



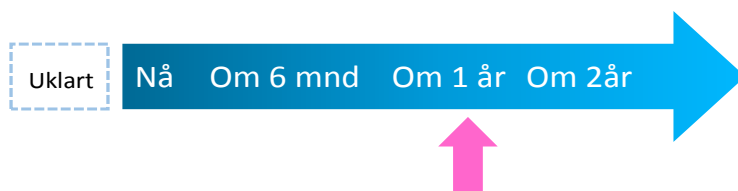
## Efmoroctocog alfa (Elocta) til behandling av hemofili A

Legemiddel, Behandling, Blod, Spesialisthelsetjenesten

Navn/Produktnavn (produsent): efmoroctocog alfa/Elocta (Biogen Idec Ltd)

### Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv:



Efmoroctocog alfa er ikke tatt i bruk i Norge, men søknad om markedsføringstillatelse ble akseptert av Det europeiske legemiddelbyrået (EMA) i november 2014. Virkestoffet har vært markedsført i USA siden juni 2014 under handelsnavnet Eloctate™ til behandling av barn og voksne med hemofili A.

### Status for dokumentasjon

#### Metodevurdering

- Metoden er ikke tidligere vurdert i Norge.
- Vi fant en relevant engelsk tidlig-vurdering fra oktober 2013 (1)

#### Publisert forskning

Vi kjenner ikke til publisert fagfelleverdert forskning for metoden.

#### Registrerte og pågående studier

Et søk i [clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov) ga en nylig avsluttet klinisk fase III studie som ennå ikke er publisert – Kids A-LONG. En annen studie A-LONG beskrives i den engelske tidlig vurderingen kilden (1).

Intervensjon	Kontrollgruppe	Populasjon (antall deltagere)	Studienummer	Forventet ferdig
efmoroctocog alfa	Ingen kontrollgruppe	Gutter under 12 år med alvorlig hemofili A (N=71)	NCT01458106 <sup>1</sup> Kids ALONG	Studien er avsluttet, resultater foreligger
efmoroctocog alfa	Ingen kontrollgruppe	Gutter/menn over 12 år med alvorlig hemofili A (N=165)	NCT01181128 <sup>1</sup> A-LONG	Studien er avsluttet, resultater foreligger

<sup>1</sup>Identifisert i: [www.ClinicalTrials.gov](http://www.ClinicalTrials.gov)

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

#### Metoden

Elocta til behandling av hemofili A omfatter et kjent behandlingsprinsipp i en ny form. Efmoroctocog alfa er et langtidsvirkende factor VII-Fc fusjonsprotein, bestående av faktor VIII koblet til Fc-delen av humant immunoglobulin G1 (IgG1). Prinsippet med å erstatte den manglende faktoren i blodet er som tidligere, men takket være langvarig effekt kan forebyggende dosering med Elocta foregå noe sjeldnere enn tilfellet er med dagens faktorerstatning. Godkjenning i USA er gitt på bakgrunn av ikke sammenlignende studier.

#### Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Hemofili er en arvelig, medfødt og livslang sykdom som skyldes en defekt i blodleeringsmekanismen. Dette gir økt blødningsrisiko. Hemofili A kjennetegnes av redusert aktivitet av faktor VIII, mens pasienter med hemofili B mangler faktor IX. Sykdommen er sjelden og det ble anslått ca 400 rammede i Norge i 2012. Hemofili arves ved vikende kjønnsbundet arv. Det vil si at bare gutter kan være syke. Kvinner kan bringe arven videre, være arvebærere, uten selv å være syke.

#### Alvorlighetsgrad

Det skiller mellom 3 forskjellige alvorlighetsgrader av hemofili: Alvorlig, moderat og mild  
De som har mindre enn 1 % av normal faktoraktivitet i blodet, har hemofili i alvorlig grad. Mellom 1 og 5 % aktivitet kalles moderat hemofili. Er faktoraktiviteten mellom 5 og 30 % kaller vi det hemofili i mild grad. Symptomene og behandlingen varierer mellom de ulike alvorlighetsgradene, men behandlingsmålet er at de rammede guttene i størst mulig grad skal leve et normalt liv. Personer med hemofili har i dag en tilnærmet normal levetid.

