
EMICIZUMAB (HEMLIBRA)

TIL BEHANDLING AF HÆMOFILI A MED INHIBITOR MOD FAKTOR VIII

AMGROS 24. maj 2018

OPSUMMERING

Baggrund

Emicizumab (Hemlibra) er indiceret til profylaktisk behandling mod blødninger hos patienter med hæmofili A med faktor VIII-inhibitor. Ca. 10 patienter kandiderer til behandling af den ansøgte indikation i Danmark. Amgros' vurdering tager udgangspunkt i dokumentationen indsendt af Roche.

Analyse

I analysen estimeres de inkrementelle omkostninger forbundet med behandling med emicizumab (Hemlibra) for patienter med inhibitor mod FVIII, hvor ITI-behandling ikke har været mulig, eller ikke har været succesfuld. I analysen sammenlignes behandling med emicizumab (Hemlibra) med APCC (Feiba).

Inkrementelle omkostninger og budgetkonsekvenser

Amgros har vurderet de gennemsnitlige meromkostninger per patient ved brug af emicizumab (Hemlibra) sammenlignet med APCC (Feiba).

I analysen, som Amgros mener er mest sandsynlig, er emicizumab (Hemlibra) forbundet med en gennemsnitlig besparelse per patient på ca. 6.5 mio. DKK per år sammenlignet med APCC (Feiba).

Størrelsen af besparelsen afhænger af patientens vægt, hvor besparelsen stiger jo højere patientvægten er. Besparelsen per kg per år estimeres til at være ca. 105.000 DKK.

Amgros vurderer at budgetkonsekvenserne for regionerne per år ved anbefaling af emicizumab (Hemlibra) som standardbehandling potentielt vil være en besparelse på ca. 65 mio. DKK per år ved fuldt optag.

Konklusion

Overordnet kan det konkluderes, at behandling med emicizumab (Hemlibra) er forbundet med betydeligt lavere behandlingsomkostninger end APCC (Feiba).

Liste over forkortelser

ABR	Årlig blødningsrate
AIP	Apotekernes indkøbspris
APCC	Activated prothrombin complex concentrate. Plasmaderiveret FIII-by-passingagent, der indeholder en kombination af koagulationsfaktorer
DAGS	Dansk Ambulant Grupperingsystem
DKK	Danske kroner
DRG	Diagnose Relaterede Grupper
ITI	Immuntolerancebehandling
RADS	Rådet for Anvendelse af Dyr Sygehusmedicin
SPC	Summary of product characteristics

INDHOLD

Opsummering	2
Liste over forkortelser	3

1 Baggrund	6
1.1 Problemstilling	6
1.2 Patientpopulation	6
1.3.1 Behandling med emicizumab (Hemlibra)	6
1.3.2 Komparator	7
1.4 Medicinrådets kliniske spørgsmål	7
1.5 Tidshorisont	7

2 Vurdering af indsendt økonomisk analyse	8
2.1 Model, metode og forudsætninger	8
2.1.1 Modelbeskrivelse	8
2.1.2 Analyseperspektiv	8
2.1.3 Omkostninger	8

3 Resultater	11
3.1 Ansøgers hovedanalyse	11
3.2 Amgros' hovedanalyse	12
3.2.1 Antagelser i Amgros hovedanalyse	12
3.2.3 Usikkerhed af resultaterne	13

4 Budgetkonsekvenser	13
-----------------------------	-----------

5 Diskussion	13
---------------------	-----------

6 referencer	14
---------------------	-----------

LOG

Ansøgning	
Lægemiddelfirma:	Roche
Handelsnavn:	Hemlibra
Generisk navn:	Emicizumab
Indikation:	Profylakse mod blødninger hos patienter med hæmofili A med faktor VIII-inhibitorindledende endokrin-baseret behandling.
ATC-kode:	B02BX06

Proces	
Ansøgning modtaget hos Amgros:	11-04-2018
Endelig rapport færdig:	25-05-2018
Sagsbehandlingstid fra endelig ansøgning:	44 dage
Arbejdsgruppe:	Asger Lindvig Andreas Pagh Rasmussen Asbjørn Lydert Hansen

