



## Nonakog beta pegol til behandling av hemofili B

Kategori: Legemiddel

Bruksområde og fagområde: Spesialisthelsetjenesten; Blod; Sjeldne tilstander

Generisk navn: nonakog beta pegol

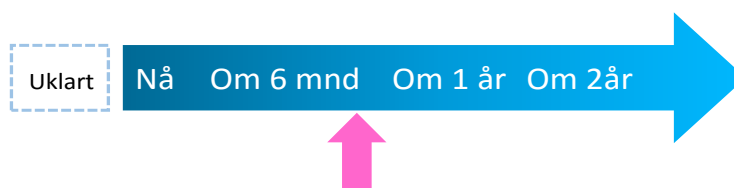
Produktnavn: ikke kjent

Produsent: Novo Nordisk

Søkestermer/synonymer: Hemophilia B; Factor IX deficiency; F9 Deficiency; hemofili B; blødersykdom; medfødt faktor IX mangel; Nonacog beta pegol; NNC-0156-0000-0009; NN-7999; GlycoPEG-FIX; GlycoPEGylated Factor IX; N9-GP

### Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge



Søknad om markedsføringstillatelse i Europa ble levert i januar 2016 og godkjenning foreligger foreløpig ikke(1).

### Forventet finansieringsordning

Sykehus	<input checked="" type="checkbox"/>	Anbefalt overført til spesialisthelsetjenesten
Blå resept	<input type="checkbox"/>	
Egenfinansiering	<input type="checkbox"/>	
Usikkert	<input type="checkbox"/>	

### Beskrivelse av den nye metoden

Nonakog beta pegol er et nytt pegylert faktor IX-konsentrat som er søkt godkjent til behandling og profylakse av blødninger hos pasienter med hemofili B (faktor IX-mangel). Glykopegylering øker halveringstiden av nonakog beta pegol sammenlignet med konvensjonelle faktor IX-preparater. Nonakog beta pegol administreres som intravenøs injeksjon (1).

### Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Hemofili B er en arvelig sykdom som skyldes mangel eller fravær av koagulasjonsfaktor IX. Sykdommen nedarves ved kjønnsbunden recessiv arv, slik at det i all hovedsak er gutter som rammes. Pasienter med mindre enn 1 % av normal faktor VIII aktivitet klassifiseres normalt som alvorlige blødere, og utgjør omtrent halvparten av alle tilfellene. De alvorlige tilfellene kjennetegnes ved spontane leddblødninger, bløtvevsblødninger, ukontrollerte blødninger ved operasjon, mage-tarm blødning og hjerneblødninger. Ved mildere former for hemofili A sees blødninger stort sett i forbindelse med traumer eller kirurgiske inngrep. Over tid vil gjentatte blødninger kunne gi invaliderende leddskader hos pasienter uten tilstrekkelig behandling.

I 2012 var det registrert 104 pasienter i Norge med hemofili B, hvorav 28 hadde alvorlig grad. Tilnærmet alle pasienter med alvorlig hemofili behandles profylaktisk (2,3).

### Dagens tilbud

Målsetningen for behandlingen av hemofili B er å forebygge ukontrollerte blødninger, og på lengre sikt også komplikasjoner som leddskader grunnet blødning. Behandlingspraksis for norske hemofilipasienter er i all hovedsak erstatningsbehandling med faktorkonsentrater. I dag brukes både plasmaderiverte faktor IX-konsentrater (Immunine® og Octanine®) og et rekombinant faktor IX-konsentrat (BeneFIX®) (4). Vi har tidligere varslet et nytt pegylert faktor IX-konsentrat (Rixubis®) som er foreslått til metodevurdering (5).

## Status for dokumentasjon

### Metodevurdering

Metoden har ikke vært vurdert i Norge tidligere. Tre andre nye legemidler for behandling av hemofili B er foreslått til vurdering eller under vurdering i Norge (se Nye metoder [ID 2016\\_032](#), [ID2016\\_033](#), [D2016\\_034](#))

### Registrerte og pågående studier

Det er registrert flere relevante studier, ingen av disse er med kontrollgruppe (se tabell under). For en av studiene foreligger publiserte resultater.

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer*	Forventet ferdig
Gutter og menn > 12 år med hemofili B (N=59)	Nonakog beta pegol	Ingen kontrollgruppe	Dannelse av FIX inhibitor, Sikkerhet	<a href="#">NCT01333111</a>	Avsluttet og publisert (6)
Gutter < 12 år med hemofili B, tidligere behandlet med FIX (N = 25 planlagt)	Nonakog beta pegol	Ingen kontrollgruppe	Dannelse av FIX inhibitor, Sikkerhet	<a href="#">NCT01467427</a>	Oktober 2018
Gutter under 6 år med hemofili B, tidligere ubehandlet med FIX (N= 50 planlagt)	Nonakog beta pegol	Ingen kontrollgruppe	Dannelse av FIX inhibitor, Sikkerhet	<a href="#">NCT02141074</a>	Oktober 2022

\*ClinicalTrials.gov Identifier [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)

FIX = Faktor IX

## Hvilke aspekter er relevante for en metodevurdering

Klinisk effekt	<input checked="" type="checkbox"/>	Forventet klinisk effekt er færre episoder med blødning, færre bivirkninger og økt livskvalitet. Lenger halveringstid vil kunne gi færre behandlingsrunder. Vi har ikke gjennomgått klinisk dokumentasjon
Sikkerhet/bivirkninger	<input checked="" type="checkbox"/>	Metoden har vist en akseptabel risikoprofil (6), men det foreligger ikke sammenliknende studier
Kostnader/ressursbruk	<input checked="" type="checkbox"/>	Sjelden tilstand, bør vurderes i forhold til inkludering i LIS-anbud på lik linje med andre faktor VIII-produkter
Kostnadseffektivitet	<input checked="" type="checkbox"/>	
Organisatoriske konsekvenser	<input type="checkbox"/>	
Etikk	<input type="checkbox"/>	
Juridiske konsekvenser	<input type="checkbox"/>	
Annet	<input type="checkbox"/>	

## Hva slags metodevurdering er aktuell

Hurtig metodevurdering	<input checked="" type="checkbox"/>
Fullstendig metodevurdering	<input type="checkbox"/>

## Hovedkilder til informasjon

Hovedkilder for metodevarselet er:

- [Specialist Pharmacy Service, UK Nonacog Beta Pegol](#) (Sep 2016)
- [Senter for sjeldne diagnoser](#) (Sep 2016)
- [Nordic hemophilia guidelines](#) (2015)
- Legemiddelhåndboka –[L4.3.5 Faktor IX](#) (Sep 2016)
- [Metodevarsel Rixubis Mednytt](#) mai 2016
- [Collins mfl Blood. 2014 Dec 18;124\(26\):3880-6. doi: 10.1182/blood-2014-05-573055 Recombinant long-acting glycoPEGylated factor IX in hemophilia B: a multinational randomized phase 3 trial.](#)

Se under arkfanen [mer om oss](#) for mer informasjon om prosess og prosedyre for metodevarsling.

Første varsel September 2016

Siste oppdatering 19.09.2016 Norsk metodevarsel, alle lenker sjekket