

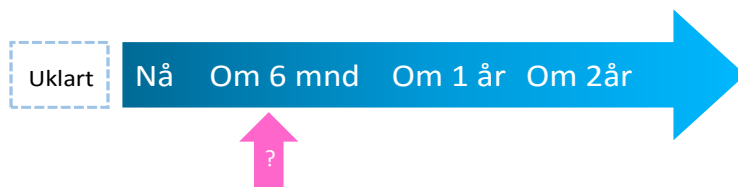


# Koagulasjonsfaktor X (Coagadex) i behandling av faktor X-mangel

Legemiddel, Blod, Spesialisthelsetjenesten  
Koagulasjonsfaktor X/Coagadex ([Bio Products Laboratory](#)):

## Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv:



Markedsføringstillatelse (MT) for Europa foreligger foreløpig ikke, men metoden er under vurdering av de Europeiske Legemiddelmyndigheter (EMA). Metoden er godkjent av FDA i USA for bruk til voksne og barn fra 12 år med arvelig faktor X-mangel i behandling av blødningsepisoder, og til pre-operativ bruk hos pasienter med mild arvelig faktor X-mangel (1).

## Status for dokumentasjon

### Metodevurdering

Metoden er ikke tidligere vurdert i Norge.

Vi har ikke identifisert relevante publiserte utenlandske metodevurderinger, systematiske oversikter eller økonomiske evalueringer. Vi fant et engelsk metodevarsel om metoden (1)

### Publisert forskning

Vi er ikke kjent med at det foreligger fagfellevurderte publikasjoner fra kliniske studier.

### Registrerte og pågående studier

Vi identifiserte flere små registrerte pågående studier, flere skal være ferdigstilte (se nedenfor).

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer <sup>1</sup>	Forventet ferdig
Pasienter med faktor X-mangel (9)	Faktor X	Ingen	Reduksjon/forebygging av blødning	<a href="#">NCT01721681</a>	Juli 2015
Pasienter med faktor X-mangel (4)	Faktor X	Ingen	Endring i hemoglobin fra før kirurgi til behandlingsslutt	<a href="#">NCT01086852</a>	Januar 2014
Pasienter med faktor X-mangel (16)	Faktor X	Ingen	Farmakokinetikk	<a href="#">NCT00930176</a>	Ferdig 2013

<sup>1</sup> [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)

## Beskrivelse av den nye metoden, aktuell pasientgruppe og dagens tilbud

### Metoden

Legemiddelet inneholder human koagulasjonsfaktor X og er det første legemidlet på det norske markedet som inneholder denne faktoren alene. Legemiddelet produseres fra human plasma.

### Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Søkt indikasjon er behandling og forebygging av blødning hos pasienter med arvelig koagulasjonsfaktor X mangel.

Arvelig faktor X-mangel er en sjelden blødersykdom forårsaket av arvelig mangel på koagulasjonsfaktor X. Begge kjønn kan være bærere og begge kan utvikle faktor X mangel. Forekomsten av alvorlig faktor X-mangel i den generelle befolkningen er ca 1 av 1 million (1).

## Alvorlighetsgrad

Faktor X-mangel varierer i alvorlighetsgrad, som er definert i henhold til det endogene nivået av faktor X i plasma. Alvorlig faktor X-mangel er definert som konsentrasjonen av endogen faktor X <1% (<1 IU / dl); moderat mangel er når faktor X-nivået er 1-5 %; og mild mangel er når faktor X er > 5%.

#### Dagens tilbud

Det finnes ingen spesifikk behandling for faktor X-mangel. Blødninger behandles med frisk, frosset plasma (FFP), et konsentrat av koaguleringsfaktorforbindelser eller protrombinkompleksskonsentrater. Dosering av faktor X med disse produktene er vanskelig, og det er fare for å heve andre koaguleringsfaktorerer med derav følgende potensielle komplikasjoner som trombose og emboli (muntlig kommunikasjon).

#### Forventet helsegevinst, risiko, kostnader og andre mulige egenskaper (effekt og egenskaper er ikke vurdert)

##### Klinisk effekt

Dødelighet: Det er forventet at færre blødninger vil kunne gi nedsatt dødelighet, men så langt er dette ikke undersøkt i studier.

Sykelighet: I følge det engelske metodevarselet opplyser produsenten at de fleste blødningene i studie NCT00930176 ble stoppet (155/187 (82,9 %)) med bare en infusjon av legemiddelet (1). Vi kjenner ikke til resultater fra andre studier.

Livskvalitet: Vi er ikke kjent med at livskvalitet har blitt målt i studiene.

##### Risiko/bivirkninger

I følge det engelske metodevarselet opplyser produsenten at to pasienter i studie NCT00930176 rapporterte hhv fatigue og infusjonsstedsrelatert rødme, smerte og ryggsmerte (1). Det ble ikke rapportert om andre alvorlige bivirkninger.

Produsenten oppgir at siden legemiddelet er et plasmaprodukt vil det være en teoretisk økt risiko for virus og Creutz-Feldt Jacobs smitte (se produsentens hjemmesider).

##### Kostnader

Kostnader og ressursbruk er foreløpig ukjent

##### Finansiering

Legemidlet forventes finansiert via sykehus dersom det besluttes tatt i bruk.

#### Metode for utforming av varsel og hovedkilder til informasjon

Varselet er basert på et begrenset utvalg kilder og søk beskrevet under [mer om oss](#). Metodevarslar om legemidler er utformet av Statens legemiddelverk i samarbeid med Kunnskapsenteret. Vi har ikke gjennomført et systematisk litteratursøk etter primærstudier. Vi har ikke vurdert kvaliteten av dokumentasjonen gitt av referansene.

Hovedkilder for metodevarselet er:

1. [NewDrugsOnline,UK](#) januar 2016

Første varsel                      Norsk metodevarsel, januar 2016

Siste oppdatering              Januar 2016, lenker sjekket 18.01.2016

#### Konklusjon fra Statens legemiddelverk (egnethetsvurdering)

**Metoden er ny og potensielt viktig, metodevurdering anbefales før metoden tas i bruk**

##### Type metodevurdering:

Hurtig	X
Fullstendig	
<b>Følgende bør vurderes:</b>	
Klinisk effekt og sikkerhet	X
Kostnader/ressursbruk	X
Kostnadseffektivitet	X
Organisatoriske konsekvenser	
Juridiske konsekvenser	
Etiske konsekvenser	

##### Begrunnelse og kommentarer

--