

Kriterier vedr. behandling med tafamidis til patienter med transthyretin amyloidose med kardiomyopati (ATTR-CM)

Fagudvalget har opsat nedenstående kriterier for opstart og seponering for behandling med tafamidis for patienter med vildtypesygdom eller arvelig sygdom. Kriterierne er baseret på evidens for behandling med tafamidis og klinisk erfaring med behandling af sygdommen.

Opstartskriterier (alle skal opfyldes)

- Patienten er diagnosticeret med vildtype ATTR-CM eller arvelig ATTR-CM bekræftet genetisk.
- Diagnosen er bekræftet af specialist i ATTR-CM på højt specialiseret kardiologisk center (ved DPD-skintigrafi eller myokardiebiopsi med påvisning af amyloid af ATTR-type).
- AL-amyloidose er udelukket.
- Ekkokardiografi viser ventrikulær septumtykkelse ≥ 12 millimeter.
- Fravær af betydende non-kardiel komorbiditet (fx cancer eller almen svækkelse/funktionstab).
- Patienten skal have eGFR på mindst 25 ml/min/1,73 m².
- Behandling med tafamidis forventes at være livsforlængende for patienten, dvs. forventet restlevetid > 2,5 år.
- Patienten skal have bevaret gangfunktion og skal kunne gå mindst 100 meter på 6 minutter.
- Patienten skal være i NYHA klasse I, II eller III.
- Patienten skal være i NAC-stadie I eller II.
- Der skal være symptomer på hjertesvigt (aktuelt eller tidligere).
- Der skal være forhøjet NT-proBNP (NT-proBNP > 600 ng/L).
- Patienten skal have tegn på væskeophobning, som leder til behov for behandling med diuretika.

Seponeringskriterier

- Ved uacceptable bivirkninger.
- Ved levertransplantation.
- Når patienten er i terminalstadiet.
- Ved udvikling af så betydende non-kardiel komorbiditet, at behandlingen ikke længere skønnes meningsfuld (kunne fx være cancer eller almen svækkelse/funktionstab).