

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

NT-rådets yttrande till regionerna 2023-10-23

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 amyloidosymtom 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 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 plats 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.

Ungefär 450 personer i Sverige har ärftlig transtyretinamyloidosis (ATTRv) med eller utan kardiomyopati. 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. 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 transtyretinamyloidosis med kardiomyopati.

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

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

- Dominerande hjärtsviktssymtom och i övrigt klinisk misstanke om hjärtamyloidosis
- Ekokardiografi med septumtjocklek >12 mm
- Positiv DPD-skintigrafi av hjärtat visar grad 1-3, alternativt komplettera med hjärtbiopsi vid DPD-skintigrafi grad 0-1
- Uteslut amyloidosis på basen av lätta kedjor (AL-amyloidosis)
- 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 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 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

Tidpunkt för revision av yttrandet

Den här rekommendationen från 2023-10-23 ersätter den tidigare rekommendationen för Vyndaqel från 2021-09-03. Kriterierna för in- och utsättning har reviderats.

Närvarande vid beslut

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.