

## RELATÓRIO PÚBLICO DE AVALIAÇÃO PRÉVIA DO MEDICAMENTO EM MEIO HOSPITALAR

DCI – Albutrepenonacog alfa

N.º Registo	Nome Comercial	Apresentação/Forma Farmacêutica/Dosagem	Titular de AIM
5683610	<u>Idelvion</u>	1 frasco, Pó e solvente para solução injetável (2,5 ml), doseado a 100 U.I./ml	CSL Behring GmbH
5683628	<u>Idelvion</u>	1 frasco, Pó e solvente para solução injetável (2,5 ml), doseado a 200 U.I./ml	CSL Behring GmbH
5683636	<u>Idelvion</u>	1 frasco, Pó e solvente para solução injetável (2,5 ml), doseado a 400 U.I./ml	CSL Behring GmbH
5683644	<u>Idelvion</u>	1 frasco, Pó e solvente para solução injetável (5 ml), doseado a 400 U.I./ml	CSL Behring GmbH

**Data de autorização:** 16/07/2019

**Estatuto quanto à dispensa** – Medicamento Sujeito a Receita Médica Restrita alínea b) do Artigo 118º do Decreto-Lei n.º 176/2006, de 30 de agosto

**Medicamento órfão:** Sim  Não

**Classificação Farmacoterapêutica:** 4.4.2 - Hemostáticos

**Indicações terapêuticas constantes do RCM:** Tratamento e profilaxia de hemorragias em doentes com hemofilia B (deficiência congénita de fator IX). IDELVION pode ser usado por todas as faixas etárias.

**Indicações terapêuticas para as quais foi solicitada avaliação** - todas as indicações aprovadas (vide secção anterior).

**Indicações terapêuticas para as quais esta avaliação é válida** – Profilaxia de hemorragias em doentes com hemofilia B (deficiência congénita de fator IX) moderada a grave e previamente tratados. IDELVION pode ser usado por todas as faixas etárias.

Nota: Algumas informações respeitantes ao medicamento podem ser revistas periodicamente. Para informação atualizada, consultar o [Infomed](#).

Nota: Os preços foram comunicados aos Hospitais do Serviço Nacional de Saúde.

### 1. CONCLUSÕES DA AVALIAÇÃO

O albutrepenonacog alfa apresenta benefício adicional não quantificável no tratamento profilático da hemofilia B moderada a grave, em comparação com a terapêutica profilática para a hemofilia B à escolha do investigador.

Não foi possível avaliar como é que o albutrepenonacog alfa se compara com os comparadores selecionados tanto no tratamento das hemorragias, como no tratamento profilático dos doentes não previamente tratados, pelo que não foi financiado nestas indicações.

Na avaliação económica, foi demonstrado que o medicamento Idelvion apresenta um custo de tratamento anual não superior ao custo de tratamento com a alternativa comparadora.

## 2. AVALIAÇÃO FARMACOTERAPÉUTICA

<b>Propriedades farmacológicas</b>	<p>Albutrepenonacog alfa é um fator IX da coagulação recombinante. O prolongamento da semivida do albutrepenonacog alfa e a melhorada exposição sistémica são obtidos através da fusão com albumina recombinante. A albumina é uma proteína de transporte natural e inerte que existe no plasma e cuja semivida é de aproximadamente 20 dias. A fusão genética do fator IX da coagulação recombinante com a albumina prolonga a semivida do fator IX. Albitrepenonacog alfa permanece intacto na circulação até o fator IX ser ativado, verificando-se então a clivagem da albumina e a libertação do fator IX ativado (FIXa) quando este é necessário para a coagulação.</p> <p>Para informação adicional sobre o perfil farmacológico e farmacocinético, consultar o RCM disponível no <a href="#">Infomed</a>.</p>
<b>Comparador selecionado</b>	Nonacog alfa
<b>Valor terapêutico acrescentado</b>	<p>Considera-se que o albutrepenonacog alfa apresenta benefício adicional não quantificável no tratamento profilático da hemofilia B moderada a grave, em comparação com a terapêutica profilática para a hemofilia B à escolha do investigador.</p> <p>Não foi possível avaliar como é que o albutrepenonacog alfa se compara com os comparadores selecionados tanto no tratamento das hemorragias, como no tratamento profilático dos doentes não previamente tratados, pelo que não foi financiado nestas indicações.</p> <p>Estas conclusões basearam-se nos seguintes factos:</p> <ul style="list-style-type: none"><li>• Um estudo de fase 1/2 (2004), não randomizado, de braço único, com um desenho pré-experimental pré/pós teste (profilaxia à escolha do investigador/profilaxia com albutrepenonacog), em doentes com hemofilia B elegíveis para profilaxia contínua de hemorragias, sugeriu que o albutrepenonacog não parece aumentar a taxa de hemorragias anualizada e permite um aumento relevante do intervalo entre administrações (redução de &gt;50% das administrações em relação aos comparadores);</li><li>• Não foi submetida qualquer evidência que suporte o benefício adicional do albutrepenonacog no tratamento profilático de doentes com hemofilia B, não previamente tratados, ou no tratamento de hemorragias.</li></ul>

