

# Medicinrådets anbefaling vedrørende tafamidis til transthyretin-medieret amyloidose med kardiomyopati

## Medicinrådet anbefaler

tafamidis til behandling af voksne patienter med arvelig transthyretin-medieret amyloidose med kardiomyopati, som er skrevet op til levertransplantation. Medicinrådet vurderer, at udgifterne til behandling er rimelige i forhold til den effekt, der forventes i perioden frem til levertransplantation. Anbefalingen gælder kun patienter i NYHA-klasse I og II.

## Medicinrådet anbefaler ikke

tafamidis til behandling af øvrige voksne patienter med arvelig og vildtype transthyretin-medieret amyloidose med kardiomyopati, fordi udgifterne til behandling er for høje i forhold til effekten. Desuden er der usikkerhed om patientpopulationens størrelse, blandt andet fordi det kan forventes, at patienterne diagnosticeres tidligere i fremtiden, samt at flere patienter vil få diagnosen. Konsekvenserne for sundhedsvæsnets samlede budget kan derfor blive uforholdsmæssigt store. Medicinrådet inddrager derfor forsigtighedsprincippet i sin beslutning. Forsigtighedsprincippet skal bl.a. sikre, at ibrugtagning af et nyt lægemiddel ikke vil indebære, at en uforholdsmæssig stor andel af sundhedsvæsenets økonomiske midler allokeres i retning af én medicinsk behandling.

## Værdi for patienterne

Tafamidis til voksne patienter med vildtype eller arvelig transthyretin-medieret 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

I officielle priser vil det i gennemsnit koste ca. 2,9 mio. kr. mere at behandle én patient med vildtype transthyretin-medieret amyloidose med kardiomyopati med tafamidis end ingen behandling ("best supportive care") med en gennemsnitlig behandlingstid på ca. 4-5 år.

I officielle priser vil det i gennemsnit koste ca. 420.000 kr. mere at behandle én patient med arvelig transthyretin-medieret 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 nuværende patientantal på ca. 300 og ca. 100 nye patienter pr. år med vildtype transthyretin-medieret amyloidose med kardiomyopati vil anbefalingen betyde, at de årlige budgetkonsekvenser i det 5. år vil være ca. 301 mio. kr.

Da < 1 nye patienter med arvelig transthyretin-medieret amyloidose med kardiomyopati, som samtidig er egnet til levertransplantation, forventes at kunne blive behandlet pr. år, vil anbefalingen betyde, at de årlige budgetkonsekvenser i det 5. år vil være ca. 190.000 kr.

Lægemiddelfirmaet har dog givet en fortrolig rabat, og derfor er de reelle tal lavere.

## Alvorlighed

Medicinrådet har taget højde for alvorligheden af sygdommen og symptomerne i vurderingen af tafamidis' værdi for patienterne. Medicinrådet har ikke anvendt alvorlighedsprincippet i beslutningsgrundlaget for anbefalingen af tafamidis til patienter med vildtype eller arvelig transthyretin-medieret amyloidose med kardiomyopati.

## 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 skrevet op til levertransplantation, og som er i NYHA-funktionsklasse I og II.

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

Godkendt	21. oktober 2020
Dokumentnummer	97090
Versionsnummer	1.1

© Medicinrådet, 2020. Publikationen kan frit refereres med tydelig kildeangivelse.

Medicinrådet, Dampfærgevej 27-29, 3. th., 2100 København Ø

[www.medicinraadet.dk](http://www.medicinraadet.dk)

Sprog: dansk

Format: pdf