Priser
<p>Alle lægemiddelpriser i denne afrapportering er på AIP-niveau. Amgros har ofte aftaler om rabatter på de analyserede lægemidler. Derfor vil analyser på AIP-niveau ikke altid afspejle regionernes faktiske omkostninger til anskaffelse af lægemidlerne. Da rabatterne varierer betragteligt på tværs af lægemidler, vil prisforskellene i afrapporteringen, ikke altid afspejle de faktiske prisforskelle.</p> <p>Anbefalingerne i Amgros' beslutningsgrundlag, som sendes sammen med denne afrapportering, bygger på regionernes faktiske anskaffelsespriser (SAIP).</p>

1 BAGGRUND

Emicizumab (Hemlibra) er indiceret til profylaktisk behandling mod blødninger hos patienter med hæmofili A med faktor VIII-inhibitor. Roche (herefter omtalt som ansøger) er markedsføringstilladelsesindehaver af emicizumab (Hemlibra) og har den 11.04.2018 indsendt en ansøgning til Medicinrådet om anbefaling af emicizumab (Hemlibra) som standardbehandling på danske sygehuse af den nævnte indikation. Som et led i denne ansøgning vurderer Amgros, på vegne af Medicinrådet, de økonomiske analyser, ansøger har sendt som en del af den samlede ansøgning til Medicinrådet. Denne rapport er Amgros' vurdering af de fremsendte økonomiske analyser (herefter omtalt som analysen).

1.1 Problemstilling

Formålet med analysen er at estimere de inkrementelle omkostninger forbundet med behandling med emicizumab (Hemlibra) til patienter med inhibitor mod FVIII, hvor immuntolerancebehandling (ITI) ikke har været mulig, eller ikke har været succesfuld i form af de gennemsnitlige inkrementelle omkostninger pr. patient og de samlede budgetkonsekvenser for regionerne ved anbefaling af emicizumab (Hemlibra) som standardbehandling. I analyserne sammenlignes behandling med emicizumab (Hemlibra) med behandling med APCC (Feiba).

1.2 Patientpopulation

Hæmofili A er medfødt mangel på FVIII, som ubehandlet vil medføre spontane led- og muskelblødninger samt livstruende blødninger ved traumer og kirurgi. Gentagne ledblødninger vil medføre svære ledforandringer og invaliditet. Behandlingen består af infusion af rekombinant fremstillet FVIII.

Op til 35 % af de tidligere ubehandlede patienter (PUP, previously untreated patients) udvikler antistoffer (inhibitor), hvilket gør faktorproduktet uvirksomt. Patienter med inhibitor har derfor stor risiko for blødningsepisoder. Inhibitor ses relativt sjældent hos tidligere behandlede patienter (Previous Treated Patients, PTP.), men er fx set ved skift til et andet FVIII-præparat (1)(2).

I 2016 var der registreret i alt 388 patienter med hæmofili A ved de to hæmofilcentre i hhv. Aarhus og København (1).

Fagudvalget skønner, at der aktuelt er cirka 10 patienter med inhibitor mod FVIII i Danmark, hvor emicizumab (Hemlibra) kunne være en relevant behandling. Incidensen vurderes at være ét nyt tilfælde hver tredje år.

1.3.1 Behandling med emicizumab (Hemlibra)

Indikation

Emicizumab er godkendt til rutineprofylakse hos patienter med hæmofili A med inhibitor mod FVIII. Emicizumab (Hemlibra) kan hverken anvendes on demand (dvs. behandling kun ved opstået blødning) eller til behandling af blødninger under profylakse med emicizumab (Hemlibra).

Virkningsmekanisme

Emicizumab (Hemlibra) er et rekombinant, humaniseret, monoklonalt modificeret immunoglobulin G4, som binder sig til faktor IXa og X, hvorved det efterligner funktionen af den manglende FVIII

Dosering

Anbefalet dosis er 3 mg/kg én gang ugentligt i de første fire uger (loading dose), efterfulgt af 1,5 mg/kg én gang ugentligt (vedligeholdelsesdosis), administreret som subkutan injektion (3). Emicizumab (Hemlibra) kan anvendes i alle aldre, og der er ikke behov for dosisjustering hos børn, ældre ≥ 65 år, eller patienter med nedsat nyre- eller leverfunktion

1.3.2 Komparator

Medicinrådet har defineret APCC (Feiba) 100 IE/kg hver 2. dag (+ APCC 200 IE/kg/døgn ved blødning) som komparator.