## 3. AVALIAÇÃO ECONÓMICA:

<b>Termos de comparação</b>	Posologia Média Diária (PMD)
-----------------------------	------------------------------

Tipo de análise	Análise minimização de custos
Vantagem económica	Procedeu-se a uma análise de minimização de custos entre o medicamento em avaliação e a alternativa de tratamento considerada. Da análise efetuada, conclui-se que o custo da terapêutica com o medicamento Idelvion não é superior ao custo da terapêutica alternativa.

#### 4. CONDIÇÕES CONTRATUAIS

O acesso do medicamento ao mercado hospitalar foi objeto de um contrato entre o INFARMED, I.P. e o representante do titular de AIM, ao abrigo do disposto no artigo 6.º do Decreto-Lei n.º 97/2015, de 1 de junho, na sua redação atual.

#### 6. REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS

1. Resumo das características do medicamento
2. Grupo de Avaliação da Evidência. Relatório Farmacoterapêutico (Idelvion (albutrepenonacog alfa)).
3. Santagostino E, Negrier C, Klamroth R, Tiede A, Pabinger-Fasching I, Voigt C, Jacobs I, Morfini M. (2012). Safety and pharmacokinetics of a novel recombinant fusion protein linking coagulation factor IX with albumin (rIX-FP) in hemophilia B patients. *Blood*, 120(12), 2405–2411. <http://doi.org/10.1182/blood-2012-05-429688>
4. Martinowitz U, Lissitchkov T, Lubetsky A, Jotov G, Barazani-Brutman T, Voigt C, Jacobs I, Wuerfel T, Santagostino E. (2015). Results of a phase I/II open-label, safety and efficacy trial of coagulation factor IX (recombinant), albumin fusion protein in haemophilia B patients. *Haemophilia*, 21(6), 784–790. <http://doi.org/10.1111/hae.12721>
5. Santagostino E, Martinowitz U, Lissitchkov T, Pan-Petesich B, Hanabusa H, Oldenburg J, Boggio L, Negrier C, Pabinger I, von Depka Prondzinski M, Altisent C, Castaman G, Yamamoto K, Álvarez-Roman MT, Voigt C, Blackman N, Jacobs I; PROLONG-9FP Investigators Study Group. (2016). Long-acting recombinant coagulation factor IX albumin fusion protein (rIX-FP) in hemophilia B: results of a phase 3 trial. *Blood*, 127(14), 1761–1769. <http://doi.org/10.1182/blood-2015-09-669234>
6. Kenet G, Chambost H, Male C, Lambert T, Halimeh S, Chernova T, Mancuso ME, Curtin J, Voigt C, Li Y, Jacobs I, Santagostino E and the PROLONG-9FP Investigator Study Group. (2016). Long-Acting Recombinant Fusion Protein Linking Coagulation Factor IX with Albumin (rIX-FP) in Children: Results of a Phase 3 Trial. *Thrombosis and Haemostasis*, 116(4), 659–668. <http://doi.org/10.1160/TH16-03-0179>
7. [A Safety and Efficacy Extension Study of a Recombinant Fusion Protein Linking Coagulation Factor IX With Albumin \(RIX-FP\) in Patients With Hemophilia B - Full Text View - ClinicalTrials.Gov.](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02053792) Accessed May 15, 2018. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02053792>.