

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2026_034
Virkestoff (handelsnavn)	Marstacimab (Hympavzi)
Virkningsmekanisme	Marstacimab er et humant monoklonalt IgG1-antistoff rettet mot Kunitz domene 2 (K2) i TFPI (tissue factor pathway inhibitor), den primære hemmeren av den ekstrinsiske koagulasjonskaskaden.
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder en indikasjonsutvidelse for et kjent virkestoff. Indikasjonen fikk markedsføringstillatelse (MT) i Europa 11.05.2026.
HTAR	Er metoden omfattet av regelverket for felles europeisk utredning av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)? ☐ Ja ☒ Nei
Bruksområde	Rutinemessig profylakse av blødningsepisoder hos pasienter som er 12 år og eldre, som veier minst 35 kg, og som har Hemofili A (medfødt faktor VIII-mangel) med faktor VIII-inhibitorer.
Forventet dosering	Den anbefalte dosen for pasienter som er 12 år og eldre og som veier minst 35 kg, er en innledende støtdose på 300 mg gitt som subkutan injeksjon, etterfulgt av 150 mg subkutan injeksjon én gang i uken, når som helst på døgnet. Behandlingen skal initieres under tilsyn av helsepersonell med erfaring innen behandling av hemofili. Behandlingen skal startes opp når pasienten ikke har blødninger og er beregnet for langvarig profylaktisk behandling.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Pfizer AS (leverandør)
Bakgrunn	<p>Hemofili er sjelden, arvelig, medfødt og livslang blødersykdom. Sykdommen skyldes en arvelig defekt i aktiviteten av faktor VIII (hemofili A) eller faktor IX (hemofili B) som begge er nødvendige for normal blodlevring (koagulasjon). Sykdommen rammer gutter, men jenter kan være arvebærere.</p> <p>Hensikten med behandling for hemofili er å forhindre blødning, stoppe pågående blødning og om mulig forhindre at gjentatte blødninger fører til kronisk invaliditet. Behandlingsstrategien vil være forskjellig for alvorlig grad versus moderat grad av hemofili. Dagens behandling av alvorlig hemofili A består først av profylaktisk behandling med tilførsel av konsentrat. Den manglende faktoren (IIIV) tilføres for å gi et faktornivå i plasma over 20 %, som erfaringsmessig får blødningen til å stoppe. Omtrent 25-30 % av pasienter med hemofili A som har fått behandling med konsentrat utvikler antistoff mot faktor VIII (faktor VIII-inhibitorer). Hos pasienter med faktor VIII-inhibitorer kan effekten av faktor VIII konsentrat være dårlig, og aktuell behandling vil da være protrombinkomplekskonsentrat (FEIBA) eller emicizumab (Hemlibra)¹. Emicizumab er tidligere metodevurdert og innført for pasienter med hemofili A med VIII-inhibitorer (ID2017_104).</p> <p>Marstacimab har MT til behandling av både hemofili A (faktor VIII-mangel) og hemofili B (faktor IX-mangel), for pasienter både med og uten inhibitorer (henholdsvis VIII og IX). Marstacimab er tidligere</p>

¹ [Hemofili A \(faktor VIII mangel\) og B \(faktor IX mangel\) - Norsk legemiddelhåndbok](#)

