

MEDICINRÅDETS ANBEFALING

Vutrisiran (Amvuttra) til behandling af transthyretin amyloidose med kardiomyopati

Medicinerådet anbefaler ikke vutrisiran (Amvuttra) til behandling af transthyretin amyloidose med kardiomyopati.

Medicinerådets begrundelse

Medicinerådet lægger vægt på, at vutrisiran har sammenlignelig effekt og bivirkninger som de eksisterende behandlinger med tafamidis og acoramidis. Vutrisiran er dog væsentligt dyrere end de eksisterende behandlinger, og Medicinerådet vurderer, at omkostningerne ikke er acceptable i forhold til behandlingens effekt. Derfor anbefaler Medicinerådet ikke vutrisiran som mulig standardbehandling.

Om transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati

Transthyretinmedieret amyloidose er en hjertesygdom, som medfører aflejring af transthyretin og fører til svækkelse af hjertet. Sygdommen viser sig typisk hos patienter i 75-80-årsalderen og medfører forkortet levetid og symptomer som åndenød, træthed og væskeophobning, som påvirker livskvaliteten. Med den eksisterende behandling er restlevetiden for patienterne typisk ca. 5 år eller mere.

Fordele ved vutrisiran

Kliniske studier viser, at effekten af vutrisiran på overlevelse, sygdomsforværring og livskvalitet er sammenlignelig med de eksisterende behandlingsmuligheder med tafamidis og acoramidis. Vutrisiran gives som en indsprøjtning hver tredje måned, mens de eksisterende behandlinger gives som tabletter dagligt. Et længere interval mellem doseringerne kan være en fordel for nogle patienter.

Ulemper ved vutrisiran

Amvuttra giver forholdsvis milde bivirkninger, som er sammenlignelige i sværhedsgrad med dem, man ser ved den eksisterende behandling.

Omkostninger

Behandlingen med vutrisiran medfører udgifter til lægemidlet på ca. 6,4 mio. kr. for et behandlingsforløb på to år. Behandlingen forventes at gives i over 5 år. Sammenlignet med den nuværende behandling medfører vutrisiran meromkostninger på ca. 4,9-5 mio. kr. pr. patient på to år. Omkostningerne er baseret på offentlige listepreiser. Der er forhandlet en rabat, som efter virksomhedens ønske er fortrolig. Der er også rabat på de eksisterende behandlinger, og de reelle meromkostninger er lavere.

Usikkerheder

Datagrundlaget består af en indirekte sammenligning af flere studier, som inkluderer både patienter, der er sammenlignelige med danske patienter, men også patienter med mere sygdom. Det gør sammenligningen af vutrisiran over for tafamidis mere usikker.

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Ansøgende virksomhed	Alnylam Netherlands B.V.
Hvordan gives behandlingen?	25 mg subkutan injektion hver tredje måned.
Hvad kendetegner sygdommen?	Sygdommen er livsforkortende og kan give åndenød, træthed og nedsat livskvalitet.
Hvilke patienter sættes i behandling?	Patienterne er typisk 75-80 år, og 60-80 nye patienter om året vurderes at være egnede til behandling.
Hvad er den forventede restlevetid og livskvalitet?	Patienterne lever typisk 5 år eller mere med sygdommen. Livskvaliteten er ofte påvirket af symptomer fra hjertet.
Hvilken behandling modtager patienter i dag?	Patienterne behandles med acoramidis eller tafamidis.
Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?	Behandlingen er sammenlignet med placebo i HELIOS-B. Der er ikke foretaget en tilstrækkelig valid direkte sammenligning med den behandling, der anvendes i Danmark. Derfor er vurderingen baseret på indirekte sammenligninger.
Hvilken sundhedsgevinst estimerer Medicinrådet?	Ingen. Behandlingens effekt vurderes at være lige så god som den eksisterende behandling i Danmark.
Hvad koster behandlingen?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedens ønske. Listepris (AIP): 6,4 mio. kr. for to års behandling <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedernes ønske. Listepriser (AIP): 4,9-5 mio. kr. <i>Estimeret merudgift pr. patient over to år, hvis den nye behandling anvendes frem for den nuværende behandling. Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>

Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefaling bygger på en faglig vurdering af lægemidlets effekt for patienterne og omkostningseffektivitet for sundhedsvæsenet, sammenlignet med den eksisterende behandling i det danske sundhedsvæsen. *Medicinrådets vurdering af vutrisiran til behandling af vildtype eller hereditær transthyretin amyloidose hos voksne patienter med kardiomyopati* er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, www.medicinraadet.dk.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	29. april 2026	Godkendt af Medicinrådet.