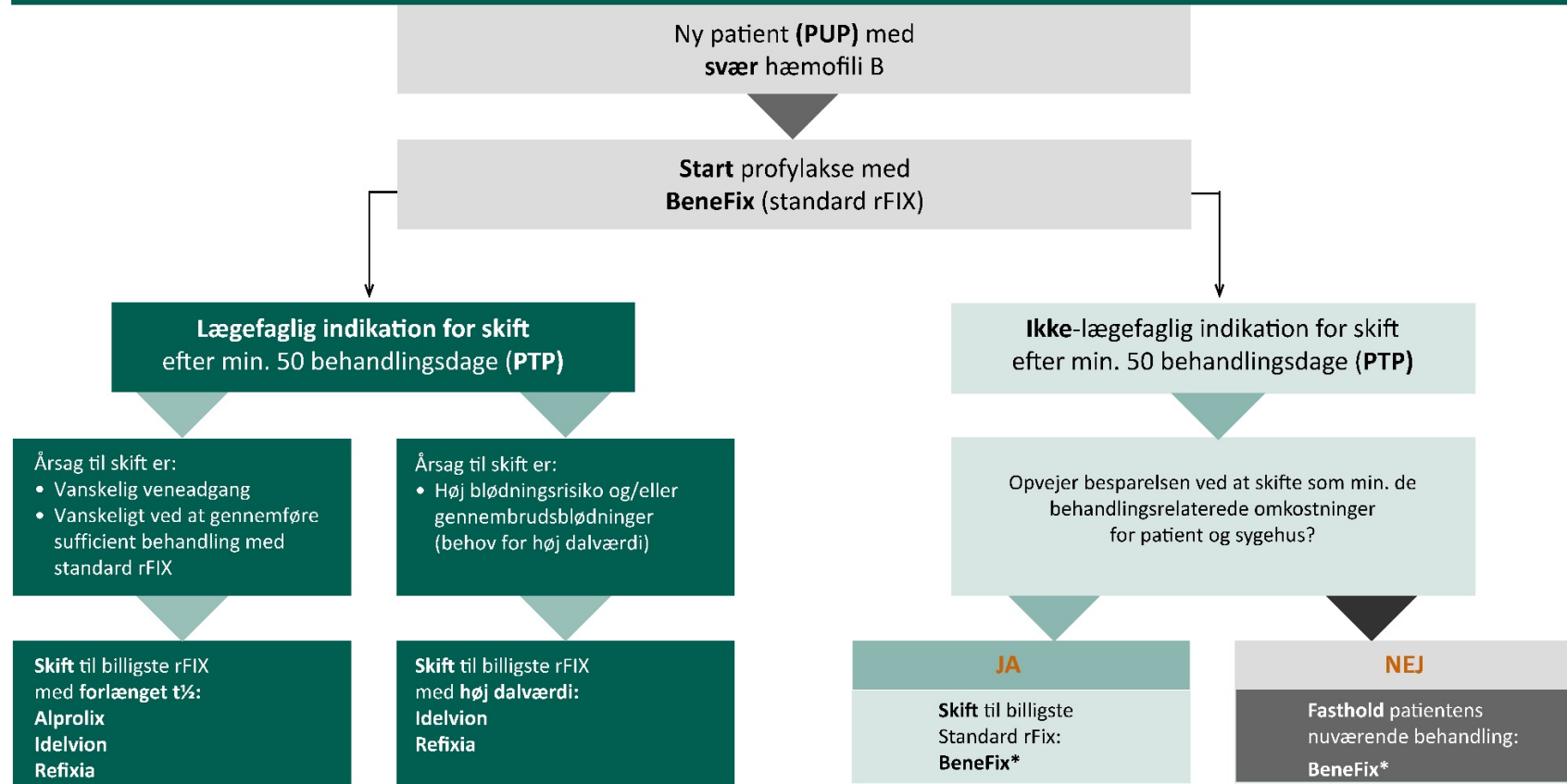
### *Skift af on-demandbehandling*

I praksis anbefaler fagudvalget, at patienter i on-demandbehandling skifter præparat, når de har opbrugt deres eksisterende beholdning af faktorpræparat, så spild minimeres mest muligt.

De patienter, der har det laveste forbrug, bør være på det standard FIX, der har længst holdbarhed, og ikke skifte til et standard FIX med kortere holdbarhed. De patienter, der har det højeste forbrug, kan have gavn af FIX med forlænget halveringstid.

