

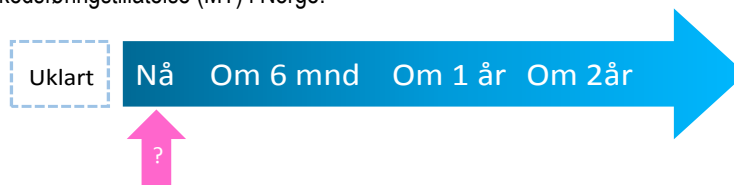


Tafamidis (Vyndaqel) til behandling av transtyretin amyloidose polyneuropati

Type metode: Legemiddel
Område: Nevrologi
Virkestoffnavn: Tafamidis
Handelsnavn: Vyndaqel (1)
ATC-kode: N07X X08 (1)
MT søker/innehaver: Pfizer Ltd (1)
Finansieringsansvar: Foreslås overført til spesialisthelsetjenesten i 2019

Status for bruk og godkjenning

Tidsperspektiv markedsføringstillatelse (MT) i Norge:



Metoden har MT i Norge og i EU, men er ikke metodevurdert.

Beskrivelse av den nye metoden

Tafamidis er et lite molekyl som stabiliserer og hindrer misfolding av proteinet transtyretin (TTR), et protein som inngår i amyloide fibriller. Metoden hemmer dermed dannelsen av TTR amyloide fibriller og vil kunne forsinke sykdomsforløpet hos pasienter med TTR-relaterte sykdommer. Tafamidis er indisert for behandling av transtyretin amyloidose hos voksne pasienter med stadium 1 symptomatisk polyneuropati for å forsinke perifer nevrologisk forverring.

Tafamidis administreres som orale kapsler (1).

Sykdomsbeskrivelse og pasientgrunnlag

Amyloidose er en gruppe sykdommer som kjennetegnes ved avleiring av polypeptidmateriale, kalt amyloid, i organer og vev. Dannelsen og avleiringen av amyloid forårsaker sviktende organfunksjon ved å fortrenge normale vevskomponenter og vevsfunksjoner. Avleiringen kan være reversibel, men gir ofte irreversibel organskade.

Amyloidosene klassifiseres ut fra det proteinet som danner amyloide fibriller. Transtyretin amyloidose skyldes amyloid dannet fra transtyretin (TTR), et protein som binder retinolbindende protein og tyroksin. TTR amyloidose kan forekomme både i ervervet og arvelig form. Arvelig TTR amyloidose kalles ofte familiær amyloid polyneuropati (FAP), affiserer særlig perifere nerver og manifesteres typisk ved progressiv, alvorlig nevropati. Dessuten affiseres autonome nerver med mage/tarm- og blæredysfunksjon, blodtrykksregulering og impotens. Polyneuropati grunnet arvelig TTR amyloidose forårsakes av akkumulering av misfoldede muterte TTR proteiner i det perifere nervesystemet (2).

Prevalensen av arvelig TTR amyloidose med polyneuropati i Norge er ikke kjent.

Dagens behandling

Arvelig TTR amyloidose er en dødelig sykdom og for den vanligste mutasjonen i TTR (V30M) er gjennomsnittlig overlevelse uten levertransplantasjon 9 til 13 år fra symptomdebut. Førstelinjebehandling for arvelig TTR amyloidose er levertransplantasjon. Tafamidis er det eneste legemidlet godkjent til behandling av polyneuropatier ved arvelig TTR amyloidose (1, 2).

Status for dokumentasjon

Metodevurderinger eller systematiske oversikter - norske

Vi har identifisert en norsk pågående metodevurdering om arvelig TTR amyloidose, men med et annet virkestoff (se Nye metoder ID2018_033).

Metodevurdering eller systematiske oversikter - internasjonale

Det foreligger minst en relevant internasjonal metodevurdering eller systematisk oversikt (3).

Metodevarsler

Det foreligger minst ett internasjonalt metodevarsel (4)

Klinisk forskning

De antatt viktigste studiene for vurdering av metoden er vist i tabellen under:

Populasjon (N =antall deltagere)	Intervensjon	Kontrollgruppe	Utfallsmål	Studienavn og nummer* (fase)	Tidsperspektiv resultater
N=10, voksne pasienter (20-75 år) med TTR amyloid polyneuropati	Tafamidisemeglumin, 20 mg en gang daglig	-	Antall deltagere med TTR stabilisering ved uke 8	NCT01435655 , (fase III)	Avsluttet Resultater foreligger
N=93, voksne pasienter (18-75 år) med TTR amyloidose	Tafamidisemeglumin, 20 mg en gang daglig	-	Langtids (10 år) sikkerhet- og effektdata	NCT00925002 , (fase III)	2021
N=86, voksne pasienter (18-75 år) med TTR amyloidose polyneuropati	Tafamidisemeglumin, 20 mg en gang daglig	Tafamidisemeglumin, 20 mg en gang daglig	Respons etter 6 og 12 mnd, målt ved bedring eller stabilisering i «Neurologic Impairment Score – Lower Limb (NIS-LL)» og ved endring i Norfolk Quality of Life-Diabetic Neuropathy (QOL-DN) Total Quality of Life (TQOL)»***	NCT00791492 , (fase II/III)	Avsluttet Resultater foreligger
N=128, voksne pasienter (18-75 år) med familiær amyloid polyneuropati (FAP)	Tafamidisemeglumin, 20 mg en gang daglig	Placebo	Andel deltagere med respons etter 18 mnd målt ved bedring eller stabilisering i NIS-LL og ved endring i QOL-DN TQOL	NCT00409175 , (fase II/III)	Avsluttet Resultater foreligger

*ClinicalTrials.gov Identifier www.clinicaltrials.gov

** legens vurdering ved nevrologisk undersøkelse av underekstremitetene

*** pasientens vurdering, total livskvalitetsscore

Relevante vurderingselementer for en metodevurdering

- Klinisk effekt relativt til komparator
- Sikkerhet relativt til komparator
- Kostnader/ressursbruk
- Kostnadseffektivitet
- Organisatoriske konsekvenser
- Etikk
- Juridiske konsekvenser
- Annet

Hva slags metodevurdering kan være aktuell

- Hurtig metodevurdering
- Fullstendig metodevurdering

Hovedkilder til informasjon

1. Vyndaqel (oppdatert 16.11.2017). Felleskatalogen. Hentet 06.06.2018 fra: <https://www.felleskatalogen.no/medisin/vyndaqel-pfizer-638088>
2. Veileder for diagnostikk og behandling av amyloidose (oppdatert august 2016). Den norske Legeforeningen. Hentet 06.06.2018 fra: <http://www.helsebiblioteket.no/retningslinjer/nyrer-og-urinveier/amyloidose-veileder-for-diagnostikk-og-behandling-av-amyloidose>
3. Tafamidis Meglumine – Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V (2012). (IQWiG-Berichte – Nr. 122). Köln: Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Hentet 07.05.2018 fra https://www.g-ba.de/downloads/92-975-73/2011-12-15-D-025_Tafamidis%20Meglumine_IQWiG-Nutzenbewertung.pdf
4. Tafamidis (FX 1006A) for transthyretin amyloid polyneuropathy (2010). Birmingham: National Horizon Scanning Centre. Hentet 07.05.2018 fra <http://www.io.nihr.ac.uk/report/tafamidis-fx-1006a-for-transthyretin-amyloid-polyneuropathy/>

Dato for første publisering	21.06.2018
Siste oppdatering	21.06.2018