

**2020053765**

**ACP-advies aan de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over simultane beoordeling van de (sluis)geneesmiddelen lenalidomide, daratumumab en pomalidomide in vijf verschillende behandelcombinaties<sup>1</sup> bij multipel myeloom (MM)**

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 normaliter zogenaamde referentiewaarden voor kosteneffectiviteit. Deze referentiewaarden moeten worden opgevat als, in beginsel maximale, bedragen die we als samenleving per gewonnen levensjaar willen investeren in een behandeling. Gaan we daarboven zitten, dan is er sprake van verdringing van andere zorg. 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 de referentiewaarde, of zelfs meer dan de referentiewaarde te accepteren.

De commissie heeft in haar vergadering van 11 december 2020 (i.v.m. coronacrisis een videoconferentie) gesproken over de vraag of deze (sluis) geneesmiddelen bij de genoemde behandelcombinaties bij patiënten met MM onder bepaalde voorwaarden allemaal tegelijk opgenomen kunnen worden in de basisverzekering. Daarmee is dit dossier wezenlijk anders dan de dossiers die de commissie normaal gesproken bespreekt. Dit heeft te maken met het dynamische en complexe landschap van behandelingen voor de indicatie multipel myeloom, waarbij oudere en nieuwe middelen in combinatie, of in een nog nader te bepalen volgorde gegeven worden. Hierdoor is het minder zinvol te kijken naar rapporten over effectiviteit en kosteneffectiviteit van individuele middelen of combinaties, die de commissie normaal als uitgangspunt neemt. Het beoordelen van de effectiviteit en kosteneffectiviteit van de verschillende behandelregimes in samenhang met elkaar is in lijn met het eerdere verzoek van de commissie om meer indicatiebrede beoordelingen uit te voeren.

Het Zorginstituut stelt voor om deze combinatietherapieën in de vorm van een pilot tijdelijk, onder voorwaarden (zoals het onderzoeken van gepast gebruik) na scherpe prijsonderhandeling op te nemen in het basispakket om vervolgens te werken aan een definitieve aanpak voor beoordeling van deze middelen. Het Zorginstituut stelt ook voor een taakgroep in te stellen om het Zorginstituut hierbij te adviseren. Gepast gebruik onderzoek zal daarbij een belangrijke focus krijgen.

---

<sup>1</sup> De vijf behandelcombinaties zijn (waarbij de vetgedrukte middelen in de sluis zijn geplaatst):

Patiënten die *niet* in aanmerking komen voor autologe stamceltransplantatie:

- Eerstelijns behandeling
  - bortezomib, **lenalidomide** en dexamethason
  - **daratumumab**, bortezomib, melfalan en prednison
  - **daratumumab**, lenalidomide en dexamethason

- Tweedelijns behandeling

- **pomalidomide** voor patiënten die eerder minimaal een ander behandelregime hebben gehad met lenalidomide

Patiënten die in aanmerking komen voor autologe stamceltransplantatie:

- **daratumumab**, bortezomib, thalidomide en dexamethason

De patiëntenorganisaties NFK en Hematon, de beroepsgroep (werkgroep multipel myeloom van de HOVON) en fabrikant Janssen van het middel daratumumab hebben gebruik gemaakt van de mogelijkheid om in te spreken. Zij hebben allen aangegeven zich te kunnen vinden in het voorstel van het Zorginstituut. Zij benadrukken wel dat de middelen een toegevoegde waarde hebben voor de patiënt en om die reden snel beschikbaar moeten komen. Het tijdelijk en onder voorwaarden toelaten geeft de beroepsgroep de mogelijkheid het optimale behandelalgoritme mede op basis van goed gemonitorde resultaten uit de praktijk te bepalen.

De commissie is van mening dat het hier om effectieve geneesmiddelen gaat, maar begrijpt dat individuele beoordelingen in dit geval complex en niet zinvol zouden zijn geweest. De commissie ondersteunt dan ook het voorstel van het Zorginstituut om deze middelen, in de vorm van een pilot, tijdelijk onder voorwaarden toe te laten tot de basisverzekering. De commissie onderschrijft dat onderzoek naar gepast gebruik één van de voorwaarden zou moeten zijn en benadrukt dat ziektespecifieke- en onafhankelijke dataverzameling hiervoor noodzakelijk is. Dit onderzoek zou moeten leiden tot optimalisatie van het behandelalgoritme. Idealiter moet de beroepsgroep de ruimte krijgen om op basis van de effectiviteit en doelmatige inzet het behandelalgoritme tot stand te brengen. Ook het advies over het inrichten van een taakgroep wordt onderschreven door de commissie.

De commissie begrijpt de wens van partijen dat deze middelen optimaal ingezet kunnen gaan worden binnen het te ontwikkelen behandelingsalgoritme en daarom snel beschikbaar moeten komen voor patiënten, te meer omdat enkele middelen al langere tijd in de sluis zitten. Echter, de commissie ziet ook aanleiding om prijsonderhandeling te adviseren. Daarvoor ziet zij meerdere argumenten. Ten eerste is er nog sprake van grote onzekerheid over de effectiviteit en kosteneffectiviteit van de middelen/behandelcombinaties. Ten tweede betreft het een aandoening waarvoor reeds andere behandel mogelijkheden beschikbaar zijn. Het is dus niet zo dat voor deze patiëntengroep nog geen behandeling beschikbaar is. Tot slot is er sprake van indicatie-uitbreidingen, dan wel van een eerdere plaats in het behandelalgoritme van de middelen. Aangezien de middelen reeds in een andere combinatie en/of een andere lijn en/of een andere subindicatie of –populatie vergoed worden, betekent dit dat de onderzoeks- en ontwikkelkosten reeds grotendeels zijn terugverdiend. Deze drie redenen rechtvaardigen een lagere prijs.

De commissie acht dus scherpe prijsonderhandeling aangewezen. Omdat kosteneffectiviteitsgegevens ontbreken, is het voor de commissie niet mogelijk om op basis van *value based* argumenten te adviseren over de hoogte van de prijs. De vraag is of de commissie toch richting kan geven aan de hoogte van de prijs, nu er geen gegevens zijn over de kosteneffectiviteit. Verschillende mogelijkheden zijn besproken. Een mogelijkheid is om bij de prijsonderhandeling in te zetten op het niet verder laten stijgen van de macrokosten voor de behandeling van myeloom. De laatste jaren zijn de macrokosten van deze behandeling namelijk sterk gestegen. Een andere mogelijkheid is om bij het onderhandelen uit te gaan van een maximale gemiddelde prijs per patiënt of maximale gemiddelde prijs per patiënt per jaar. Binnen de commissie bestaat het meeste draagvlak voor het zorgen dat de macrokosten voor deze patiëntengroep in deze pilotfase in ieder geval niet verder stijgen.

Na de pilotfase zal de commissie zich opnieuw buigen over het al dan niet voortzetten van vergoeding van deze middelen. Dan zullen er ook meer gegevens zijn om gericht over de hoogte van de prijs te kunnen adviseren.