1.4 Medicinrådets kliniske spørgsmål

Medicinrådet har vurderet den kliniske merværdi af behandling med emicizumab (Hemlibra) 1,5 mg/kg ugentlig (3 mg/kg ugentlig de første 4 uger) (+ rFVIIa ved blødning 90 mikrg/kg gentaget hver 2. time i alt 3 gange) sammenlignet med APCC (Feiba) 100 IE/kg hver 2. dag (+ APCC 200 IE/kg/døgn ved blødning) for følgende population:

- Patienter med inhibitor mod FVIII, hvor ITI-behandling ikke har været mulig, eller ikke har været succesfuld.

1.5 Tidshorisont

Medicinrådet har defineret, at merværdien som udgangspunkt vurderes over en tidshorisont på minimum 6 måneder.

2 VURDERING AF INDSENDT ØKONOMISK ANALYSE

I analysen af gennemsnitlige behandlingsomkostninger per patient sammenlignes behandling med emicizumab (Hemlibra) med behandling med APCC (Feiba) for patienter med inhibitor mod FVIII, hvor ITI-behandling ikke har været mulig, eller ikke har været succesfuld.

2.1 Model, metode og forudsætninger

2.1.1 Modelbeskrivelse

Ansøger har indsendt en model for behandling af patienter i den nævnte population.

Modellen er en simpel omkostningsmodel, hvor lægemiddelomkostninger til profylaktisk behandling estimeres ud fra doseringen angivet i Medicinrådets protokol. Modellen inkluderer udelukkende behandlingsomkostninger tilknyttet den givne behandlingslinje og inkluderer ikke behandlingsskift. Modellen estimerer ikke samlet behandlingstid per patient, da ansøger antager, at behandlingen vil være længerevarende/kronisk, og at der umiddelbart ikke vil være forskel i behandlingens længde mellem de to lægemidler. Modellen omfatter to populationer, hhv. patienter som tidligere har været i profylaktisk behandling, og patienter som tidligere har været i on-demand-behandling.

Amgros' vurdering

Amgros accepterer ansøgers valg om at estimere meromkostningerne per tidsenhed, eftersom datagrundlaget til at estimere samlet behandlingens længde og eventuelle forskelle mellem de to behandlingsarme er meget begrænset.

Amgros vurderer, at modellen er acceptabel.

2.1.2 Analyseperspektiv

Analysen anvender et begrænset samfundsperspektiv. Ansøger har estimeret omkostningerne for hhv. 1. behandlingssår, og per efterfølgende behandlingssår.

Amgros' vurdering

Analysens begrænsede samfundsperspektiv er i tråd med Amgros' retningslinjer og godtages derfor.

Amgros mener, at den mest anvendelige tidshorisont er årlige omkostninger, hvilket også omfattes af ansøgers model.

Amgros godtager analysens perspektiv og tidshorisonten.

2.1.3 Omkostninger

Indsendt dokumentation

Det følgende afsnit om omkostninger redegør for hvordan og hvilke omkostninger ansøger har inkluderet i analysen.

Lægemiddelomkostninger

Alle lægemiddelpriser er hentet fra www.medicinpriser.dk og anvendes på AIP-niveau. Ressourceforbrug (dosering) er baseret på doseringen i Medicinrådets protokol (4). Ansøger antager, at populationen som tidligere har været i profylaktisk behandling, består af børn samt at populationen, som tidligere har været i on-demand-behandling består af voksne. Ansøger antager, at den gennemsnitlige vægt for de to patientpopulationer er 36 kg og 74,75 kg for hhv. tidligere profylaktisk behandling og on-demand-behandling. Ansøger anvender på trods af de estimerede gennemsnit ikke den gennemsnitlige vægt for hver patientpopulation i analysen, men estimerer i stedet hvor stor en andel af patienterne der vejer hhv. 10 kg, 20 kg, 30 kg, 40 kg, 50 kg, 60 kg, 70 kg, 80 kg, og 85

kg. Ansøger udregner derefter omkostningerne for hver enkelt af de nævnte patientvægte, og laver et vægtet gennemsnit af omkostningerne på baggrund af dette.

Tabel 1 nedenfor illustrerer de lægemiddelpriser, som anvendes i analysen.

Tabel 1 Anvendte lægemiddelpriser, AIP

Lægemiddel	Pakningsstørrelse	Styrke	Pris (DKK)
Emicizumab (Hemlibra)	1 stk.	30 mg	18.000,00
	1 stk.	60 mg	36.000,00
	1 stk.	105 mg	63.000,00
	1 stk.	150 mg	90.000,00
APCC (Feiba)	1 stk.	1000 IE	8.597,45

Kilde: www.medicinpriser.dk d. 09-04-2018

Ansøger har inkluderet dosisjustering/svind i analysen således, at der rundes op til nærmeste hele pakning for hver patient.

Omkostninger til blødninger under profylaksebehandling

Ansøger har inkluderet omkostninger til blødninger, der opstår under profylaksebehandling. Estimaterne for årlige blødningsrater (ABR) er taget fra studierne HAVEN I (5) og FEIBA-NF (6). Til at estimere gennemsnitsomkostningerne forbundet med blødninger for emicizumab (Hemlibra) og APCC (Feiba) har ansøger anvendt median ABR fra de to studier. ABR er i HAVEN I inddelt i forskellige behandlingsarme efter om patienterne tidligere har modtaget on-demand (arm A) - eller profylaksebehandling (arm C). Median ABR var for arm A og arm C hhv. 2 og 0. Ansøger har valgt kun at anvende blødningsraten for arm C. Ansøger antager således, at median ABR for emicizumab (Hemlibra) og APCC (Feiba) er hhv. 0 og 7,9. Til at udregne omkostningerne forbundet med blødningerne har ansøger anvendt doseringen beskrevet i Medicinrådets protokol (se ovenstående afsnit 1.3.1-1.3.2).

Monitoreringsomkostninger

Ansøger har inkluderet omkostninger til monitorering af de to behandlinger. Ressourceforbruget er baseret på input fra en dansk kliniker, SPC for emicizumab (Hemlibra), HAVEN I og FEIBA-NF. Enhedsomkostninger er hentet DAGS- og DRG-takster 2017 samt Rigshospitalets takstkatalog 2017. Ansøger antager at behandlingsforløbene er identiske for de to behandlinger, hvorfor der ikke estimeres at være forskel i omkostningerne.

Omkostninger til utilsigtede hændelser

Ansøger har inkluderet omkostninger til utilsigtede hændelser i modellen. For emicizumab (Hemlibra) har ansøger inkluderet omkostninger til kavernøs sinustrombose/trombotiske hændelser og trombotisk mikroangiopati. Frekvenserne af utilsigtede hændelser er hentet fra SPC'et for emicizumab (Hemlibra). For APCC (Feiba) har ansøger inkluderet omkostninger til brystsmerte, allergiske reaktioner samt kateterinfektioner. Frekvenserne er hentet fra PRO-FEIBA (7). Enhedsomkostninger er hentet fra DRG-takster 2017.

Patientomkostninger

Ansøger har inkluderet omkostninger til tabt patienttid og transport for de to behandlinger. Det antages at tabt patienttid er 3,5 timer per besøg ved bivirkninger og 2 timer for besøg knyttet til monitorering. Enhedsomkostninger er hentet fra AMGROS Værdisætning af enhedsomkostninger.

Amgros' vurdering

Lægemiddelomkostninger

Amgros er uforstående over for ansøgers valg af metode til at estimere patientvægte og således den gennemsnitlige dosis per patient. Det er en unødvendigt kompliceret tilgang, der introducerer yderligere antagelser og usikkerhed. Det er ligeledes ikke plausibelt, at patienter udelukkende kan have én af de nævnte patientvægte. Amgros mener, at ansøgers inddeling i hhv. børn og voksne er unødvendig, og komplicerer estimerne. I stedet er det mere hensigtsmæssigt at inddele patienter efter om de tidligere har fået on-demand- eller profylaksebehandling ligesom i de kliniske studier uden at tage særligt hensyn til patientalder. Amgros anerkender dog, at det er plausibelt at gennemsnitsalderen i den ene gruppe er noget lavere end i den anden. HAVEN I inkluderede ikke patienter på under 40 kg, og studiet inkluderede ikke børn < 12 år. Det er derfor ikke muligt at udlede effektdata for patienter < 12 år og < 40 kg fra dette studie. Eftersom ansøger antager at gennemsnitsvægten for den ene population er 36 kg, mener Amgros derfor ikke, at det er rimeligt at anvende HAVEN I som grundlag for analysen af denne patientgruppe.

