



Vyndaqel 61 mg (tafamidis) vid vildtyp (ATTRwt) eller ärftlig (ATTRv) transtyretinamyloidos hos vuxna med kardiomyopati

NT-rådets yttrande till regionerna 2021-09-03

Rekommendation och sammanvägd bedömning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att Vyndaqel 61 mg bör användas vid vildtyp eller ärftlig transtyretinamyloidos hos vuxna patienter med kardiomyopati och funktionsklass I eller II
- att använda kvalitetsregistret SveATTR-registret för uppföljning

TLV har beslutat att Vyndaqel 61 mg ingår i läkemedelsförmånerna från och med 2021-09-01 vid behandling av vuxna med kardiomyopati samt:

- 1) ATTRwt (förvärvad sjukdom) eller
- 2) ATTRv (ärftlig sjukdom) utan betydande amyloidosymtom från andra organ än hjärtat.

Dessa patienter med ATTRwt eller ATTRv ska ha symtomgivande hjärtsvikt, ventrikulär septumtjocklek >12 mm på ekokardiografi eller tecken på ökad volymsbelastning i hjärtat som lett till behov av diuretika. Ovan nämnda användning subventioneras endast vid förskrivning av specialist inom kardiologi med särskild kunskap inom området.

Överläggningar har genomförts mellan TLV, företaget och regionerna. Inom ramen för dessa har ett avtal om återbäring av en del av kostnaden för försäljning av Vyndaqel 61 mg på recept tagits fram. Avtalet tecknas mellan företaget och respektive region.

Regionerna rekommenderas att följa upp behandlingen med Vyndaqel i SveATTR-registret.

NT-rådet rekommenderar regionerna att använda Vyndaqel i enlighet med TLV:s förmånsbeslut.



Om läkemedlet

Vyndaqel 61 mg är avsett för behandling av vildtyp eller ärftlig transtyretinamyloidosis hos vuxna med kardiomyopati. Vyndaqel innehåller tafamidis som är en selektiv stabiliserare av TTR-proteinet och hejdar den amyloidogena processen i hjärtmuskeln. Därmed motverkas irreversibel skada och försämrad hjärtmuskelfunktion.

Bedömning av platsen i terapin

NT-rådets nationella expertgrupp för transtyretinamyloidosis har bistått NT-rådet i framtagandet av rekommendationen.

För personer med hjärtamyloidosis av vildtyp (ATTRwt-CM) är nuvarande medianöverlevnad utan behandling drygt 3 år. Noterbart är att medelålder vid diagnos är 77 år. För personer med ärftlig variant (ATTRv-CM) är medianöverlevnaden utan behandling mellan 7 och 11 år från insjuknandet.

Förekomsten av hjärtamyloidosis av vildtyp är inte helt klarlagd. Uppskattningar visar att drygt 2000 personer i Sverige kan ha sjukdomen men det råder osäkerhet om alla har nytta av behandling med Vyndaqel 61 mg. Ungefär 450 personer i Sverige har ärftlig transtyretinamyloidosis (ATTRv).

Symtomreducerande åtgärder såsom antiarytmika, diuretika eller pacemaker kan provas. Konventionella hjärtsviktsläkemedel är ofta olämpligt vid transtyretinamyloidosis med kardiomyopati.

Behandling med Vyndaqel 61 mg bör initieras och utvärderas på universitetssjukhus.

Vyndaqel 61 mg bör övervägas vid symtomgivande hjärtsvikt enligt nedanstående kriterier. Vyndaqel 61 mg har inte visat signifikant effekt på patienter med funktionsklass NYHA III.

För patienter med ärftlig transtyretinamyloidosis bör i första hand levertransplantation övervägas efter fibrilltypsbestämning i ett tidigt stadium av sjukdomen. Se vidare i NT-rådets rekommendation för [Tegsedi \(inotersen\) och Onpattro \(patisiran\) vid ärftlig transtyretinamyloidosis \(Skelleftesjukan\)](#).

Kriterier för inledande av behandling

- Dominerande hjärtsviktssymtom och i övrigt klinisk misstanke om hjärtamyloidosis
- Ekokardiografi med septumtjocklek >12 mm
- Positiv DPD-skintigrafi av hjärtat visar grad 1-3, alternativt positiv hjärtbiopsi
- Uteslut amyloidosis på basen av lätta kedjor (AL-amyloidosis)

Kriterier för uppföljning av behandlingseffekt

- Kvalitetsregistret SveATTR ska användas
- Bedömning av klinisk helhetsbild görs halvårsvis och baseras på utvärdering av NT-proBNP, troponin, njurfunktion (vilka visats ge prognostisk information enligt Mayo- och Gillmore-skalorna), funktionsklass hjärtsvikt (New York Heart Association, NYHA) och funktionsgrad kardiomyopati (Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire, KCCQ), 6 minuters gångsträcka (6MWT) samt eventuellt ekokardiografi.



Kriterier för utsättning

Utsättning av behandlingen föregås av helhetsbedömning av patientens tillstånd, grad av kardiomyopati, med tillhörande utvärderingsparametrar. Kliniska studien (ATTR-ACT) visade vid funktionsklass NYHA III ingen signifikant skillnad i överlevnad, samtidigt som risken för sjukhusinläggning var högre med tafamidis jämfört med placebo. När funktionsklass NYHA varaktigt överstiger II är nyttan avseende kardiomyopatin därmed tveksam. Detta bör i allmänhet föranleda utsättning av Vyndaqel 61 mg.

Om i övrigt bristande effekt noteras eller intolerabla biverkningar uppstår bör behandlingen avbrytas. Om patient som behandlas, eller inför beslut om behandling, ger signaler om bristande följsamhet bör behandlingen avbrytas.

Referenser

[TLV:s beslut för Vyndaqel 61 mg](#)
[EPAR \(produktresumé\) för Vyndaqel 61 mg](#)

Länkar till mer information

Tafamidis Treatment for Patients with Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy
[ATTR-ACT – studien N Engl J Med 2018; 379:1007-1016](#)

Hjärtamyloidos – nya möjligheter vid sjukdom med dålig prognos
[Läkartidningen 2021;118:20138](#)

Mathew S *et al.* Tafamidis Treatment for Patients with Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy
[Journal of the American College of Cardiology 2016;68:1014-1012](#)

Gillmore JD *et al.* A new staging system for cardiac transthyretin amyloidosis
[European Heart Journal 2018;39:2799-2806](#)

NT-rådets expertgrupp för transtyretinamyloidos

Medlemmar i NT-rådets expertgrupp för transtyretinamyloidos:
Anders Bergström, sammankallande, Norra sjukvårdsregionen
Jonas Wixner, Norra sjukvårdsregionen
Jorge Mejia Baranda, Norra sjukvårdsregionen
Gustav Smith, Södra sjukvårdsregionen
Kristin Samuelsson, Sjukvårdsregion Stockholm/Gotland

Närvarande vid beslut

Gerd Lärfars, ordförande NT-rådet; Maria Palmetun-Ekback, Sjukvårdsregion Mellansverige; Torbjörn Söderström, sjukvårdsregion Stockholm/Gotland; Anna Lindhé, Västra sjukvårdsregionen; Maria Landgren, Södra sjukvårdsregionen; Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen; Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen.

Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet.