



## **Advies van de Adviescommissie Pakket (ACP) aan de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over de beoordeling van eculizumab bij de behandeling van paroxismale nachtelijke hemoglobinurie (PNH)**

De Adviescommissie Pakket (ACP) adviseert de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over voorgenomen pakketadviezen. Zij toetst deze adviezen aan de pakketcriteria en kijkt of de uitkomsten daarvan maatschappelijk wenselijk zijn. Daarbij kijkt zij zowel naar de belangen van de patiënten die in aanmerking komen voor vergoeding van een bepaalde interventie, als naar de belangen van patiënten met andere aandoeningen (die ook graag willen dat de behandeling van hun aandoening wordt vergoed) en van premiebetalers. Zij doet dit vanuit het principe dat de basisverzekering maximale gezondheidswinst dient op te leveren voor de gehele bevolking.

De commissie heeft in haar vergadering van 12 mei 2017 gesproken over de vraag of het geneesmiddel eculizumab bij de indicatie PNH vergoed moet blijven uit de basisverzekering.

De commissie heeft eerder over de vergoeding van eculizumab gesproken in haar vergadering van 18 maart 2016. De commissie heeft toen geen conclusie getrokken omdat de commissie, gezien de slechte methodologische kwaliteit van de kosteneffectiviteitsanalyse en de zeer hoge prijsstelling, van mening was dat het niet mogelijk was om aan te geven met welk percentage de prijs zou moeten dalen om binnen acceptabele marges te komen. Daarom kon de commissie niet anders dan tot een negatief advies komen. Er ligt nu een nieuwe kosteneffectiviteitsanalyse voor, die volgens het Zorginstituut nog steeds niet van voldoende kwaliteit is, maar die wel voldoende basis biedt voor verdere besluitvorming. Het Zorginstituut heeft op basis van het model van de fabrikant, ook zelf de kosteneffectiviteit van eculizumab berekend. Het zorginstituut komt op een aanmerkelijk ongunstigere kosteneffectiviteit uit (€ 700.000 á 850.000 per QALY wat ongeveer 10 keer de referentiewaarde van €80.000 per QALY is) en sluit ook niet uit dat de ziektelast mogelijk lager ligt.

De commissie is overtuigd van de effectiviteit van het middel en het feit dat het veel betekent in het leven van patiënten. Om die reden zou de commissie graag willen dat het middel beschikbaar blijft voor patiënten. De zeer ongunstige kosteneffectiviteit vormt echter een groot struikelblok voor een positief advies. Ondanks het feit dat er onzekerheid bestaat of PNH een aandoening is uit de hoogste ziektelastcategorie, is de commissie uitgegaan van de hoogste referentiewaarde van 80.000 euro per QALY.

De commissie heeft vervolgens gediscussieerd of er argumenten zijn om hiervan af te wijken. Hierbij heeft de commissie geen onderscheid gemaakt tussen transfusie-afhankelijke patiënten en niet-transfusie-afhankelijke patiënten, omdat de commissie van mening is dat het niet wenselijk is hier een onderscheid tussen te maken. Tijdens de discussie zijn de volgende argumenten ingebracht om naar boven af te wijken:

- Voor deze zeldzame aandoening is geen andere behandeling beschikbaar.
- De toegevoegde waarde voor de patiënt is evident en ook maatschappelijk van belang gezien het feit dat patiënten beter kunnen participeren in de

samenleving, onder andere via betaald werk. Echter, deze toegevoegde waarde wordt al grotendeels meegewogen in de mate van kosteneffectiviteit.

Er zijn echter ook argumenten genoemd om naar beneden af te wijken:

- Ondanks de kleine groep patiënten is er sprake van een relatief groot kostenbeslag en dus van verdringing van andere zorg.
- Ondanks dat we uitgaan van een aandoening uit de hoogste ziektelastcategorie, is meegewogen dat PNH minder ernstig is dan andere levensbedreigende aandoeningen.
- Er bestaat onzekerheid over de mate van effectiviteit op langere termijn omdat deze gegevens niet tot nauwelijks openbaar beschikbaar zijn. De fabrikant heeft een internationaal register in beheer waarin gegevens over onder andere de effectiviteit op de lange termijn worden verzameld. De resultaten hiervan zijn niet openbaar.

Al deze argumenten afwegende is de commissie van mening dat de kosteneffectiviteit van eculizumab, waarbij de kosteneffectiviteit volgens de eigen analyse van het Zorginstituut mogelijk zelfs 10 keer de referentiewaarde van 80.000 per QALY overschrijdt, niet acceptabel is.

Tot slot blijft de commissie het zeer onbevredigend vinden dat de prijsopbouw van het middel niet transparant is, en dat de fabrikant niet openbaar maakt wat de lange termijn resultaten zijn op basis van de registergegevens. Het feit dat het hier gaat om collectieve uitgaven waarvoor een beroep op solidariteit wordt gedaan vereist volgens de commissie een optimale transparantie.

Op basis van deze overwegingen adviseert de commissie dat eculizumab bij PNH niet zou moeten worden vergoed tenzij de kosteneffectiviteit door een aanzienlijke prijsreductie binnen acceptabele marges komt (uitgaande van de hoogste ziektelast is dit 80.000 euro per QALY). Het Zorginstituut heeft berekend dat dit het geval is bij een prijsreductie in de orde van grootte van 90%.