

Hemgenix (etranakogen-dezaparvovek) vid hemofili B

NT-rådets yttrande till regionerna 2025-04-25

Rekommendation och sammanvägd bedömning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att inte använda Hemgenix vid hemofili B

Tillståndets svårighetsgrad är måttlig.

Tillståndet är mindre vanligt.

Osäkerheten i den vetenskapliga dokumentationen är hög.

Osäkerheten i den hälsoekonomiska värderingen är mycket hög.

Dagens behandling av svenska patienter med hemofili B som innebär att patienter får faktor IX-koncentrat profylaktiskt är väl fungerande och beprövad. Hemgenix är en ny genterapi som ges som en engångsdos. Det är ännu inte känt hur lång tid effekten av Hemgenix kvarstår efter behandlingen och effektfördelarna jämfört med faktor IX-koncentrat är inte klarlagda eftersom det inte gjorts någon jämförande studie.

En förhandling med företaget har genomförts men den gav inte tillräckligt resultat avseende kostnadsreducering för Hemgenix.

Det finns tre nivåer för NT-rådets rekommendationer till regionerna: att läkemedlet bör användas, kan användas eller att läkemedlet inte ska användas. Rekommendationen i det här fallet är att inte använda Hemgenix eftersom det inte bedöms kostnadseffektivt.

Om läkemedlet

Patienter med hemofili B har brist på faktor IX som behövs för att blodet ska koagulera. Hemgenix är ett genterapiläkemedel som med ett adenoassocierat virus som vektor för in den DNA-sekvens som kodar för faktor IX i patientens leverceller. Därigenom kan patientens egna celler bilda faktor IX.

Hemgenix är avsett för behandling av svår och medelsvår hemofili B (medfödd faktor IX-brist) hos vuxna patienter utan anamnes på faktor IX-inhibitorer.

Effekten av Hemgenix har studerats i en öppen enarmad multinationell fas 3-studie, CT-AMT061-02 eller HOPE-B på vuxna män med medfödd hemofili B. Studiens primära effektmått var årlig blödningsfrekvens, ABR. Ett sekundärt syfte var att följa medelvärdet för faktor IX-aktivitet upp till 18 månader efter engångsinfusion med Hemgenix. 54 patienter inkluderades. Efter en minst sex månader lång inledningsfas med faktor IX-profylax fick de en engångsdos Hemgenix. Medelvärdet för ABR minskade med 64 procent (95 % KI 36–80) $p=0,0002$ mellan inledningsfasen och perioden 1–18 månader efter infusion. Medelvärdet för faktor IX-aktiviteten låg på stabila nivåer upp till 18 månader efter infusion.

Läkemedlet blev godkänt för försäljning 2023-02-20.

Hemgenix är ett rekvisitionsläkemedel och administreras som intravenös infusion av sjukvårdspersonal.

NT-rådets bedömning gällande läkemedlet

Den sammanvägda bedömningen gällande läkemedlet baseras på en värdering utifrån den etiska plattformen för prioriteringar och dess tre principer: människovärdesprincipen, behovs-solidaritetsprincipen och kostnadseffektivitetsprincipen. Vid bedömningen har tillståndets svårighetsgrad, tillståndets sällsynthet och åtgärdens kostnadseffektivitet vägts in. Även osäkerheten i den hälsoekonomiska bedömningen påverkar vilken kostnad som bedöms acceptabel.

Tillståndets svårighetsgrad

Tillståndets svårighetsgrad är måttlig (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

Hemofili B är en allvarlig sjukdom men då patienterna i Sverige är välbehandlade med faktor IX-koncentrat profylaktiskt anses inte svårighetsgraden lika hög.

Förekomst av tillståndet

Tillståndet är mindre vanligt (på en skala av mycket sällsynt, sällsynt, mindre vanligt, och vanligt).

Det finns cirka 100 patienter med medelsvår till svår hemofili B i Sverige men samtliga uppfyller inte indikationskriterierna för behandling med Hemgenix (ålder >18 år, avsaknad av faktor IX-hämmare).

Åtgärdens kostnadseffektivitet

Kostnaden för en engångsbehandling är cirka 29 miljoner kronor.

Det som har störst betydelse för kostnadseffektiviteten enligt TLV:s analys är kostnaden för Hemgenix och undvikna kostnader för profylaktisk behandling med faktor IX-koncentrat. Hur stor kostnad för faktor IX-koncentrat som kan undvikas beror på den framtida prisutvecklingen för faktorkoncentrat och på hur länge effekten av Hemgenix kvarstår, vilket inte är känt. När livstidseffekt modelleras blir Hemgenix kostnadseffektivt jämfört med profylaktisk behandling med faktorkoncentrat, men om effekten antas avta helt efter 20 år blir kostnaden 101 miljoner kronor per QALY och motsvarande siffra för 10 år blir 762 miljoner kronor per QALY.

Osäkerhet i underlaget

Osäkerhet i den vetenskapliga dokumentationen

Osäkerheten är hög (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

Uppföljningstiden efter engångsbehandlingen är kort varför det är svårt att bedöma effekten på lång sikt. Den begränsade uppföljningstiden gör också att långsiktig leverpåverkan inte kan utslutas.

Den pivotala studien är liten, saknar kontrollarm och inbegriper endast en liten andel svenska patienter. Då svenska patienter är välbehandlade och har en lägre årlig blödningsfrekvens än det inledningsvärde som ses i studien är det möjligt att den relativa effektskillnaden mellan inledningsfas och uppföljningsfas blir missvisande.

Osäkerhet i den hälsoekonomiska bedömningen

Osäkerheten är mycket hög (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

Avgörande för den hälsoekonomiska bedömningen är om det finns en ihållande effekt eller inte. Då det inte är känt blir osäkerheten i den hälsoekonomiska bedömningen mycket hög. Även den framtida utvecklingen av priset på faktor IX-koncentrat utgör en osäkerhetsfaktor. Redan idag är de sekretessbelagda priserna för faktor IX-koncentrat lägre än i TLV:s hälsoekonomiska underlag.

Referenser

[TLV:s hälsoekonomiska värdering](#)

[EPAR \(produktresumé\)](#)

[Assessment report \(effekt och säkerhet\)](#)

[Pivotal studie](#)

Närvarande vid beslut

Åsa Derolf, ordförande NT-rådet; Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen; Rickard Malmström, Sjukvårdsregion Stockholm-Gotland; Maria Palmetun Ekbäck, Sjukvårdsregion Mellansverige; Maria Landgren, Södra sjukvårdsregionen; Anna Lindhé, Västra sjukvårdsregionen; Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen

Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet.