



Damoctocog alfa pegol til behandling av hemofili A

Type metode: Legemiddel

Område i MedNytt: Blod; Sjeldne diagnoser

Generisk navn: damoctocog alfa pegol

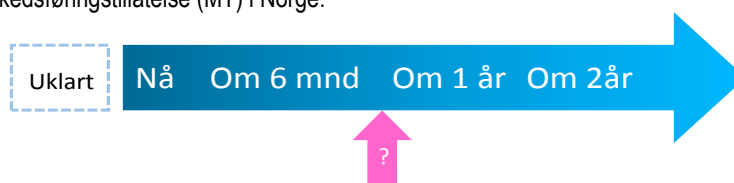
MT søker/innehaver: Bayer AG

Synonymer virkestoff: BAY 94-9027; peg rFVIII

Synonymer indikasjon: ENG: Hemophilia A; Hemophilia As; Classic Hemophilia; Haemophilia; Factor VIII Deficiency; Factor 8 Deficiency, NO: Hemofili A; Haemophilia; Faktor VIII-mangel

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden omfatter et nytt virkestoff. Metoden har foreløpig ikke MT i Norge, EU eller i USA, men er under vurdering hos det Europeiske Legemiddelbyrået (EMA) og US Food and Drug Administration (FDA). Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) (1, 2).

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

Damoctocog alfa pegol er et modifisert rekombinant human faktor VIII konsentrat til infusjon som forventes å virke i kroppen på samme måte som human faktor VIII. Når det injiseres i pasientens vene, forventes det å erstatte den manglende faktor VIII som karakteriserer hemofili A, og dermed gjøre pasienten mindre utsatt for blødning. Faktor VIII konsentratet i damoctocog alfa pegol er blitt modifisert av en prosess som kalles "pegylering". Dette betyr at et kjemikalie kalt "polyetylglykol" har blitt festet til faktor VIII, noe som forventes å redusere hvor raskt stoffet blir fjernet fra kroppen sammenlignet med konvensjonelle faktor VIII-preparater. Dette kan føre til behov for mindre hyppig dosering med profylaktisk bruk. Damoctocog alfa er formulert som en injeksjonsvæske (1,2).

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Hemofili A er en arvelig sykdom der pasientene har en defekt eller mangel på koagulerings faktor VIII, noe som hindrer blodet i å koagulere og som dermed fører til økt risiko for alvorlig og livstruende blødning. Alvorlighetsgraden av hemofili A korrelerer med nivået av aktiv faktor VIII. Pasienter med alvorlig hemofili A har <0.01 kIU/L aktivitetsnivå i plasma (<1% av normalt); pasienter med moderat hemofili A 0.01-0.05 kIU/L (1-5% av normalt); og pasienter med mild grad >0.05-<0.04 kIU/L (>5%-<40% av normalt) (3). Det er ca. 400 pasienter med hemofili A i Norge, og av disse har ca. 2/3 av pasientene hemofili av moderat eller alvorlig grad (tall fra 2014) (4).

Dagens behandling

Målsetningen for behandlingen av hemofili A er å forebygge (profylakse) ukontrollerte blødninger, stanse akutt blødning som har oppstått, samt på lengre sikt forebygge komplikasjoner som leddskader grunnet blødning. Behandlingen gis i dag i all hovedsak som erstatningsbehandling med rekombinante faktor VIII-preparate. Damoctocog alfa pegol vil være et slikt preparat.

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.

On-demand behandling innebærer at pasientene behandles med faktor VIII-konsentrater ved 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 %) (3).

Status for dokumentasjon

Metodevurderinger eller systematiske oversikter -norske

Vi har identifisert flere norske metodevurderinger om indikasjonen, men med andre virkestoffer (se Nye metoder [ID2015_058](#), [ID2016_035](#), [ID2016_052](#), [ID2016_090](#), [ID2017_104](#)).

