



## Rurioctocog alfa pegol til behandling av hemofili A

Kategori: Legemiddel

Bruksområde og fagområde: Spesialisthelsetjenesten

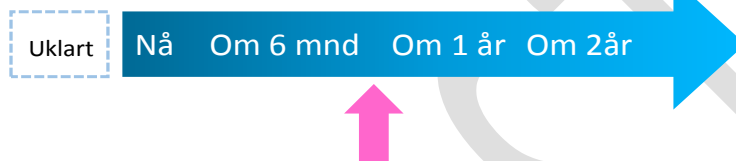
Generisk navn: rurioctocog alfa pegol

Produsent: Baxalta innovation GmbH

Søketermer/synonymer:

### Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Markedsføringstillatelse er søkt for behandling av hemofili A hos pasienter i alle aldre i Europa i mars 2016. Rurioctocog alfa pegol er markedsført i USA under merkenavnet Adynovate til behandling av ungdom og voksne i USA siden november 2015.

### 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

Rurioctacog alfa pegol er et nytt pegylert faktor VIII-konsentrat som er søkt godkjent til behandling og profylakse av blødninger hos pasienter med hemofili A (faktor VIII-mangel). Glykopegylering øker halvveringstiden av rurioctacog alfa pegol sammenlignet med konvensjonelle faktor VIII-preparater. Rurioctacog alfa pegol administreres som intravenøs injeksjon (1).

### 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 (2) (3).

### 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 %).

Det kommer stadig nye faktorstatningspreparater til behandling av hemofili A, hvor fellesnevneren er forbedret farmakokinetikk sammenlignet med førstegenerasjons-faktorpreparater.

### Status for dokumentasjon

#### Metodevurdering

Metoden er ikke tidligere vurdert i Norge.

#### Registrerte og pågående studier

Det er publisert resultater fra en fase II/III-studie hvor 159 gutter og menn > 12 år ble behandlet med rurioctacog alfa pegol. Både *on-demand*behandling og profylaktisk behandling ble undersøkt, og primært endepunkt var årlig blødningsrate (1). Studien inkluderte dessuten en farmakokinetisk sammenligning med konvensjonell rekombinant faktor-VIII (Advate).

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer*	Forventet ferdig
Pasienter < 12 år med alvorlig hemofili A (n=75)	Profylaktisk behandling med rurioctacog alfa pegol.	-	Inhibitor dannelse	<a href="#">NCT02210091</a>	Avsluttet (ikke funnet publisasjon)
Pasienter < 12 år med alvorlig hemofili A (n=75)	Rurioctacog alfa pegol	Rekombinant faktor-VIII (Advate)	Farmakokinetiske parametre	<a href="#">NCT02210091</a>	Avsluttet (ikke funnet publisasjon)
Pasienter med alvorlig hemofili A som skal gjennomføre kirurgi (n=30)	Enkelt dose rurioctacog alfa pegol før inngrepet basert på farmakokinetiske data og inngrepets art	-	Global Hemostatic Efficacy Assessment score (GHEA)	<a href="#">NCT01913405</a>	Desember 2016

\*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"/>	
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:

- [Pegylated, full-length, recombinant factor VIII for prophylactic and on-demand treatment of severe hemophilia A](#)
- [Senter for sjeldne diagnoser](#)
- [Nordic hemophilia guidelines](#) (2015)

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

Første varsel	07.10.2016
Siste oppdatering	10.10.2016