



## Octocog alfa (Iblias;Kovaltry) til behandling og profylakse av blødning hos pasienter med hemofili A (medfødt faktor VIII-mangel)

Kategori, Bruksområde og fagområde: Legemiddel; Spesialisthelsetjenesten; Blod

Generisk navn: octocog alfa

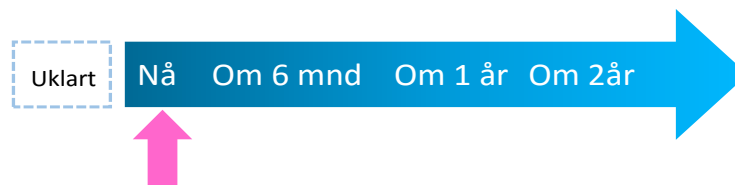
Produktnavn: Iblias (EU), Kovaltry (EU,US),

Produsent: Bayer

Søketermer/synonymer: octocog alfa; Iblias; Kovaltry; BAY81-8973; recombinant factor VIII; rekombinant faktor VIII; **Hæmophilia A**; Factor VIII deficiency; hemofili B; blødersykdom; medfødt koaguleringsfaktor VIII mangel

### Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden er godkjent i USA og EU. Metoden har markedsføringstillatelse i Norge (1,2). Vi kjenner ikke til at metoden er tatt i bruk i Norge.

### Forventet finansieringsordning

Sykehus	<input checked="" type="checkbox"/>	Finansieringsordning for enkelte 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

Octocog alfa i behandling av blødersykdom (hemofili) er et kjent behandlingsprinsipp i ny form. Faktor VIII foreligger som blodplasmaderiverte og genteknologisk fremstilte (rekombinant) konsentrater. Metoden er en av flere nye rekombinante faktor VIII preparater. I dette tilfellet er human faktor VIII formulert med sukrose (1,2). Indikasjon er behandling og forebygging av blødersykdom type hemofili A (medfødt faktor VIII). 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 kan kategoriseres i tre ulike alvorlighetsgrader, avhengig av faktor 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 i dag. Prevalens av hemofili A i Norden er ca 7 per 100 000. En undersøkelse fra 2012 viser at det var 337 pasienter med hemofili A i Norge hvorav 173 hadde alvorlig, 33 moderat og 131 mild form (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 plasmaderivert og rekombinant og faktor VIII.

### 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 (1).

#### Publisert forskning

Vi kjenner ikke til fagfelleverderte publikasjoner fra registrerte studier

#### Registrerte og pågående studier

Den viktigste registrerte studien er sannsynligvis en fase II studie:

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer*	Forventet ferdig
Menn 12 til 65 år med alvorlig hemofili A (N=74)	BAY81-8973 (eksperimentell variant av legemiddelet)	5 armer med cross over (ingen kontrollgruppe uten	Farmakokinetiske data; Blødninger; livskvalitet; sikkerhet	NCT01029340	Ferdigstilt 2013

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

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

Klinisk effekt	<input checked="" type="checkbox"/>	Vi har ikke undersøkt hva som evt skiller dette produktet fra andre rekombinante Faktor VIII produkter
Sikkerhet/bivirkninger	<input checked="" type="checkbox"/>	
Kostnader/ressursbruk	<input checked="" type="checkbox"/>	Ibias/Kovaltry har foreløpig ikke fått pris i Norge.
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 kan være aktuell?

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

### Hovedkilder til informasjon

Hovedkilder for metodevarselet er:

1. [NewDrugsOnline](#) octocog alfa sucrose plasma protein-free
2. [EMAs hjemmesider](#)
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 metodevarslings.

Første varsel            Mai 2016  
Siste oppdatering    09.05.2016