



## Nonacog gamma (Rixubis®) til behandling og profylakse av pasienter med hemofili B (medfødt faktor IX-mangel)

Kategori: Legemiddel

Bruksområde og fagområde: Spesialisthelsetjenesten; Blod

Generisk navn: nonacog gamma

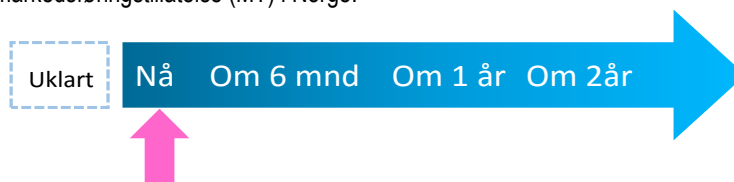
Produktnavn: Rixubis

Produsent: Baxalta Innovations GmbH

Søkestermer/synonymer: nonacog gamma; Rixubis; BAX 326; recombinant factor IX; rekombinant faktor IX; **Hæmophilia B**; Factor IX deficiency; F9 Deficiency; hemofili B; blødersykdom; medfødt faktor IX mangel

### Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden er godkjent og lansert i USA. Metoden ble godkjent for bruk i EU i desember 2015 og har markedsføringstillatelse i Norge (1). Metoden er ikke tatt i bruk i Norge.

### Forventet finansieringsordning

|                  |                                     |  |
|------------------|-------------------------------------|--|
| Sykehus          | <input checked="" type="checkbox"/> | Finansieringsordning for legemidler til behandling av hemofili er nylig endret |
| Blå resept       | <input type="checkbox"/>            |  |
| Egenfinansiering | <input type="checkbox"/>            |  |
| Usikkert         | <input type="checkbox"/>            |  |

### Beskrivelse av den nye metoden

Nonacog gamma i behandling av blødersykdom (hemofili) er et kjent behandlingsprinsipp i ny form. Faktor IX foreligger både som blodplasmaderiverte og genteknologisk fremstilte (rekombinant) konsentrater. Metoden omfatter en ny type rekombinant human faktor IX. I dette tilfellet er faktor IX behandlet med pegylering for å gi lenger halveringstid (1,2). Indikasjon er behandling og forebygging av blødersykdom type hemofili B (medfødt faktor IX mangel). Administrasjon er intravenøst.

### Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Hemofili er en sjelden, medfødt og arvelig sykdom der blodet ikke koagulerer normalt på grunn av defekte eller manglende koagulasjonsfaktorer. Hemofili medfører økt blødningstendens, spontant, og/eller etter traume eller kirurgi. De to vanligste formene er hemofili A og B. Begge variantene nedarves kjønnsbundet og rammer gutter og menn. Hemofili kategoriseres i tre ulike alvorlighetsgrader, avhengig av faktor IX-aktiviteten i plasma: alvorlig, moderat og mild. For pasienter med alvorlig, og moderat hemofili vil de første blødningene vanligvis oppstå henholdsvis ved 5 til 6 mnd og 1 til 2 års alder. Ved mild hemofili oppstår blødningene ofte i forbindelse med operasjoner eller større skader, og oppdages først senere i livet. Før moderne behandling med koagulasjonsfaktorer fantes tilgjengelig, var leveutsiktene dårlige. Fremskritt innen diagnostikk, og økt tilgjengelighet og bruk av faktorkonsentrat, fremfor alt som blødningsprofylakse, har økt overlevelsen for blødere i Norden fra ca 15 år til nærmest normal livslengde.

Det finnes i dag ca 400 pasienter med hemofili A og B i Norge. Mens hemofili A står for 80 til 85 % av tilfellene, står hemofili B for 15 til 20 %. Prevalens av hemofili B i Norden er ca 1,7 per 100 000. Ifølge en undersøkelse fra 2012 var det 104 pasienter med hemofili B i Norge hvor 28 hadde alvorlig, 52 moderat, og 24 mild sykdom (3,4).

### Dagens tilbud

Det foreligger ikke nasjonale retningslinjer, men fagmiljøene har utarbeidet nordiske behandlingsveiledere (4). Hensikten med behandlingen er å forhindre blødning, stoppe pågående blødning og om mulig forhindre at gjentatte blødninger fører til kronisk invaliditet. Behandlingsstrategien vil avhenge av alvorlighetsgrad og formål. I dag brukes både plasmaderiverte faktor IX-konsentrater (Immunine® og Octanine®) og et rekombinant faktor IX-konsentrat (BeneFIX®). Behandling kan gis som hjemmetransfusjon.

### Status for dokumentasjon

#### Metodevurdering

- Det foreligger ingen relevant norsk metodevurdering.
- Vi kjenner ikke til internasjonale oppdaterte relevante metodevurderinger, men utelukker ikke at dette foreligger. Vi fant et relevant engelsk metodevarsel.

#### Publisert forskning

Vi kjenner ikke til at det foreligger fagfelleverderte publiserte resultater knyttet til dokumentasjonen vurdert av EMA.

#### Registrerte og pågående studier

Et begrenset søk i WHO [ICTRP](#) databasen gir flere registrerte studier som muligens er relevante, men ingen som direkte sammenlikner metoden med bruk av andre koaguleringsfaktorer (ikke vist). Vi har ikke gjennomgått dokumentasjonen i detalj.

### Hvilke aspekter kan være relevante for en metodevurdering?

|                              |                                     |  |
|------------------------------|-------------------------------------|--|
| Klinisk effekt               | <input checked="" type="checkbox"/> | Klinisk effekt er antatt å være på linje med konvensjonelle faktor IX-preparater (1). Halveringstid er antatt å være bedre, noe som kan bety at behandlingen kan gis sjeldnere. Effekt av dette er ikke undersøkt i direkte sammenliknende studier. Vi har ikke vurdert klinisk dokumentasjon. |
| Sikkerhet/bivirkninger       | <input checked="" type="checkbox"/> | Metoden har vist en akseptabel risikoprofil (1), men det foreligger ikke resultater fra direkte sammenliknende studier.  |
| Kostnader/ressursbruk        | <input checked="" type="checkbox"/> | Rixubis har følgende godkjente maksimalpriser (AUP):<br>Fra 250 IE 1 sett 1 871,70 NOK til 3000 IE 1 sett 21 992,70 NOK  |
| Kostnadseffektivitet         | <input checked="" type="checkbox"/> | Det kan være behov for helseøkonomiske vurderinger knyttet til anbefalinger for bruk.  |
| Organisatoriske konsekvenser | <input type="checkbox"/>            |  |
| Etikk                        | <input type="checkbox"/>            |  |
| Juridiske konsekvenser       | <input type="checkbox"/>            |  |
| Annet                        | <input type="checkbox"/>            |  |

### Hva slags metodevurdering kan være aktuell?

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

### Hovedkilder til informasjon

Hovedkilder for metodevarselet er:

1. [European Medicines Agency \(www.ema.europa.eu\)](http://www.ema.europa.eu), Rixubis
2. [New Drugs Online, Rixubis](#)
3. Senter for sjeldne diagnoser <http://www.sjeldnediagnoser.no/>
4. [Nordic Hemophilia Guidelines, 2015](#)

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

Første varsel            Mai 2016  
Siste oppdatering    09.05.2016