

2019061762

## **ACP advies aan de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over voretigene neparvovec (Luxturna®) bij de behandeling van visusverlies door erfelijke retinale dystrofie**

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.

Om hier een uitspraak over te kunnen doen, hanteert de commissie zogenaamde referentiewaarden voor de kosteneffectiviteit. Deze referentiewaarden moeten worden opgevat als maximale bedragen die we als samenleving per gewonnen levensjaar willen investeren in een behandeling. Gaan we daarboven zitten, dan is er sprake van verdringing. Dat betekent dat voor hetzelfde bedrag meer gezondheidswinst kan worden verkregen door het aan andere behandelingen uit te geven. Er moeten dus hele goede redenen zijn om een kosteneffectiviteit gelijk aan de referentiewaarde of zelfs meer dan de referentiewaarde te accepteren.

De commissie heeft in haar vergadering van 6 december 2019 gesproken over de vraag of voretigene neparvovec (Luxturna®) bij de hierboven genoemde indicatie opgenomen dient te worden in de basisverzekering. Tijdens de vergadering is door de patiëntenvereniging gebruik gemaakt van de mogelijkheid tot inspreken, waarbij een patiënt heeft toegelicht welke impact deze progressieve ziekte, die uiteindelijk leidt tot blindheid, heeft op haar dagelijkse functioneren. Ook gaf zij aan dat zij en haar naasten in continue angst en onzekerheid leven over wat ze morgen dan wel volgend jaar nog wel en niet meer kan. Naast deze patiënt hebben ook een behandelend arts en de fabrikant ingesproken.

Het vertrekpunt van de discussie was het feit dat deze behandeling, volgens het Zorginstituut na advies van de WAR, voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk. Echter, kijkend naar de onderbouwing van de effectiviteit en het feit dat het Zorginstituut na advies van de WAR de kosteneffectiviteitsbepaling door de fabrikant van onvoldoende methodologische kwaliteit vond, concludeert de commissie dat er sprake is van grote onzekerheden. Deze onvoldoende beoordeling was mede het gevolg van het feit dat de fabrikant niet op de juiste wijze informatie heeft verzameld over kwaliteit van leven, een belangrijk aspect van de kosteneffectiviteitsbepaling, waardoor de onzekerheid over de kosteneffectiviteit groter is dan gewenst.

De commissie spreekt allereerst haar onvrede uit over het feit dat er geen kosteneffectiviteitsmodel van voldoende kwaliteit beschikbaar is. Omdat de WAR aangeeft dat een herbeoordeling op basis van de huidig beschikbare data niet tot nieuwe inzichten zal leiden, heeft de commissie –maar met grote onzekerheden- met het betreffende model als uitgangspunt de discussie over toelating tot het pakket gevoerd.

Bij de inhoudelijke discussie kwam als grote onzekerheid naar voren dat het nog onduidelijk is hoe lang het gevonden effect aanhoudt en of verdere achteruitgang wordt tegengegaan. De commissie kan zich voorstellen dat het voor een patiënt van groot belang is dat de progressie tot stilstand komt, want dat betekent dat hij of zij langer kan blijven werken, of bijvoorbeeld een opleiding kan afmaken en meer zelfredzaam blijft.

Ook is gesproken over de hoogte van de ziektelast. Het Zorginstituut concludeert, dat de bepaling hiervan lastig is omdat, zoals gezegd, het model van de fabrikant van onvoldoende kwaliteit is. Het Zorginstituut is uitgegaan van een ziektelast tussen de 0,41 en 0,70. Er is volgens de patiëntenvereniging bij de bepaling van de ziektelast onvoldoende rekening gehouden met de psychologische kant van de ziekte.

Een volgend discussiepunt was de onzekerheid over al dan niet herhaalde toepassing van de behandeling. Hierover zijn geen onderzoeksgegevens beschikbaar. De beroepsgroep geeft aan dat zij niet verwacht dat herhaalde toepassing plaats gaat vinden, omdat waarschijnlijk de staat van het oog dermate slecht is, dat dit niet mogelijk zal blijken te zijn.

Concluderend: de behandeling voldoet aan de stand van wetenschap en praktijk, maar kijkend naar de grote onzekerheden over de effecten op lange termijn en over de kosteneffectiviteit is de commissie van mening dat dit flinke consequenties zou moeten hebben voor de prijs alvorens de behandeling tot het pakket toegelaten kan worden. De commissie waardeert dat de fabrikant heeft aangegeven open te staan voor een *pay for performance* afspraak en adviseert de minister via het Zorginstituut van dit aanbod gebruik te maken. Bij een dergelijke prijsafspraken zouden ook afspraken gemaakt moeten worden over stapsgewijze vergoeding gekoppeld aan mate van effectiviteit en beschikbare bewijslast.

Ook zullen de afspraken over gepast gebruik, een indicatiecommissie en evaluatie door middel van een internationaal register moeten worden vastgelegd in een weesgeneesmiddelen-arrangement. De eerste stappen hiervoor lijken al te zijn gezet. De commissie herhaalt de wens dat expertisecentra voldoende middelen ontvangen om afspraken uit het weesgeneesmiddelen-arrangementen te kunnen nakomen. Een ander advies dat de commissie vaker geeft, maar ook hier vanwege de zeldzaamheid van de aandoening extra van belang is, is dat data uit het register toegankelijk moeten komen voor het expertisecentrum, om zo het gepast gebruik te verbeteren. Omdat het hier om een zeldzame aandoening gaat is het onvoldoende indien alleen de data van de Nederlandse patiënten toegankelijk worden, internationale samenwerking is daarom noodzakelijk. Mede vanwege de zeldzaamheid van de aandoening acht de commissie, tot slot, centralisatie in één centrum aangewezen.