



Koagulasjonsfaktor X til behandling av faktor X-mangel

Legemiddel, spesialisthelsetjeneste og Blod

Koagulasjonsfaktor X (Bio Products Laboratory):

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv:

MT i Norge:

Uklart

Nå Om 6 mnd Om 1 år Om 2 år

?

Metoden er under vurdering av de Europeiske Legemiddelmyndigheter (EMA).

Status for dokumentasjon

Metodevurdering

-Metoden er ikke tidligere vurdert i Norge.

- Vi har ikke identifisert relevante publiserte utenlandske metodevurderinger, systematiske oversikter eller økonomiske evalueringer.

Publisert forskning

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

Registrerte og pågående studier

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe ¹	Hovedutfall	Studienummer ²	Forventet ferdig
Pasienter med faktor X-mangel (9)	Faktor X	Ingen	Reduksjon/forebygging av blødning	NCT01721681	Juli 2015
Pasienter med faktor X-mangel (4)	Faktor X	Ingen	Endring i hemoglobin fra før kirurgi til behandlingsslutt	NCT01086852	Januar 2014
Pasienter med moderat eller alvorlig faktor X-mangel (16)	Faktor X	Ingen	Farmakokinetikk	EUCTR2009-011145-18-GB	Ukjent
Pasienter med faktor X-mangel	Faktor X	Ingen	Farmakokinetikk	NCT00930176	November 2013

Beskrivelse av den nye metoden, aktuell pasientgruppe og dagens tilbud

Metoden

Legemidlet inneholder human koagulasjonsfaktor X og er det første legemidlet på det norske markedet som inneholder denne faktoren alene.

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.

Alvorlighetsgrad

<p>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%.</p>	
<p>Dagens tilbud</p>	
<p>Det finnes ingen spesifikk behandling for faktor X mangel tilgjengelig, og derfor er det i dag nødvendig å behandle blødninger med koaguleringsfaktor forbindelser som FFP eller protrombinkompleksskonsentrater. Dosering av faktor X med disse produktene er vanskelig, og det er fare for å heve andre koaguleringsfaktorer i den suprafysiologiske serien med derav følgende potensielle komplikasjoner av trombose og emboli.</p>	
<p>Forventet helsegevinst, risiko, kostnader og andre mulige egenskaper (effekt og egenskaper er ikke vurdert)</p>	
<p>Klinisk effekt</p>	
<p>Vi har ikke funnet at noen av studiene til Coagadex har vist effekt på dødelighet.</p>	
<p>Vi har ikke vurdert effekt fra kliniske studier på reduksjon i blødning.</p>	
<p>Vi er ikke kjent med at livskvalitet har blitt målt i studiene.</p>	
<p>Risiko/bivirkninger</p>	
<p>Vi har ikke vurdert sikkerhetsprofilen til legemidlet.</p>	
<p>Kostnader</p>	
<p>Kostnader og ressursbruk er foreløpig ukjent</p>	
<p>Andre egenskaper</p>	
<p>Legemidlet forventes finansiert via sykehus dersom det besluttes tatt i bruk.</p>	
<p>Metode for utforming av varsel og hovedkilder til informasjon</p>	
<p>Varslet er basert på et begrenset utvalg kilder og søk beskrevet under arkfanen mer om oss Metodevarsler om legemidler er utformet av Statens legemiddelverk i samarbeid med Kunnskapssenteret. Vi har ikke gjennomført et systematisk litteratursøk etter primærstudier. Vi har ikke vurdert kvaliteten av dokumentasjonen gitt av referansene.</p>	
<p>Hovedkilder for metodevarslet er:</p>	
Første varsel	11.01.2016
Siste oppdatering	11.01.2016