	<p>metodevurdert og innført for pasienter med alvorlig <u>hemofili B uten inhibitorer (ID2024_043)</u>. Den aktuelle anmodningen og egnethetsvurderingen gjelder en subgruppe av godkjent indikasjon, for pasienter med <u>hemofili A med VIII-inhibitorer</u>.</p> <p>I norsk klinisk praksis er dagens behandling og oppfølging av pasienter med alvorlig hemofili A og B svært god. Pasientene har generelt god blødningskontroll, og en median årlig blødningsrate (ABR) på om lag én blødning ifølge de medisinske fagekspertene DMP konfererte med i den tidligere metodevurderingen av marstacimab (ID2024_043).</p> <p>Effekt og sikkerhet av marstacimab hos menn og gutter > 12 år med hemofili A med FVIII-inhibitorer eller hemofili B med FIX-inhibitorer er basert på en åpen, multisenter- og overkrysnings-, fase III-studie (BASIS). Studien inkludert 51 menn og gutter (i alderen 12 år og eldre og ≥ 35 kg) med alvorlig hemofili A med FVIII-inhibitorer eller alvorlig hemofili B med FIX-inhibitorer, som tidligere hadde fått on-demand-behandling (N = 48) eller profylaktisk behandling (N = 3) med legemidler med bypass-aktivitet (rFVIIa (NovoSeven) eller aPCC (FEIBA)). Alle pasienter hadde en dokumentert historikk med inhibitorer. Pasienter med tidligere eller pågående behandling for, eller sykehistorie med, koronarsykdom, vene- eller arterietrombose eller iskemisk sykdom ble ekskludert fra studien².</p> <p>Etter en seks måneder lang observasjonsfase (OP-perioden) fikk pasientene en innledende støtdose på 300 mg marstacimab, etterfulgt av vedlikeholdsdoser på 150 mg marstacimab én gang i uken i 12 måneder (ATP-perioden). Doseopptrapping til 300 mg marstacimab én gang i uken var tillatt etter 6 måneder for pasienter som veide ≥ 50 kg, og som hadde 2 eller flere gjennombruddsblødninger. Fire (7,8 %) av 51 pasienter som fikk marstacimab i minst seks måneder, hadde en doseopptrapping av vedlikeholdsdosen².</p> <p>Det primære effektmålet i BASIS-studien var å sammenligne marstacimab-profylakse i ATP-perioden versus on-demand-behandling med legemidler med bypass-aktivitet i OP-perioden, målt ved ABR av behandlede blødninger².</p> <p>For totalpopulasjonen av hemofili A og B med inhibitorer var gjennomsnittlig ABR for behandlede blødninger 19,78 (16,12-24,27) i OP-perioden, før overgangen til ukentlig profylakse med marstacimab. Av de 48 pasientene hadde 70,8 % ett eller flere målledd ved studiestart, og 25,0 % hadde tre eller flere målledd ved studiestart. Etter ATP-perioden med marstacimabbehandling i 12 måneder var ABR for totalpopulasjonen 1,39 (0,85-2,29). Det deskriptive gjennomsnittet av ABR for behandlede blødninger hos deltakere med hemofili A var 1,08 ved profylaktisk behandling med marstacimab i ATP-perioden, sammenlignet med en gjennomsnittlig ABR på 18,99 ved behandling ved behov i OP-perioden².</p> <p>Leverandør anmoder om en prosess uten metodevurdering, og kun et prisnotat hvor legemiddelkostnadene ved marstacimab sammenlignes med emicizumab. Leverandør skriver at «<i>Hemlibra (emicizumab) har samme indikasjon, og har ifølge kliniker tilsvarende effekt som Hympavzi.</i>».</p>
--	--

² [Hympavzi, INN-marstacimab](#)

Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	<p>DMP har tidligere metodevurdert emicizumab (Hemlibra) for tilsvarende indikasjon som det anmodes om for marstacimab. Emicizumab ble da sammenlignet med protrombinkompleksskonsentrat (FEIBA) og innført for pasienter med hemofili A med VIII-inhibitorer (ID2017_104).</p> <p>Det finnes en spesialistgruppe for blodkoagulasjonsfaktorer, med et tilhørende anbud. Både emicizumab og marstacimab er inkludert i anbudet, men for ulike (innførte) pasientgrupper.</p> <p>Andre MT-godkjente behandlinger for hemofili A med VIII-inhibitorer med historikk i Nye Metoder er:</p> <ul style="list-style-type: none"> - ID2023_100 - Koncizumab (Alhemo) – bestilt prisnotat fra Sykehusinnkjøp HF i 2023. Avbestilt i 2025. - ID2026_002 - Denecemig – bestilt prisnotat fra Sykehusinnkjøp i september 2026. <p>Emicizumab og denecemig har lignende virkningsmekanisme, i motsetning til koncizumab og marstacimab som har lignende, men en annen virkningsmekanisme enn de to førstnevnte. Alle overnevnte legemidler administreres subkutant.</p> <p>Det er kommet et innspill fra fagmedisinsk forening (FMF, Norsk selskap for hematologi). I innspillet står det at den aktuelle pasientgruppen i dag har god og effektiv behandling med emicizumab og at denne bør være komparator i en eventuell metodevurdering. Innspillet forteller videre at det i dag er 10 pasienter som er 12 år og eldre med alvorlig hemofili A med faktor VIII-inhibitorer, hvor marstacimab vil kunne være et alternativ. Innspillet gjengir eksklusjonskriterier fra BASIS-studien for marstacimab, med hensyn til manglende sikkerhetsdata for denne pasientpopulasjonen, samt begrensninger med at studien kun hadde en observasjonstid på 12 måneder.</p> <p>DMP vurderer at emicizumab er relevant sammenligningsalternativ og komparator i en eventuell metodevurdering. Det finnes ikke dokumentasjon som sammenligner effekten av emicizumab og marstacimab direkte, så for å etablere den relative effekten mellom de to må det gjøres en indirekte behandlingssammenligning (ITC). Studiedesignet i BASIS-studien for marstacimab er imidlertid slik at DMP vurderer at en ITC mellom emicizumab og marstacimab ikke vil kunne gjennomføres/føre til en troverdig effektsammenligning.</p>
Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	<p>DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det foreligger imidlertid ikke data som kan være egnet metodevurdering med en helseøkonomisk analyse. Det foreligger heller ikke data som kan benyttes for å etablere hvorvidt det er en relativ effektforskjell mellom marstacimab og dagens behandlingsalternativ (emicizumab).</p> <p>DMP vurderer at egnethetsvurderingen og tidligere metodevurderinger på området tilstrekkelig opplyser saken, og at en metodevurdering av ID2026_034 i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker.</p>

Versjonslogg*

Dato	Hva
06.10.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP

*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se [Legemiddelsøk.no](https://legemiddelsøk.no). Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.