Santa Fe PROVINCIA | Ministerio de Salud

INFORME TÉCNICO DE EVALUACIÓN DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS:

Tafamidis en cardiopatía amiloide

Autores:

Equipo de Asesoría Técnica en Evaluación de Tecnologías Sanitarias
Dirección Provincial de Calidad y Evaluación Sanitaria
Ministerio de Salud Pública de la Provincia de Santa Fe

Equipo de Asesoría Técnica:

Carlos González Malla – Lucas González – Santiago Torales

Director:

José Arturo Berardo

El presente informe es producto del trabajo interministerial de la Dirección Provincial de Calidad y Evaluación Sanitaria, dependiente de la Subsecretaría de Medicamentos y Tecnología Médica del Ministerio de Salud Pública y la Secretaría de Economía de la Salud dependiente del Ministerio de Economía de la Provincia de Santa Fe. Este informe surge de la Asesoría Técnica en Evaluación de Tecnologías Sanitaria. La misma tiene como objeto generar informes que relevan las evidencias a nivel nacional, regional e internacional respecto a la incorporación, forma de uso, modalidades de financiamiento y políticas de cobertura de las tecnologías sanitarias, para servir de insumos en la toma de decisión de los actores sanitarios en el ámbito de la provincia de Santa Fe. Para su elaboración se consideran criterios de eficacia, seguridad, eficiencia y equidad, evaluados bajo dimensiones éticas, médicas, económicas y sociales.

Conflictos de interés: No se presentaron.

Fecha de realización: Enero 2025
Fecha de publicación: Enero 2025

Contacto: calidadyevaluacionsanitaria@santafe.gov.ar

RESUMEN EJECUTIVO

La cardiomiopatía amiloide por transtiretina (ATTR-CM), una enfermedad poco frecuente que afecta el corazón debido a la acumulación de fibrillas de amiloide. Se presenta en dos formas clínicas: hereditaria (hATTR-CM) por alteraciones genéticas, ó salvaje (wtATTR-CM) relacionada con el envejecimiento. Suele estar subdiagnosticada y su prevalencia puede ser del 6 al 19% en pacientes con insuficiencia cardíaca con fracción de eyección preservada. Tafamidis es un estabilizador selectivo de la transtiretina que ralentizaría la progresión de la enfermedad, con el potencial efecto clínico de reducir la mortalidad y hospitalizaciones cardiovasculares.

Evidencia de adecuada calidad mostró que tafamidis reduce la mortalidad por todas las causas y las hospitalizaciones por eventos cardiovasculares en pacientes con ATTR-CM. Los beneficios fueron más marcados en pacientes con síntomas leves a moderados (clases I y II de NYHA) al inicio del tratamiento, y existe incertidumbre sobre el beneficio neto en pacientes con enfermedad más avanzada (NYHA clase III). Las evaluaciones de costo-efectividad indican que tafamidis no es costo-efectivo a los precios actualmente disponibles de comercialización a nivel mundial. Se necesitaría una reducción de precio del 85-95% para que cumpla con los umbrales aceptados de costo-efectividad de acuerdo a evaluaciones de agencias de referencia. Las guías internacionales recomiendan tafamidis en pacientes con ATTR-CM. Algunas no especifican la clase funcional y otras especifican que se debería cubrir o utilizar solamente en pacientes con clase funcional I o II de NYHA, dado su beneficio en sobrevida y calidad de vida. Sin embargo, su alto costo limita su acceso en muchos países. En América Latina, no se han identificado financiadores que lo cubran.

Más allá de la evidencia clínica de un beneficio frente al cuidado estándar, no se recomienda la cobertura de esta opción terapéutica con el esquema de costos disponibles actualmente en el sistema de salud, siendo esta la causa explícita de exclusión de cobertura de otros sistemas de salud dado su impacto presupuestario.