

## **Advies van de ACP aan de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over de beoordeling van nusinersen (Spinraza®) d.d. 26 januari 2018**

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 willen dat de behandeling van hun aandoening vergoed kan (blijven) worden) 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 26 januari 2018 gesproken over het uit te brengen pakketadvies over nusinersen. Dit is een geneesmiddel dat wordt ingezet bij de behandeling van 5q spinale musculaire atrofie (SMA). Dit is een zeldzame en ernstige spierziekte die zich vaak al op heel jonge leeftijd openbaart. Diverse patiënten, een ouder en een behandelaar van het expertcentrum maakten van de inspraakmogelijkheid gebruik om de commissie te laten weten wat de gevolgen zijn van deze ziekte voor patiënten en hun naasten en welke betekenis dit geneesmiddel voor hen heeft. De commissie heeft hiervoor veel respect.

De therapeutische meerwaarde en de kosteneffectiviteit van de behandeling zijn door de Wetenschappelijke Adviesraad (WAR) van het Zorginstituut berekend voor enkele te onderscheiden typen SMA-patiënten.

De commissie constateert dat de berekende kosteneffectiviteit door de extreem hoge prijs van het middel zeer ongunstig is. Bij het ene type SMA is dat nog ongunstiger dan bij het andere type; de kosten per gewonnen levensjaar, gecorrigeerd voor kwaliteit van leven (QALY), liggen 7,5 tot 21,2 keer boven de maximale referentiewaarde van 80.000 euro per QALY. Deze maximale referentiewaarde hanteert het Zorginstituut alleen voor aandoeningen met de allerhoogste ziektelast (SMA behoort daartoe).

De commissie heeft vervolgens onderzocht welke argumenten er zijn om de overschrijding van deze referentiewaarde wel of niet te accepteren.

Argumenten om hogere kosten dan de referentiewaarde te accepteren kunnen zijn:

- Het gaat om een in potentie curatieve en/of een stabiliserende behandeling en de commissie kent een zwaarder gewicht toe aan behandelingen die genezen of tot grote winst in de kwaliteit van leven leiden dan aan behandelingen waar dit niet voor geldt, zoals

- palliatieve behandelingen;
- Voor deze patiënten bestaat op dit moment geen andere behandeling dan best ondersteunende zorg;

Argumenten om geen hogere kosten (of zelfs lagere kosten) te accepteren dan de referentiewaarde kunnen zijn:

- Er is onzekerheid over de effectiviteit op de langere termijn en over de vraag of het middel ook effectief is voor patiënten waarvoor nu (nog) geen onderzoek heeft plaatsgevonden;
- Er is onzekerheid over de vraag of de verwachte extra levensjaren ook jaren zijn met voldoende kwaliteit van leven.

Alles afwegende ziet de commissie geen doorslaggevende reden om hogere kosten dan de referentiewaarde te accepteren, zeker niet in de orde van grootte als hier speelt (7,5 tot 21,2 keer de referentiewaarde). De commissie ziet echter ook geen doorslaggevende argumenten om de referentiewaarde te verlagen.

Over de extreem hoge prijs merkt de commissie het volgende op.

- De fabrikant kan voor de commissie niet aangeven waar de extreem hoge prijs op gebaseerd is. De fabrikant stelt dat de prijs de waarde die het voor de patiënten heeft, rechtvaardigt, maar kan dit niet onderbouwen.
- De fabrikant geeft ook geen inzicht in de prijs die voor dit middel in andere landen wordt gevraagd.

De commissie is van mening dat zij inzicht in de prijsstelling van een geneesmiddel nodig heeft om een verantwoord advies over de besteding van collectieve middelen te kunnen geven. Hierover merkt zij op:

De farmaceutische industrie werkt onder een beschermende paraplu van patenten. Die zijn bedoeld als juridische bescherming tegen ongebreidelde concurrentie en dienen een publiek belang, namelijk: de ontwikkeling van innovatieve geneesmiddelen. Juist omdat het systeem van patenten een publiek belang dient is de commissie van mening dat dit wederkerigheid vraagt van een farmaceutisch bedrijf waaraan deze bescherming wordt geboden. Dat wil zeggen dat van farmaceutische bedrijven wordt gevraagd dat zij maatschappelijk verantwoord ondernemen, transparant zijn over investering en prijsstelling en prijzen hanteren die in verhouding staan tot de effectiviteit van hun producten.

Alles overwegende adviseert de commissie nusinersen niet op te nemen in de basisverzekering, vooral vanwege het feit dat de therapeutische waarde de extreem hoge prijs niet rechtvaardigt.

De commissie pleit er desondanks wel voor dat het middel snel

beschikbaar komt voor de patiëntengroepen waarvoor het middel bewezen effectief is. Dit gezien het belang van het geneesmiddel voor deze patiënten en hun naasten. Dit moet dan wel gebeuren tegen een prijs die in verhouding staat tot de gezondheidswinst, want anders gaat er voor andere patiënten onredelijk veel gezondheid verloren (de verdringing zal anders aanzienlijk zijn). Dat betekent dat de commissie adviseert met de fabrikant te onderhandelen over een zeer significante prijsverlaging, met het oog op een betaalbare, efficiënte en rechtvaardige gezondheidszorg. Om in de buurt te komen van de referentiewaarde heeft de WAR berekend dat een prijsverlaging van minimaal 85% nodig is.

Indien prijsonderhandeling leidt tot opname in de basisverzekering adviseert de commissie om met het expertisecentrum een weesgeneesmiddel-arrangement af te sluiten. Dit omvat nadere afspraken over capaciteit en gepast gebruik, waaronder start- en stop criteria en zo mogelijk een Europees register waarin de komende jaren het effect van het middel op de kwaliteit van leven kan worden gevolgd. Daarnaast adviseert de commissie om afspraken te maken over het bevorderen van onderzoek naar de werking van het middel bij oudere leeftijdsgroepen, zodat ook voor hen op termijn een uitspraak kan worden gedaan over vergoeding.

Gezien de onzekerheid over de effectiviteit van het middel op de langere termijn adviseert de commissie tevens te onderzoeken of een pay-for performance regeling met de fabrikant getroffen kan worden, zodat de prijs van het geneesmiddel afhankelijk wordt gemaakt van het daadwerkelijk gerealiseerde effect voor de patiënten. De commissie realiseert zich echter dat dit nadere uitwerking behoeft die niet tot vertraging in de besluitvorming mag leiden.