



## Lonoktokog alfa til behandling av hemofili A

Kategori: Legemiddel

Bruksområde og fagområde: Spesialisthelsetjenesten

Generisk navn: lonoktokog alfa

Produsent: CLS Behring

Søketermer/synonymer:

### Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Søknad om markedsføringstillatelse i EU ble levert i desember 2015 og i USA i juli 2015. Metoden ble godkjent i USA i mai 2016. (1). Metoden er omtalt på [European Medicines Agency](#) sine sider.

### Forventet finansieringsordning

Sykehus	<input checked="" type="checkbox"/>	
Blå resept	<input type="checkbox"/>	
Egenfinansiering	<input type="checkbox"/>	
Usikkert	<input type="checkbox"/>	

### Beskrivelse av den nye metoden

Lonoktokog alfa er et nytt rekombinant enkelt-kjedet faktor VIII-konsentrat som er søkt godkjent til behandling og profylakse av blødninger hos pasienter med hemofili A (faktor VIII mangel). Et sterkt kovalent bånd forbedrer trolig stabiliteten og øker halveringstiden sammenlignet med konvensjonelle faktor VIII-preparater. Lonoktokog alfa administreres som intravenøs injeksjon.

### Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Hemofili A er arvelig sykdom som skyldes mangel eller fravær av koagulasjonsfaktor VIII. Sykdommen nedarves ved kjønnsbunden recessiv arv, slik at det i all hovedsak er gutter som rammes. Pasienter med mindre enn 1 % av normal faktor VIII aktivitet klassifiseres normalt som alvorlige blødere, og utgjør omtrent halvparten av alle tilfellene. De alvorlige tilfellene kjennetegnes ved spontane leddblødninger, bløtvevsblødninger, ukontrollerte blødninger ved operasjon, mage-tarm blødning og hjerneblødninger. Ved mildere former for hemofili A sees blødninger stort sett i forbindelse med traumer eller kirurgiske inngrep. Over tid vil gjentatte blødning kunne gi invalidiserende leddskader hos pasienter uten tilstrekkelig behandling.

I 2012 var det registrert 337 pasienter i Norge med hemofili A, hvorav 173 hadde alvorlig hemofili A. I Norge sto noe over 60 % av pasientene med alvorlig hemofili A på profylaktisk behandling, men dette utgjorde likevel 80-85 % av totalforbruket. I dag er andelen på profylaktisk behandling enda høyere ifølge norske klinikere.

### Dagens tilbud

Målsetningen for behandlingen av hemofili A er å forebygge ukontrollerte blødninger, og på lengre sikt også komplikasjoner som leddskader grunnet blødning. Behandlingen gis i dag i all hovedsak som erstatningsbehandling med rekombinante faktor VIII-preparater.

*Profylaktisk behandling* innebærer at faktor VIII-preparater tilføres jevnlig for å forebygge blødninger. Det anbefales om mulig at behandlingen startes før pasientens første leddblødning, og behandlingen er livslang, selv om dosen kan variere over

livsløpet. Dagens faktor VIII-konsentrater doseres normalt i doser mellom 20 og 40 IE/kg hver 2. eller 3. dag, men det anbefales i de nordiske retningslinjene at dosen tilpasses hver enkelt pasient basert på farmakokinetiske parametere.

*On-demand* behandling innebærer at pasientene behandles med faktor VIII-konsentrater etter blødning som ikke lar seg kontrollere på annen måte. Slik behandling vil i de fleste tilfeller stanse blødningen, men faren for senkomplikasjoner er større enn for profylaktisk behandling. *On-demand* behandling anses som tilstrekkelig ved mild hemofili A og hos en del pasienter med moderat hemofili A (faktor VIII-nivå over 1 %) (2)

#### Status for dokumentasjon

##### Metodevurdering

Metoden har ikke vært vurdert i Norge tidligere.

##### Registrerte og pågående studier

Vi har ikke identifisert publisert forskning vedrørende metoden.

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer*	Forventet ferdig
84 gutter (<12 år) med alvorlig hemofili A	Lonoktokog alfa	-	Behandlingssuksess	<a href="#">NCT02093897</a>	August 2015
Menn i alle aldre med alvorlig hemofili A	Lonoktokog alfa profylakse eller on-demand	-	Inhibitordannelse	<a href="#">NCT02172950</a>	Juni 2020

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

#### Hvilke aspekter er relevante for en metodevurdering

Klinisk effekt	<input checked="" type="checkbox"/>	
Sikkerhet/bivirkninger	<input checked="" type="checkbox"/>	
Kostnader/ressursbruk	<input checked="" type="checkbox"/>	
Kostnadseffektivitet	<input checked="" type="checkbox"/>	Bør vurderes i forhold til inkludering i LIS-anbud på lik linje med andre faktor VIII-produkter
Organisatoriske konsekvenser	<input type="checkbox"/>	
Etikk	<input type="checkbox"/>	
Juridiske konsekvenser	<input type="checkbox"/>	
Annet	<input type="checkbox"/>	

#### Hva slags metodevurdering er aktuell

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

#### Hovedkilder til informasjon

Hovedkilder for metodevarselet er:

1. [New Drugs Online](#)
2. [Hemophilia Guidelines 2015](#)

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

Første varsel	27.05.2016
Siste oppdatering	06.06.2016