Ifølge Medicinrådets protokol er patienternes vægt afgørende for den samlede dosis af profylaksebehandlingen, mens tidligere behandling som udgangspunkt ikke påvirker doseringen. Der er stor usikkerhed knyttet til gennemsnitsvægten for patientpopulationen i Danmark. Ligeledes må det forventes, at patientvægten for børn i patientpopulationen i gennemsnit forøges over tid, mens den for voksne holdes nogenlunde konstant. Baseret på disse faktorer, og fordi det er en meget heterogen gruppe bestående af få patienter, hvor store udsving i kropsvægt kan forekomme mellem patienter, mener Amgros det mest hensigtsmæssige er at præsentere de inkrementelle omkostninger som en funktion af kropsvægten.

Ansøger har fået førnævnte kliniker til at estimere den gennemsnitlige vægt for hhv. børn og voksne inden for indikationen i Danmark, hhv. 40 kg for børn og 75-80 kg for voksne. Amgros vurderer, at det mest plausible estimat af de gennemsnitlige inkrementelle omkostninger opnås ved at anvende gennemsnittet af de to vægtestimater. Amgros antager således, at en gennemsnitlig patient i hovedanalysen vejer 58,75 kg. Resultatet bør dog tolkes med en vis forsigtighed jf. ovenstående afsnit.

Øvrige omkostninger

Amgros vurderer, at der er stor usikkerhed knyttet til de øvrige omkostninger, inkluderet i analysen, eftersom de er estimeret ud fra separate studier uden at foretage en systematisk indirekte analyse. Der er således ikke justeret for covariater ved baseline og taget højde for forskelle i studiedesign. Amgros mener derfor, at estimerne bør tolkes med stor forsigtighed.

Mediane værdier er ikke anvendelige i en sundhedsøkonomisk analyse, hvor gennemsnitlige omkostninger skal estimeres. Derfor kan Amgros ikke acceptere ansøgers tilgang til at estimere omkostningerne til blødninger. Derudover mener Amgros ikke, det er rimeligt, at ansøger udelukkende anvender estimatet for arm C, som får emicizumab (Hemlibra) til at fremstå mere fordelagtig. Amgros anerkender, at der umiddelbart ser ud til at være en lavere frekvens af blødninger ved brug af emicizumab (Hemlibra) sammenlignet med APCC (Feiba), men grundet det mangelfulde datagrundlag vælger Amgros ikke at estimere omkostningerne forbundet med blødningerne.

Amgros er uforstående over for, hvorfor ansøger har anvendt PRO-FEIBA til at estimere frekvenser for utilsigtede hændelser for APCC (Feiba), når FEIBA-NF anvendes til at estimere ABR. Grundet usikkerhed for sammenligningen af øvrige omkostninger, har Amgros dog ikke lavet en grundig analyse af dette. Omkostninger til monitorering, utilsigtede hændelser og patienttid er desuden af lille betydning for resultatet af analysen.

Amgros vurderer på dette grundlag, at det vil være mest retvisende udelukkende at inkludere lægemiddelomkostninger til profylaksebehandling for de to lægemidler i hovedanalysen. Amgros har været i dialog med ansøger om dette, og ansøger medgiver, at dette vil være den mest hensigtsmæssige tilgang i denne konkrete sag.

Af gennemsigthedshensyn præsenterer Amgros øvrige omkostninger i resultatafsnittet for ansøgers analyse. Øvrige omkostninger inkluderes dog ikke i Amgros' hovedanalyse.

3 RESULTATER

3.1 Ansøgers hovedanalyse

Ansøgers hovedanalyse resulterer i en gennemsnitlig besparelse per patient på ca. 3,5 mio. DKK for emicizumab (Hemlibra) sammenlignet med APCC (Feiba) per år for patienter i tidligere profylaktisk behandling. For patienter i tidligere on-demand-behandling estimeres besparelsen at være ca. 8 mio. DKK per år.

Resultaterne fra ansøgers hovedanalyse præsenteres herunder i tabel 2 og 3.

