

Medicinrådets anbefaling vedrørende tafamidis til transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati

MEDICINRÅDET ANBEFALER

tafamidis til behandling af voksne patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati. Anbefalingen gælder kun patienter i NYHA-klasse I og II, som har dokumenteret hjerteinvolvering ved myokardiebiopsi. Anbefalingen gælder ligeledes kun patienter med forventede alvorlige forløb, hvor levertransplantation tidligere har været behandlingspraksis, og patienter, hvor hjertettransplantation eller kombineret lever/hjertettransplantation overvejes indenfor en kortere årrække.

Behandling med tafamidis kan sandsynligvis udskyde tiden til sygdomsforværring. Der er få bivirkninger ved tafamidis.

Medicinrådet vurderer derfor, at de samlede udgifter er rimelige i forhold til lægemidlets forventede effekt i denne patientpopulation med meget alvorlig sygdom.

MEDICINRÅDET ANBEFALER IKKE

tafamidis til behandling af øvrige voksne patienter med arvelig og vildtype transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati.

Behandling med tafamidis kan udskyde tiden til sygdomsforværring og forlænge overlevelsen for nogle af patienterne sammenlignet med ingen aktiv behandling. Der er dog usikkert, hvor meget længere patienterne lever på grund af behandlingen, fordi patienterne er fulgt i for kort tid i forhold til deres prognose. Der er få bivirkninger ved tafamidis.

Patienterne i denne gruppe skal sandsynligvis have behandlingen i mange år. Medicinrådet vurderer derfor samlet set, at omkostningerne er for høje, særligt når man tager usikkerheder om effektens størrelsesorden hen over et helt sygdomsforløb med i betragtning.

VÆRDI FOR PATIENTERNE

Tafamidis til voksne patienter med vildtype eller arvelig transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati har en moderat merværdi sammenlignet med placebo. Det betyder, at tafamidis samlet set er noget bedre for patienterne end ingen behandling. Medicinrådet har lagt vægt på,



at målene med behandling med tafamidis er at forlænge livet samt at bevare livskvaliteten.

Behandling med tafamidis kan reducere sygdomsprogressionen, hvilket fører til forlænget overlevelse og forbedret livskvalitet sammenlignet med ingen behandling ("best supportive care"). Der er få ikke-alvorlige bivirkninger ved behandlingen. Kvaliteten af de data, der er for sammenligningen af tafamidis med placebo, er moderat. Det betyder, at nye studier med lav sandsynlighed kan ændre konklusionen.

OMKOSTNINGER FOR SUNDHEDSVÆSENET

(NB: afsnittet er ikke opdateret efter ændring i praksis for patienter med arvelig alvorlig sygdom og ændring i AIP-pris)

I officielle priser vil det i gennemsnit koste ca. 2,8 mio. kr. mere at behandle én patient med vildtype transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati med tafamidis end ingen behandling ("best supportive care") med en gennemsnitlig behandlingstid på ca. 5 år.

I officielle priser vil det i gennemsnit koste ca. 409.000 kr. mere at behandle én patient med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati med tafamidis end ingen behandling ("best supportive care") med en gennemsnitlig behandlingstid på ca. 6 måneder, frem til patienten får tilbudt levertransplantation. Hvis patienten ikke er egnet til levertransplantation, vil den officielle pris være tilsvarende til prisen for behandling af én vildtypepatient.

Med et patientantal på ca. 275 hen over de første to år og derefter ca. 50 nye patienter pr. år med vildtype transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati vil anbefalingen betyde, at de årlige budgetkonsekvenser i det 5. år vil være ca. 175 mio. kr.

Der er få patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati, som samtidig er egnede til levertransplantation, og som forventes at kunne blive behandlet pr. år, vil anbefalingen betyde, at de årlige budgetkonsekvenser i det 5. år vil være ca. 186.000 kr.

Beløbene er baseret på de officielle listepreiser for lægemidlerne. Rådets beslutning er truffet på baggrund af priser på lægemidlerne, som Amgros har forhandlet med lægemiddelfirmaerne.

De forhandlede priser er fortrolige efter firmaernes ønske, og derfor må Medicinrådet ikke offentliggøre hverken de reelle priser eller omkostninger.

ALVORLIGHED

Sygdommens alvorlighed er altid medtaget i Medicinrådets vurdering af et lægemiddels værdi. Det sker i forbindelse med valget af effektmål og den vægt, Medicinrådet tillægger effektestimaterne, hvilket er forskelligt alt efter typen af effektmål. Derudover har Medicinrådet formuleret et alvorlighedsprincip, som Medicinrådet kan inddrage i helt særlige situationer. Dette har ikke været nødvendigt i denne sag.



ANBEFALINGEN BETYDER

Anbefalingen betyder, at Medicinrådet råder regionerne til at bruge tafamidis til behandling af voksne patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati, som er i NYHA-funktionsklasse I og II, og som har dokumenteret hjerteinvolvering ved myokardiebiopsi med forventede alvorlige forløb, hvor levertransplantation tidligere har været behandlingspraksis, og hvor hjertetransplantation eller kombineret lever/hjertetransplantation overvejes indenfor en kortere årrække.

Anbefalingen betyder også, at Medicinrådet ikke råder regionerne til at bruge tafamidis til behandling af øvrige voksne patienter med arvelig og vildtype transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati.

Fagudvalgets sammensætning kan ses på Medicinrådets hjemmeside.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
4.0	23. august 2023	Ændring i tekst for anbefaling pga. ændring i behandlingspraksis for patienter med arvelig sygdom og alvorlige sygdomsforløb. Øvrige dele af dokumentet er ikke opdateret.
3.0	26. oktober 2022	Revurdering af anbefaling på grund af ny prisaf tale og opdateret patientantal. Forsigtighedsprincippet er ikke længere i brug.
2.0	24. februar 2021	Revurdering af anbefaling på grund af ny prisaf tale. Tilpasning til ny skabelon.
1.1	29. oktober 2020	Præcisering i anbefalingen vedr. NYHA-funktionsklasser
1.0	21. oktober 2020	Godkendt af Medicinrådet.

Om Medicinrådets anbefaling