



arzneimittel bewertung

Lonoctocog alfa (Afstyla®)

Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A

Empfehlungen der Fachgesellschaft zum Einsatz neuer Arzneimittel

Herausgeber

DGHO Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und
Medizinische Onkologie e.V.

Alexanderplatz 1
10178 Berlin

Geschäftsführender Vorsitzender: Prof. Dr. med. Carsten Bokemeyer

Telefon: +49 (0)30 27 87 60 89 - 0

Telefax: +49 (0)30 27 87 60 89 - 18

info@dgho.de

www.dgho.de

Ansprechpartner

Prof. Dr. med. Bernhard Wörmann
Medizinischer Leiter

Quelle

www.onkopedia.com

Die Empfehlungen der DGHO für den Einsatz neuer Arzneimittel bei hämatologischen und onkologischen Erkrankungen im Rahmen dieser Bewertung entbinden die verantwortliche Ärztin / den verantwortlichen Arzt nicht davon, die Verordnung und den Einsatz des jeweiligen Arzneimittels im Einzelfall zu überprüfen. Die DGHO übernimmt für Empfehlungen keine Gewähr.

Looctocog alfa (Afstyla®)

Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A
Stand: Juli 2017

1 Nutzenbewertung

| Subgruppen (Festlegung des G-BA) | Zusatznutzen (G-BA vom 20. 7. 2017) | Stellungnahme DGHO |
|----------------------------------|-------------------------------------|--|
| keine | nicht belegt | Besonderheit von Looctocog alfa ist seine Struktur als einkettiges Polypeptid, das mit einer höheren Affinität an den von-Willebrand-Faktor (VWF) bindet. Die Halbwertszeit des Moleküls wird dadurch im Vergleich zu Octocog alfa geringfügig verlängert. Ergebnisse randomisierter Studien zum direkten Vergleich der Wirksamkeit von Looctocog alfa gegenüber plasmatischen oder anderen rekombinanten FIX-Präparaten liegen nicht vor. |

2 Zulassung und Studien

| | | |
|-------------------|---|--|
| Zulassung (EMA) | | Januar 2017 |
| Status | | |
| Applikation | | intravenös |
| Wirkmechanismus | | Rekombinantes, einkettiges Faktor VIII(FVIII)-Präparat |
| Studienergebnisse | Kontrollarm der Zulassungsstudie | Ergebnisse von Phase-III-Studien zum Vergleich mit anderen FVIII-Präparaten liegen nicht vor. In zwei nicht-randomisierten Studien wurden Kinder und Erwachsene behandelt. |
| | Mortalität | Es liegen keine Daten randomisierter Studien mit dem Endpunkt Überlebenszeit vor. |
| | Morbidität | Die hämostatische Wirksamkeit von Looctocog alfa ist hoch. Daten direkt vergleichender Studien zu anderen FVIII-Präparaten liegen nicht vor. Die Prophylaxe mit Looctocog alfa wurde bei geeigneten Patienten seltener als üblich verabreicht. |
| | Nebenwirkungen | Es liegen keine Hinweise auf vermehrte immunologische Reaktionen (Inhibitorentwicklung) vor. |
| Quellen | Fachinformation | http://www.ema.europa.eu/docs/de_DE/document_library/EPAR_-_Summary_for_the_public/human/002719/WC500157556.pdf |

| | |
|------------------------|--|
| Zulassung | http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/human/medicines/002719/human_med_001701.jsp&mid=WC0b01ac058001d124 |
| Studien | Mahlangu et al., 2016; DOI:10.1182/blood-2016-01-687434 Stasyshyn O et al., 2017; DOI:10.1111/jth.13647 |
| Nutzenbewertung | https://www.g-ba.de/informationen/nutzenbewertung/277/ https://www.dgho.de/informationen/stellungnahmen/fruehe-nutzenbewertung/Lonococog%20alfa%20GTH%20DGH%20Stellungnahme%2020170502.pdf |
| Leitlinien | Bundesärztekammer: Querschnitts-Leitlinien (BÄK) zur Therapie mit Blutkomponenten und Plasmaderivaten. 4. Auflage, Dtschl. Ärzteblatt 105:A2121, 2008. |