NT-rådet
REGIONERNAS SAMVERKANSMODELL FÖR LÄKEMEDEL

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

NT-rådets yttrande till regionerna 2023-10-23
Översyn genomförd 2024-10-11

ARKIVERAD 2025-09-02

Rekommendation

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

Vyndaqel 61 mg ingår i läkemedelsförmånerna sedan 2021-09-01 vid behandling av vuxna med kardiomyopati samt:

1) ATTRwt (förvärvad sjukdom) eller

2) ATTRv (ärftlig sjukdom) utan betydande amyloidossymtom från andra organ än hjärtat.

Dessa patienter med ATTRwt eller ATTRv ska ha symtomgivande hjärtsvikt, ventrikulär septum-tjocklek >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 tecknades ett avtal om återbäring av en del av kostnaden för försäljning av Vyndaqel 61 mg på recept. Avtalet har tecknats mellan företaget och respektive region.

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

Om läkemedlet

Vyndaqel 61 mg är avsett för behandling av vildtyp eller ärftlig transtyretinamyloidos 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 plats i terapin

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

För personer med hjärtamyloidos 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.

Ungefär 450 personer i Sverige har ärftlig transtyretinamyloidos (ATTRv) med eller utan kardiomyopati. Förekomsten av hjärtamyloidos 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. Behandlingseffekten inträder långsamt och läkemedlet har hittills inte visat någon nytta för patienter med förväntad återstående livslängd understigande 1-2 år.

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

Ställningstagande till behandling med Vyndaqel 61 mg bör ske i samråd med universitetssjukhus eller nationellt centrum för högspecialiserad vård vid familjär transtyretinamyloidos.

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.

Kriterier för inledande av behandling

Samtliga av nedanstående kriterier ska vara uppfyllda

- Hjärtsvikt som huvudsakligen bedöms vara orsakad av kardiomyopati
- Ekokardiografi med septumtjocklek >12 mm
- Positiv DPD-skintigrafi av hjärtat visar grad 2-3, alternativt komplettera med hjärtbiopsi vid DPD-skintigrafi grad 0-1
- Uteslut amyloidos på basen av lätta kedjor (AL-amyloidos)
- Funktionsklass NYHA I eller II, men i undantagsfall NYHA III om ovanstående kriterier är uppfyllda och det i övrigt föreligger en god prognos

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 Questionnare, KCCQ), 6 minuters gångsträcka (6MWT) samt eventuellt ekokardiografi.

ARKIVERAD 2025-09-02

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 övervägande om 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
Initissar Anan, Norra sjukvårdsregionen
Jorge Mejia Baranda, Norra sjukvårdsregionen
Jörn Schneede, Norra sjukvårdsregionen
Lina-Maria Nordvall, Norra sjukvårdsregionen
Gustav Smith, Södra sjukvårdsregionen
Kristin Samuelsson, Sjukvårdsregion Stockholm/Gotland

ARKIVERAD 2025-09-02

Tidpunkt för revision av yttrandet

Den här rekommendationen från 2024-10-11 ersätter den tidigare rekommendationen för Vyndaqel från 2023-10-23. Kriterierna för insättning har reviderats.

Närvarande vid beslut 2023-10-23

Gerd Lärfars, ordförande NT-rådet; Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen; Åsa Derolf, sjukvårdsregion Stockholm-Gotland; Maria Palmetun Ekbäck, Sjukvårdsregion Mellansverige; Maria Landgren, Södra sjukvårdsregionen; Anna Lindhé, Västra sjukvårdsregionen; Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen

Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet.

ARKIVERAD 2025-09-02