Tabel 2 Resultat af ansøgers hovedanalyse for patienter i tidligere profylaktisk behandling, gns. omkostninger per patient, per år, DKK, AIP

	Emicizumab (Hemlibra)	APCC (Feiba)	Inkrementelle omkostninger
Lægemiddelomkostninger profylakse	2.073.600	5.681.873	-3.559.450
Lægemiddelomkostninger blødninger ved profylakse	0	9.780	-9.780
Monitoreringsomkostninger	15.719	15.719	0
Omkostninger til utilsigtede hændelser	761	1.922	-1.161
Patientomkostninger	18.526	21.402	-2.876
Totale omkostninger	2.108.606	6.681.873	-3.573.267

Tabel 3 Resultat af ansøgers hovedanalyse for patienter i tidligere on-demand-behandling, gns. omkostninger per patient, per år, DKK, AIP

	Emicizumab (Hemlibra)	APCC (Feiba)	Inkrementelle omkostninger
Lægemiddelomkostninger profylakse	3.799.800	11.813.756	-8.013.956
Lægemiddelomkostninger blødninger ved profylakse	0	20.308	-20.308
Monitoreringsomkostninger	15.719	15.719	0
Omkostninger til utilsigtede hændelser	761	1.922	-1.161
Patientomkostninger	11.884	13.622	-1.738
Totale omkostninger	2.108.606	6.681.873	-8.037.163

3.2 Amgros' hovedanalyse

3.2.1 Antagelser i Amgros hovedanalyse

Baseret på Amgros' kritiske vurdering af den tilsendte model, har Amgros udarbejdet sin egen hovedanalyse. Forudsætningerne er som i ansøgers analyse bortset fra følgende:

- Modellen omfatter udelukkende lægemiddelomkostninger
- Den gennemsnitlige patientvægt antages at være 58,75 kg

Amgros' analyse resulterer i en gennemsnitlig besparelse per patient på ca. 6.5 mio. DKK for emicizumab (Hemlibra) sammenlignet med APCC (Feiba) per år.

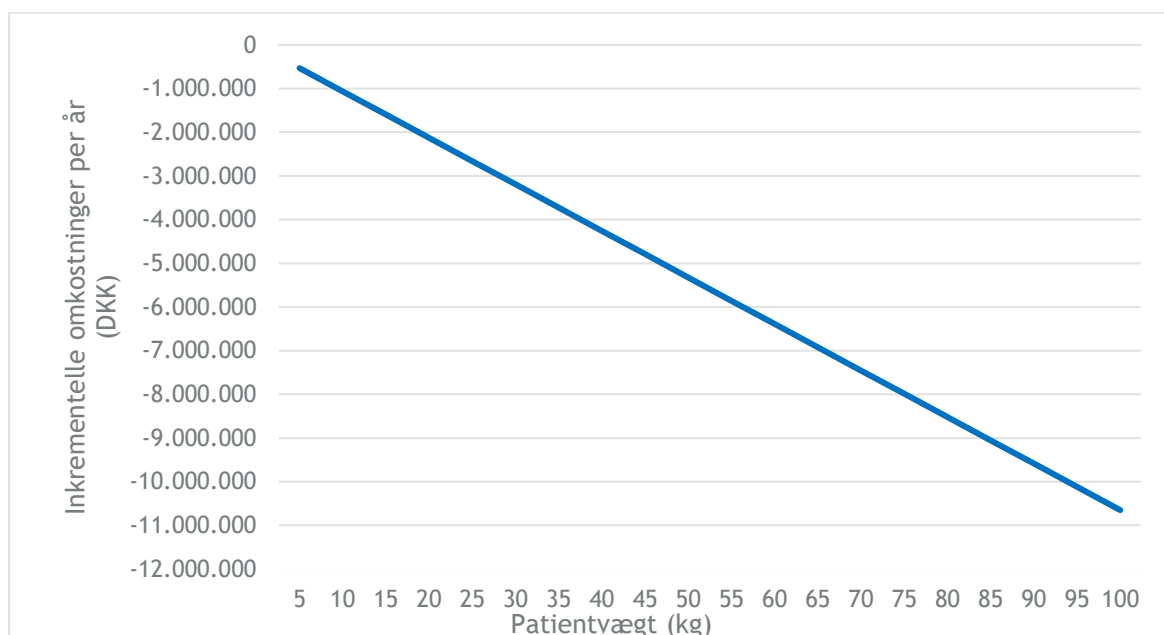
Resultaterne fra Amgros' hovedanalyse præsenteres i tabel 4.

