

# Medicinrådets anbefaling vedrørende tolvaptan som mulig standardbehandling til autosomal dominant polycystisk nyresygdom

## Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler ikke** tolvaptan som mulig standardbehandling til patienter med hastigt progredierende autosomal dominant polycystisk nyresygdom (ADPKD) i CKD-stadie 1-3, idet der ikke er dokumenteret en klinisk merværdi.

## Sygdom og behandling

ADPKD er karakteriseret ved fremkomst af væskefyldte cyster i nyrerne, som medfører nyreinsufficiens og i sidste ende kan progrediere til terminalt nyresvigt (end stage renal disease, ESRD), hvor patienter får behov for dialyse eller transplantation. ADPKD inddeles i fem CKD-stadier. Derudover har nogle patienter hurtig progredierende sygdom, som dermed er kandidater til behandling med tolvaptan. I Danmark findes der cirka 350 patienter med ADPKD i CKD-stadie 1-3 med hurtig progression. Incidensen af nye tilfælde skønnes at være på 30 tilfælde årligt. Der findes ingen kurativ behandling for ADPKD.

## Om lægemidlet

Tolvaptan er en selektiv vasopressinreceptorantagonist med affinitet for vasopressin type 2 (V2)-receptorerne. Blokering af V2-receptorerne forhindrer akkumulering af vand i cysterne samt nedsætter celleproliferationen ved at reducere mængden af cAMP i cellerne. På den måde kan progressionen af cysteudvikling og i sidste ende udviklingen af nyreinsufficiens bremses.

Tolvaptan gives oralt som tabletter to gange dagligt ved et split dose-regime, hvor doseringen, under hensyntagen til tolerabiliteten, øges ugentligt fra først 45 mg og 15 mg til 60 mg og 30 mg og ultimativt til 90 mg og 30 mg.

## Sundhedsfaglig vurdering

Medicinrådet vurderer, at tolvaptan sammenlignet med placebo har en ikkedokumenterbar klinisk merværdi til patienter med ADPKD med hastigt progredierende sygdom. Den kliniske merværdi gælder for den samlede population af patienter i CKD-stadie 1-3, samt for hver enkelt gruppe af patienter i henholdsvis CKD-stadie 1, 2 og 3.

## Medicinrådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til klinisk merværdi

Medicinrådet vurderer, at der ikke er et rimeligt forhold mellem den kliniske merværdi og de omkostninger, tolvaptan forventes at have.

## Overvejelser om alvorlighed/forsigtighed

Medicinrådet har ikke fundet anledning til at inddrage forhold vedrørende alvorlighed eller forsigtighed i anbefalingen.

## Relation til eksisterende behandlingsvejledning

Medicinrådet har ingen eksisterende behandlingsvejledning til ADPKD.

## Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefaling bygger på en faglig vurdering af, om ny medicin giver merværdi for patienterne i forhold til eksisterende behandling samt en vurdering af omkostningerne ved at anvende medicinen. Regionernes indkøbsorganisation Amgros indgår aftale om en pris for medicinen med ansøgeren. På baggrund af den aftalte pris vurderer Medicinrådet, om medicinens merværdi står mål med prisen, og om medicinen derfor kan anbefales som mulig standardbehandling.

Anbefaling til mulig standardbehandling betyder, at medicinen bliver et alment tilbud til en patientgruppe, og at medicinen er tilgængelig på sygehusene.