Metodevurdering eller systematiske oversikter -internasjonale

Det foreligger minst en relevant internasjonal metodevurdering eller systematisk oversikt (5).

Metodevarsler

Det foreligger minst ett internasjonalt metodevarsel (1,2).

Klinisk forskning

De antatt viktigste studiene for vurdering av metoden er vist i tabellen under:

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Hovedutfall	Studienummer* og fase	Forventet ferdig
N=73 Barn, gutter, med hemofili A som tidligere har mottatt annen behandling for sin sykdom	Damoctocog alfa pegol profylaktisk 25-60 IU/kg minst 1 gang i uken eller damoctocog alfa pegol profylaktisk 25-60 IU/kg 2x i uken i 12 uker		Årlig antall blødninger	NCT01775618 Fase III	Februar 2020
N=141 Voksne menn 12-65 år med alvorlig hemofili A, tidligere behandlet med faktor XIII konsentrater	4 ulike armer med infusjon av damoctocog alfa pegol, 1 med individuelt tilpasset dose gitt on demand basert på lokalisasjon og alvorlighet av blødninger, de 3 andre armene er profylakse gitt i ulike faste doseringsregimer		Årlig antall blødninger i On-demand armen (uke 0-36) og i profylakse armene (uke 10-36, ekskludert akutt blødninger).	NCT01580293 Fase II og Fase III	Januar 2019

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

Hvilke aspekter kan være relevante for en metodevurdering

- Klinisk effekt
- Sikkerhet/bivirkninger
- Kostnader/ressursbruk
- Kostnadseffektivitet
- Organisatoriske konsekvenser
- Etikk
- Juridiske konsekvenser
- Annet

Kommentar fra Folkehelseinstituttet: Metoden er en av flere nye legemidler for behandling av Hemofili A.

Hva slags metodevurdering kan være aktuell

- Hurtig metodevurdering
- Fullstendig metodevurdering

Kommentar fra Folkehelseinstituttet: Det er behov for en fullstendig metodevurdering knyttet til ulike behandlingsalternativ for Hemofili A.

Hovedkilder til informasjon

1. *Damoctocog alfa pegol*. (02. mars 2018). Specialist Pharmacy Service, NHS. Hentet 12. februar 2018, fra <https://www.sps.nhs.uk/medicines/damoctocog-alfa-pegol/>
2. *Orientering om nyt lægemiddel: Damoctocog alfa pegol*. (22. desember 2017). København: Amgros. Hentet 2. mars 2018, fra <http://www.amgros.dk/media/46070/damoctocog-alfa-pegol-haemofili-a.pdf>
3. Guidelines for the management of hemophilia. 2 ed. Worl Federation of Hemophilia. Hentet 2. mars 2018, <https://www1.wfh.org/publication/files/pdf-1472.pdf>
4. Nasjonal kompetansetjeneste for sjeldne diagnoser http://www.sjeldnediagnoser.no/docs/PDF/Diagnosefoldere/2017/Hemofili_AB_mild17.pdf
5. Chai-Adisaksopha C, et al. (2017). Bypassing agent prophylaxis in people with hemophilia A or B with inhibitors. *Cochrane Database Syst Rev.* (9):CD011441

Dato for første publisering	19.03.2018
Siste oppdatering	19.03.2018

Om metodevarslingsfunksjonen

Folkehelseinstituttet har i samarbeid med Statens legemiddelverk ansvar for den nasjonale funksjonen for metodevarslingsfunksjonen. Metodevarslingsfunksjonen skal sikre at nye og viktige metoder for norsk helsetjeneste blir identifisert og prioritert for metodevurdering. Et metodevarsel er ingen vurdering av metoden. Statens legemiddelverk har ansvar for informasjonen gitt i metodevarsler om legemidler. MedNytt er Folkehelseinstituttets publiseringsplattform for metodevarsler. For mer informasjon om identifikasjon av metoder, produksjon av metodevarsler og hvordan disse brukes, se [Om MedNytt](#).