

2021001972

ACP-advies aan de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over givosiran (Givlaari®) bij de behandeling van patiënten met een bevestigde diagnose van acute hepatische porfyrie met een voorgeschiedenis van meerdere, terugkerende acute porfyrie aanvallen (≥2 aanvallen over 6 maanden) of patiënten die behandeld worden met hemine als profylaxe.

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 15 januari 2021 (i.v.m. coronacrisis een videoconferentie) gesproken over de vraag of givosiran voor bovengenoemde groep van patiënten opgenomen moet worden in de basisverzekering.

De Patiëntenvereniging Acute Porfyrie, de beroepsgroep van internisten (NIV) en de en de fabrikant Alnylam hebben ingesproken tijdens de vergadering. Al deze partijen gaven aan dat er sprake is van een ernstige aandoening met een grote impact op het sociale en werkzame leven. Zij zijn allen van mening dat givosiran een innovatie is waardoor een groot deel van de patiënten weer een gewoon leven kan leiden. Om die reden zijn de patiëntenvereniging en de beroepsgroep van mening dat het geneesmiddel opgenomen zou moeten worden in de basisverzekering. De beroepsgroep is zich bewust van de hoge prijs en heeft toegelicht dat zij werkt aan een protocol om het middel gepast in te zetten waarbij naast start- en stopcriteria ook gekeken wordt of patiënten met een lagere dosering uit kunnen komen en spillage vermeden zal worden.

Voor de commissie is het evident dat het hier om een effectief geneesmiddel gaat met een grote impact voor de patiënt. Wel is er nog sprake van onzekerheid over de lange termijn effecten en de optimale dosering van het middel. De commissie is verheugd te horen dat de beroepsgroep al is gestart met het opstellen van start- en stopcriteria en de bereidheid om te onderzoeken of een lagere startdosering mogelijk is. Uitgaande van een referentiewaarde van €50.000 per QALY (die van toepassing is bij een ziektelast van 0.6) concludeert de commissie echter ook dat behandeling met givosiran niet kosteneffectief is, aangezien de kosten bijna €200.000 per QALY bedragen.

Gezien de hoge prijs die voor het middel wordt gevraagd (iets meer dan €500.000 euro per patiënt per jaar), lijkt bijna €200.000 per QALY wellicht nog mee te vallen. Echter, de lagere prijs per QALY wordt veroorzaakt doordat de standaardbehandeling

met hemine ook al heel duur is. De kosteneffectiviteit van deze standaardbehandeling is echter onbekend, maar deze is waarschijnlijk zeer ongunstig. Een vergelijking met een standaardbehandeling met een ongunstige kosteneffectiviteit flatteert de kosteneffectiviteit van het nieuwe middel: anders gesteld, de kosteneffectiviteit van givosiran is in werkelijkheid waarschijnlijk ongunstiger dan de €200.000 per QALY die nu is berekend.

Dit dossier laat dus zien dat het laten instromen van niet-kosteneffectieve behandelingen in het verleden van invloed is op kosteneffectiviteitsbepalingen van nieuwe middelen. Dit is een mechanisme dat de commissie onwenselijk vindt. In andere gevallen waar de prijs erg hoog is en de kosteneffectiviteit (daardoor) erg ongunstig, adviseert de commissie vaak negatief over vergoeding. Dan is er echter vaak wel sprake van alternatieve behandelopties voor de patiënt. Omdat het hier gaat om een aandoening met een grote impact op het leven van een patiënt, en givosiran een toegevoegde waarde heeft ten opzichte van de huidige behandeling, ziet de commissie voldoende redenen voor een positief advies.

Alles overziend komt de commissie tot de conclusie dat het van belang is dat givosiran beschikbaar komt voor deze patiënten, maar niet voor deze prijs. Op basis van de kosteneffectiviteitsbepaling heeft het Zorginstituut laten zien dat bij een prijsdaling van 40% de kosteneffectiviteit van givosiran in de buurt komt van de referentiewaarde. De commissie adviseert dan ook de prijs minimaal met 40% te verlagen, zeker gezien het feit dat de kosteneffectiviteit van de behandeling waarmee is vergeleken hoogstwaarschijnlijk ook ongunstig is.

De commissie acht een goed behandelprotocol belangrijk. Daarom vindt zij het noodzakelijk dat er onafhankelijk onderzoek komt naar onder andere de mogelijkheid van verlaging van de startdosering om te kijken of de kosteneffectiviteit, naast door prijsonderhandeling, nog verder kan worden verbeterd.