Tabel 4 Resultat af Amgros' hovedanalyse, gns. omkostninger per patient, per år, DKK, AIP

	Emicizumab (Hemlibra)	APCC (Feiba)	Inkrementelle omkostninger
Lægemiddelomkostninger	2.961.000	9.218.078	-6.468.578
Totale omkostninger	2.961.000	9.218.078	-6.468.578

Som tidligere nævnt, mener Amgros, at det er mest retvisende at præsentere de inkrementelle omkostninger som en funktion af patienternes kropsvægt, eftersom vægten kan variere meget mellem patienter. Dette illustreres i figur 1. Som det fremgår af figur 1, stiger besparelsen ved at anvende emicizumab (Hemlibra) sammenlignet med APCC (Feiba) jo mere patienten vejer. Besparelsen ved at anvende emicizumab (Hemlibra) sammenlignet med APCC (Feiba) per år er ca. 105.000 DKK per kg patientvægt. Estimatet inkluderer ikke dosisjustering/spild i modsætning til estimatet i tabel 4.

Figur 1 Inkrementelle omkostninger per år for emicizumab (Hemlibra) sammenlignet med APCC (Feiba) afhængig af patientvægten, justering af dosis/spild ikke inkluderet, AIP



3.2.3 Usikkerhed af resultaterne

Med anvendelse af de foreskrevne doser i Medicinrådets protokol er der generelt lav usikkerhed forbundet med resultatet, eftersom den eneste variabel som udgangspunkt er patienternes vægt. Øvrige omkostninger vil med de nuværende priser (AIP) for emicizumab (Hemlibra) og APCC (Feiba) have meget lille betydning for resultatet. Ligeledes vil dosisjustering og potentielt medicinspild have lille betydning for resultatet med de nuværende priser.

4 BUDGETKONSEKVENSER

Fagudvalget estimerer, at populationen omfatter ca. 10 patienter i Danmark. Med fuldt optag og en antaget gennemsnitsvægt på 58,75 kg, kan emicizumab (Hemlibra) potentielt resultere i besparelser på ca. 65 mio. DKK per år sammenlignet med APCC (Feiba).

5 DISKUSSION

Behandling med emicizumab (Hemlibra) er på AIP-niveau forbundet med store besparelser per patient sammenlignet med APCC (Feiba) med doserne angivet i Medicinrådets protokol. Besparelsen stiger desto flere kg patienten vejer.

En begrænsning ved analysen er, at data ikke tillader direkte sammenligning øvrige omkostninger mellem de to behandlinger, og således ikke af omkostningerne til blødninger, monitorering, utilsigtede hændelser, og patienttid. De øvrige omkostninger udgør dog, med den nuværende AIP på emicizumab (Hemlibra) og APCC (Feiba), en lille andel af de samlede omkostninger.

6 REFERENCER

1. RADS. Baggrundsnotat for behandling af hæmofili [Internet]. 2016. Available from: <http://rads.dk/media/4111/bgnhaemofili-m-bilag-2016-12.pdf>
2. Nordic Hemophilia Guidelines [Internet]. 2017. Available from: http://nordhemophilia.org/library/Files/PDFskjol/NordicGuidelinesCongenitalHaemophilia_2017.pdf%0A
3. EMA EMA. SmPC Hemlibra [Internet]. Available from: http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/004406/WC500244743.pdf
4. Medicinrådet. Protokol for vurdering af den kliniske merværdi af emicizumab til behandling af hæmofili A med inhibitor mod faktor VIII. 2018;1–12.
5. Oldenburg J, Mahlangu JN, Kim B, Schmitt C, Callaghan MU, Young G, et al. Emicizumab Prophylaxis in Hemophilia A with Inhibitors. *N Engl J Med* [Internet]. 2017;2017:NEJMoa1703068. Available from: <http://www.nejm.org/doi/10.1056/NEJMoa1703068>
6. Antunes S V., Tangada S, Stasyshyn O, Mamonov V, Phillips J, Guzman-Becerra N, et al. Randomized comparison of prophylaxis and on-demand regimens with FEIBA NF in the treatment of haemophilia A and B with inhibitors. *Haemophilia*. 2013;20(1):65–72.
7. Leissinger C, Gringeri A, Antmen B, Berntorp E, Biasoli C, Carpenter S, et al. Anti-Inhibitor Coagulant Complex Prophylaxis in Hemophilia with Inhibitors. *N Engl J Med* [Internet]. 2011;365(18):1684–92. Available from: <http://www.nejm.org/doi/abs/10.1056/NEJMoa1104435>

