



**ACP advies aan de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over axicabtagene ciloleucel (Yescarta®) voor volwassenen met recidiverend of refractair DLBCL en PMBCL na twee of meer lijnen systemische therapie.**

De Adviescommissie Pakket (ACP) adviseert de Raad van Bestuur (RvB) 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 1 februari 2019 gesproken over de vraag of het 'sluismiddel' axicabtagene ciloleucel bij hierboven genoemde indicatie opgenomen dient te worden in de basisverzekering. Tijdens de vergadering is gebruik gemaakt van de mogelijkheid tot inspreken door de patiëntenorganisatie, de beroepsgroep en de fabrikant van het product. Alle insprekers benadrukten het belang van snelle beschikbaarheid voor de patiënt vanwege de gevonden effectiviteit van het middel bij deze ernstige vorm van kanker.

Axicabtagene ciloleucel is een gepersonaliseerde immuuntherapie die erop gericht is het eigen immuunsysteem van patiënten met hematologische tumoren te stimuleren om de kankercellen te herkennen en te elimineren. Het betreft een, in principe eenmalige, genterapeutische behandeling (aanpassing van het DNA van lichaamseigen T-cellen). De therapie is bedoeld voor een subgroep van kankerpatiënten waarbij sprake is van een hoge ziektelast (0,83 op een schaal van 0-1), mede doordat er voor deze subgroep van patiënten geen effectieve behandeling meer beschikbaar is en daardoor na één jaar nog maar 17% in leven is.

De commissie is overtuigd van de effectiviteit van deze immuuntherapie, die mogelijk zelfs voor een deel van de patiënten curatief is. De overlevingswinst van ruim 11 maanden in vergelijking met de standaardbehandeling is aanzienlijk, zeker gezien de agressiviteit van deze vorm van kanker. Na ruim twee jaar blijkt ongeveer 50% van de patiënten nog in leven te zijn. Om die reden benadrukt de ACP de urgentie van het snel beschikbaar komen van deze therapie voor de Nederlandse patiënt, ook al gedurende de periode van onderhandeling (compassionate use). Het is positief dat de fabrikant van het product heeft gemeld in de kosten daarvan te zullen voorzien.

Er bestaat echter nog onzekerheid over de precieze overleving op de langere termijn. Dit heeft er mede toe geleid dat het Zorginstituut geen betrouwbare inschatting kan maken van de kosteneffectiviteit. Maar de kans is echter aanzienlijk dat de werkelijke kosteneffectiviteit de referentiewaarde van €80.000 per QALY, die geldt voor een dergelijke ernstige ziekte, zal overschrijden, aldus het Zorginstituut. De commissie is dan ook van mening dat axicabtagene ciloleucel (Yescarta®) niet opgenomen zou moeten worden in de basisverzekering, tenzij een lagere prijs overeengekomen wordt. Vanwege bovengenoemde onzekerheden kan het Zorginstituut niet aangeven welke procentuele prijsverlaging nodig is om te kunnen spreken van een kosteneffectieve behandeling. Vanwege die onzekerheden en het feit dat het een éénmalige behandeling betreft acht de commissie een 'pay for performance' afspraak aangewezen. Gezien de inbedding in een goede register-infrastructuur is dit goed uitvoerbaar. De commissie geeft in overweging om de hoogte van de vergoeding te koppelen aan de mate van zekerheid over het effect op de langere termijn. Daarnaast beveelt de commissie aan om bij afspraken over de duur van een prijsarrangement rekening te houden met de mogelijke komst van een concurrerend middel, zodat zorgverzekeraars hiermee rekening kunnen houden bij hun inkoopbeleid. Tot slot benadrukt de commissie wederom het belang van het verzamelen van lange termijn gegevens en het maken van gepast gebruik afspraken. De beroepsgroep heeft hiervoor reeds een voorstel gedaan.