



Nonacog beta pegol til behandling av hemofili B

Kategori: Legemiddel

Bruksområde og fagområde: Spesialisthelsetjenesten; Blod

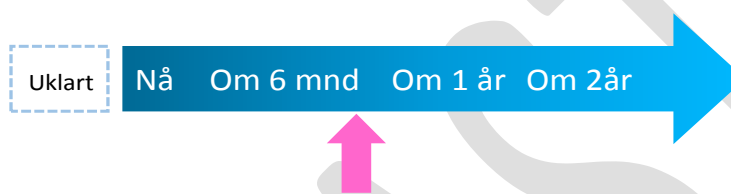
Generisk navn: nonacog beta pegol

Produsent: Novo Nordisk

Søketermer/synonymer:

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge: [Velg det som passer og sett inn pil på rett sted]


 Søknad om markedsføringstillatelse i Europa ble levert i januar 2016 og legemidlet er derfor ikke godkjent for bruk i Norge ennå. For mer informasjon om status for godkjeningsprosessen, se [NewDrugsOnline](#).

Forventet finansieringsordning

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

Beskrivelse av den nye metoden

Nonacog beta pegol er et nytt pegylert faktor IX-konsentrat som er søkt godkjent til behandling og profylakse av blødninger hos pasienter med hemofili B (faktor IX-mangel). Glykopeglylering øker halveringstiden av nonacog beta pegol sammenlignet med konvensjonelle faktor IX-preparater. Nonacog beta pegol administreres som intravenøs injeksjon (1).

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Hemofili B er arvelig sykdom som skyldes mangel eller fravær av koagulasjonsfaktor IX. 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 104 pasienter i Norge med hemofili B, hvorav 28 hadde alvorlig grad. Tilnærmet alle pasienter med alvorlig hemofili behandles profylaktisk (2,3).

Dagens tilbud

Målsetningen for behandlingen av hemofili B er å forebygge ukontrollerte blødninger, og på lengre sikt også komplikasjoner som leddskader grunnet blødning. Behandlingspraksis for norske hemofilipasienter er i all hovedsak erstatningsbehandling med faktorkonsentrater. I dag brukes både plasmaderiverte faktor IX-konsentrater (Immunine® og Octanine®) og et rekombinant faktor IX-konsentrat (BeneFIX®) (4). Legemiddelverket har tidligere varslet et nytt pegylert faktor IX-konsentrat (Rixubis®) som så langt ikke er metodevurdert, og derfor heller ikke tatt i bruk (5).

Status for dokumentasjon

Metodevurdering

Metoden har ikke vært vurdert i Norge tidligere.

Registrerte og pågående studier

Det er publisert resultater fra en fase III studie hvor 59 gutter og menn > 12 år ble behandlet profylaktisk med nonacog beta pegol. Primært endepunkt var inhibitordannelse. Ingen av pasientene utviklet dette (6).

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer*	Forventet ferdig
Gutter og menn > 12 år med hemofili B	Nonacog beta pegol	-	Inhibitordannelse	NCT01333111 ⁶	Avsluttet og publisert
Gutter < 12 år med hemofili B, tidligere behandlet med FIX**	Nonacig beta pegol	-	Inhibitordannelse	NCT01467427	Oktober 2018
Gutter under 6 år med hemofili B, tidligere ubehandlet med FIX**	Nonacog beta pegol	-	Inhibitordannelse	NCT02141074	Oktober 2022

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

** Faktor IX

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. [Senter for sjeldne diagnoser](#)
3. [Nordic hemophilia guidelines](#) (2015)
4. [Legemiddelhåndboka](#) – faktor IX
5. [Metodevarsel Rixubis](#) (nyemetoder.no)
6. [Recombinant long-acting glycoPEGylated factor IX in hemophilia B: a multinational randomized phase 3 trial.](#)

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

Første varsel	05.07.2016
Siste oppdatering	07.07.2016