



Albutrepenonacog alfa (Idelvion) til behandling og profylakse av blødning hos pasienter med hemofili B (medfødt faktor IX-mangel)

Kategori: Legemiddel

Bruksområde og fagområde: Spesialisthelsetjenesten; Blod

Generisk navn: albutrepenonacog alfa

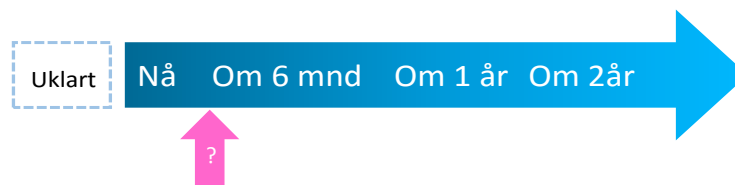
Produktnavn: (Idelvion)

Produsent: CSL Behring

Søkestermer/synonymer: Albutrepenonacog alfa; Idelvion; rIX-FP; CSL-654; factor IX with recombinant albumin; **Haemophilia 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 i USA. Metoden har foreløpig ikke markedsføringstillatelse i EU men er under vurdering av De Europeiske Legemiddelmyndigheter (EMA) (1).

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

Albutrepenonacog alfa i behandling av blødersykdom (hemofili) representerer et kjent behandlingsprinsipp i ny form. Faktor IX for behandling og forebygging av pasienter med hemofili B foreligger som blodplasmaderiverte og genteknologisk fremstilte (rekombinant) konsentrater. Albutrepenonacog alfa er en av flere nye rekombinante faktor IX preparater. I dette tilfellet er human faktor IX genetisk fusjonert med rekombinant albumin. Albumin skal sikre lengre halveringstid. Indikasjon er behandling og forebygging av blødersykdom type hemofili B (medfødt faktor IX mangel) hos voksne og barn (1,2,3). 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. Mens hemofili A står for 80 til 85 % av tilfellene, står hemofili B for 15 til 20 %. 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 var leveutsiktene dårlige. Fremskritt innen diagnostikk, og økt tilgjengelighet og bruk av faktorkonsentrat 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 i dag. 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 (3). 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 (2).

Publisert forskning

Vi kjenner ikke til at det foreligger fagfelleverderte publikasjoner fra registrerte studier.

Registrerte og pågående studier

De viktigste registrerte studiene er sannsynligvis tre fase III studier (se tabell nedenfor):

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer*	Forventet ferdig
Menn 12-70 år med alvorlig hemofili B, tidligere deltakere i NCT01662531 og NCT01496274 (N=115)	Eksperimentell rIX-FP	Ingen kontrollgruppe uten rIX-FP	Langtidssikkerhet: Utvikling av FIX inhibitor; Blødningsepisoder og mengede rIX-FP brukt	NCT02053792 (extension study)	2020
Barn yngre enn 12 år med alvorlig hemofili B (N= 27)	Eksperimentell rIX-FP	Ingen kontrollgruppe	Halveringstid og sikkerhet; blødningsepisoder	NCT01662531	2014 – resultater foreligger (2)
Menn 12-65 år med alvorlig hemofili B (N=63)	Eksperimentell rIX-FP	Ingen kontrollgruppe	Blødningsepisoder; Utvikling av FIX inhibitorer; Sikkerhet	NCT01496274	2014 – resultater foreligger (1)

FIX = faktor IX, rIX-FP = eksperimentell versjon av albutrepenonacog alfa, *ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

Hvilke aspekter kan være 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"/>	Det er forventet at metoden kan gi færre pasienter som opplever immunreaksjoner mot faktor IX.
Kostnader/ressursbruk	<input checked="" type="checkbox"/>	Idelvis har foreløpig ikke fått pris i Norge.
Kostnadseffektivitet	<input checked="" type="checkbox"/>	
Organisatoriske konsekvenser	<input type="checkbox"/>	Færre behandlingsrunder
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. [EMA, Idelvion](#)
2. [NewDrugsOnline](#), Idelvion (voksne og ungdom)
3. [NewDrugsOnline, Idelvion](#) (barn)

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

Første varsel	Mai 2016
Siste oppdatering	09.05. 2016 (alle lenker sjekket)