

# Medicinrådets anbefaling vedrørende tafamidis til behandling af arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1

## MEDICINRÅDET ANBEFALER

tafamidis til patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1, fordi behandlingen kan forsinke sygdomsudviklingen for nogle patienter og samtidig har få bivirkninger.

Tafamidis er forbundet med høje omkostninger. Medicinrådet vurderer dog, at tafamidis vil kunne bruges til behandling af patienter i sygdomsstadie 1 frem til sygdomsforværring i stedet for andre lægemidler, som også har høje omkostninger, men som har flere bivirkninger end tafamidis. Derfor anbefaler Medicinrådet tafamidis som mulig standardbehandling til patientgruppen.

Medicinrådet anbefaler, at patienterne følges tæt, og at behandlingen med tafamidis stoppes ved første tegn på sygdomsforværring. Kriterier for opstart og seponering (behandlingsophør) kan læses på Medicinrådets hjemmeside sammen med anbefalingen.

---

## VÆRDI FOR PATIENTERNE

Tafamidis til patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 kan ikke kategoriseres i henhold til Medicinrådets metoder. Det betyder, at data ikke er gode nok til, at Rådet kan udtale sig sikkert om lægemidlet. Baseret på fagudvalgets kliniske vurdering af lægemidlet, vurderer Medicinrådet dog, at tafamidis er et bedre behandlingsalternativ end ingen behandling. Medicinrådet har lagt vægt på, at tafamidis kan forsinke sygdomsprogression for nogle patienter og samtidig har en mild og håndterbar bivirkningsprofil. Samtidig er det peroral behandling, hvilket er forbundet med meget få gener for patienten.

Kvaliteten af de data, der er for sammenligningen af tafamidis med ingen behandling, er meget lav. Det betyder, at nye studier med høj sandsynlighed vil kunne ændre konklusionen.

---

## OMKOSTNINGER FOR SUNDHEDSVÆSENET

Medicinrådet har vurderet, at det vil koste ca. 4,3 mio. kr. mere at behandle én patient med tafamidis sammenlignet med ingen behandling. Medicinrådet har også vurderet, at regionerne vil skulle bruge 10,2 mio. kr. mere i det femte år efter en anbefaling.

---



Beløbene er baseret på de officielle listepreiser for lægemidlerne. I ovenstående beregninger indgår ikke andre lægemidler inden for sygdomsområdet. Rådet har i sin beslutning taget højde for priser på de andre lægemidler inden for sygdomsområdet, som Amgros har forhandlet med lægemiddelfirmaerne. I sin beslutning har Rådet desuden taget højde for fagudvalgets vurdering af en behandlingsrækkefølge, som betyder, at behandling med tafamidis vil kunne træde i stedet for behandling med andre lægemidler til behandling af den tidlige del af sygdommen. Med den vurdering vil de samlede omkostninger for sundhedsvæsenet være lavere. De forhandlede priser er fortlrolige efter firmaernes ønske, og derfor må Medicinrådet ikke offentliggøre hverken de reelle priser eller omkostninger.

## ALVORLIGHED

Sygdommens alvorlighed er altid medtaget i Medicinrådets vurdering af et lægemiddels værdi. Det sker i forbindelse med valget af effektmål og den vægt, Medicinrådet tillægger effektestimaterne, hvilket er forskelligt alt efter typen af effektmål. Derudover har Medicinrådet formuleret et alvorlighedsprincip, som Medicinrådet kan inddrage i helt særlige situationer. Dette har ikke været nødvendigt i denne sag.

## ANBEFALINGEN BETYDER

Anbefalingen betyder, at Medicinrådet råder regionerne til at bruge tafamidis til patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1, men ikke nødvendigvis som førstevalg til alle patienter. Medicinrådet anbefaler, at patienterne følges tæt, og at behandling med tafamidis stoppes ved første tegn på sygdomsforværring.

Fagudvalgets sammensætning kan ses på Medicinrådets hjemmeside.

### Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	19. marts 2021	Godkendt af Medicinrådet.

#### Medicinrådet

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

+45 70 10 36 00  
medicinraadet@medicinraadet.dk  
www.medicinraadet.dk

#### Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefaling er et klinisk og økonomisk baseret råd til regionerne til brug for deres beslutning om at anvende et givet lægemiddel. Anbefalingen bygger på en vurdering af, om omkostningerne vedrørende brug af lægemidlet er rimelige, når man sammenligner dem med lægemidlets værdi for patienterne. I vurderingen af værdien for patienterne indgår både lægemidlets gavnlige effekter og bivirkninger. I nogle tilfælde spiller sygdommens alvorlighed en særlig rolle i afvejningen af forholdet mellem omkostninger og værdi.

© Medicinrådet, 2021. Publikationen kan frit refereres med tydelig kildeangivelse.

Sprog: dansk. Format: pdf. Udgivet af Medicinrådet, den 19. marts 2021