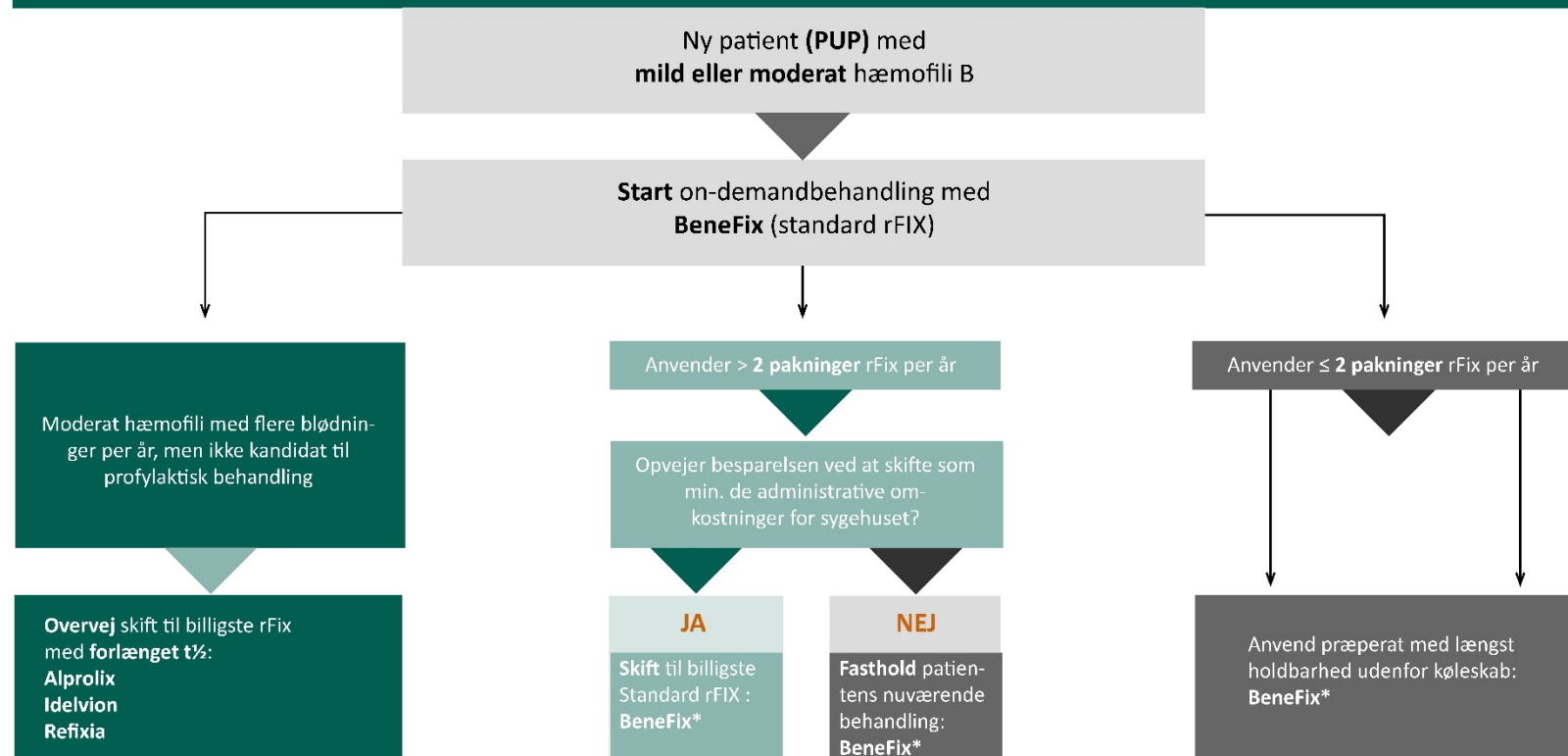


## Algoritme for profylaktisk behandling



\*Der er i øjeblikket kun ét standard rFIX på markedet og derfor ikke mulighed for skift til andet standard rFIX.

## Algoritme for on-demandbehandling



\*BeneFix har en holdbarhed på 2 år udenfor køleskab. Der er i øjeblikket kun ét standard rFIX på markedet og derfor ikke mulighed for skift til andet standard rFIX.

# Sammensætning af fagudvalg og kontaktinformation til Medicinrådet

Se Medicinrådets gennemgang af terapiområdet for hæmofili B.

## Versionslog

Versionslog		
Version	Dato	Ændring
1.1	23. december 2021	Opdateret rækkefølge efter nye priser. Alprolix nyt 1. valg til PTP, hvor der er lægefaglig indikation for skift fra standard til rFIX med forlænget halveringstid. Rixubis er fjernet, da det udgik af markedet den 1. november 2021.
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](mailto:medicinraadet@medicinraadet.dk)

[www.medicinraadet.dk](http://www.medicinraadet.dk)