#### **Dagens tilbud**

Forebygging av blødninger skjer ved tilførsel av faktor VIII. Kort halvveringstid (8-12 timer) medfører at pasienter med alvorlig hemofili må tilføres faktor VIII hver andre til tredje dag for å holde nivået over 1 %. Ved alle alvorlighetsgrader av hemofili kan blødninger behandles med tilførsel av den manglende blodlevingsfaktoren i konsentrert form. Slike konsentrater er tilgjengelige ved alle regionsykehus og de fleste andre større sykehus. Konsentratene må gis intravenøst, og effekten av behandlingen er begrenset til 1/2 - 1 døgn. I forbindelse med skader, operasjoner o.l. kan derfor gjentatte behandlinger være påkrevet. For personer med mild grad av hemofili A foreligger dessuten muligheten for å tilføre et medikament (Octostim®) som forbigående flerdobler mengden faktor VIII i blodet. Octostim gis som nesenspray og er en effektiv behandling av blødning etter mindre skader.

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

##### **Klinisk effekt**

Elocta har ifølge den amerikanske nettsiden til legemidlet vist å beskytte effektivt mot blødninger ved forbyggende infusjon hver tredje til femte dag. Dette er sjeldnere enn dagens behandling. Den har også vist effekt på akutte blødninger. 98 % av 757 blødninger lot seg kontrollere med en til to infusjoner. Vi har ikke funnet noen kliniske studier som sammenligner effekten av Elocta og dagens behandlingalternativer.

##### **Risiko/bivirkninger**

Risiko for pasienter: De vanligste bivirkningene ved bruk av Elocta er leddsmerter og generell uvelhet.

##### **Kostnader**

Enhetskostnad: Foreløpig ukjent

Ressursbruk i helsetjenesten: muligens lavere grunnet redusert behandlingsfrekvens

##### **Andre egenskaper**

Organisatoriske konsekvenser: Nytt behandlingsforløp – redusert behandlingsfrekvens sammenlignet med dagens behandling

Nasjonale faglige retningslinjer: Dersom metoden tas i bruk vil den kunne påvirke Nasjonale faglige retningslinjer

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

Varslet er basert på et begrenset utvalg kilder og søk beskrevet under [Prosedyrer MedNytt](#). Omtaler av legemidler er utformet i samarbeid med Statens legemiddelverk. Vi har ikke gjennomført et systematisk litteratursøk etter primærstudier. Vi har ikke vurdert kvaliteten av dokumentasjonen gitt av referansene.

Hovedkilder for metodevarselet er:

1. NIHR Horizon Scanning Centre, University of Birmingham [Efralococog alfa \(Eloctate\) for haemophilia A in adults and children](#), October 2013
2. [www.sjeldnediagnoser.no](http://www.sjeldnediagnoser.no) – Hemofili A
3. [www.eloctate.com](http://www.eloctate.com)

Første varsel Oktober 2013, tittel med lenke til engelsk tidligvurdering publisert i MedNytt

Siste oppdatering April 2015, norsk metodevarsel (alle lenker sjekket 26.03.2015)

Konklusjon fra Statens legemiddelverk			
Dato: 26.03.2015			
<b>A) Metoden er ikke ny/relevant</b>		<b>B) Metoden er ny og potensielt viktig, men det er for tidlig å vurdere metoden</b>	<b>C) Metoden er ny og potensielt viktig, metodevurdering anbefales før metoden tas i bruk</b>
<b>Metoden følges ikke</b>		<b>Metoden følges</b>	<b>X</b>
<b>[Annet]</b>			<b>Type metodevurdering:</b>
			Hurtig <b>X</b>
			Fullstendig
			<b>Følgende bør vurderes:</b>
			Klinisk effekt og sikkerhet <b>X</b>
			Kostnader/ressursbruk <b>X</b>
			Kostnadseffektivitet <b>X</b>
			Organisatoriske konsekvenser
			Juridiske konsekvenser
			Etiske konsekvenser
<b>Begrunnelse og kommentarer</b>			