

2021025164

ACP advies aan de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over betibeglogene autotemcel (Zynteglo®) (verder beti-cel) bij de behandeling van patiënten in de leeftijd van 12 jaar en ouder met transfusie-afhankelijke β -thalassemie (TDT) die geen β^0/β^0 -genotype hebben, voor wie transplantatie van hematopoëtische stamcellen (HSC) gepast is, maar geen humaan leukocytenantigeen (HLA)-compatibele gerelateerde HSC-donor beschikbaar is

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 25 juni 2021 (i.v.m. coronamaatregelen een videoconferentie) gesproken over de vraag of beti-cel bij de hierboven genoemde indicatie opgenomen dient te worden in de basisverzekering. Tijdens de vergadering hebben de patiëntenorganisatie, de beroepsgroep en de fabrikant gebruik gemaakt van de mogelijkheid tot inspreken. De patiëntenorganisatie bracht in dat dit middel uitkomst biedt voor patiënten waarvoor geen geschikte donor beschikbaar is. De patiëntenorganisatie en beroepsgroep benadrukken de impact van de bloedtransfusies, behandeling van ijzerstapeling en de complicaties (bijvoorbeeld orgaanschade). De beroepsgroep licht toe dat zij een document heeft opgesteld met daarin afspraken over welke centra de behandeling kunnen gaan toepassen en aan welke criteria een patiënt moet voldoen om in aanmerking te komen. Hierin is ook rekening gehouden met het recent beschikbaar gekomen middel luspatercept. Ook is op korte termijn een indicatie-uitbreiding te verwachten. De fabrikant Bluebird bio heeft aangegeven patiënten langdurig te gaan volgen en zegt dat er geen aanwijzingen zijn dat het overtuigende effect op termijn zal gaan verdwijnen. Zij staat open voor een pay-for-performance afspraak. Alle partijen hopen dat het middel snel toegankelijk wordt voor patiënten.

De volgende punten vormen voor de commissie het vertrekpunt van de commissie:

- Het betreft een innovatieve en op korte termijn en op lange termijn veelbelovende gentherapie waarvoor de commissie haar waardering uitsprekt. Er is onzekerheid of de gevonden effecten levenslang aanhouden.
- Het betreft een eenmalige behandeling.
- Bij de huidige prijs is er geen sprake van een kosteneffectieve behandeling (ICER van €90.000 per QALY uitgaande van een referentiewaarde van €50.000 euro). Bij een prijsreductie van 35% komt de ICER onder de referentiewaarde van €50.000 euro per QALY te liggen.

Ook al acht de commissie het wenselijk dat deze behandeling spoedig beschikbaar komt voor de patiënt, vindt zij de prijs, bijna anderhalf miljoen per patiënt, te hoog. Het kosteneffectiviteitsmodel laat zien dat, uitgaande van de referentiewaarde van €50.000 euro per QALY, die van toepassing is bij de ziektelast van deze aandoening (0.53), beti-cel niet

kosteneffectief is (€90.000 per QALY). Er zou een prijsreductie van 35% nodig zijn om te kunnen spreken van een kosteneffectieve behandeling.

Gezien de onzekerheid over of het effect levenslang behouden blijft en omdat het een eenmalige behandeling betreft waarbij de kosten zich op één moment concentreren terwijl de baten nog onzeker zijn, adviseert de commissie om een pay-for-performance afspraak te maken en hierbij rekening te houden dat de claim is dat het levenslang werkt. De commissie is van mening dat het risico dat deze gentherapie niet levenslang werkt niet bij de maatschappij moet komen te liggen, maar bij de fabrikant. De commissie vindt het verder noodzakelijk dat deze afspraken openbaar worden gemaakt door het ministerie van VWS, zodat hiervan kan worden geleerd voor de toekomstige beoordelingen van gentherapieën en pay-for-performance afspraken.

Echter, naast de pay-for-performance afspraak acht de commissie, gezien de hoge prijs, ook een prijsreductie nodig. Hoewel de commissie veelbelovende innovatie wil belonen en stimuleren en daarom een zekere afwijking van de referentiewaarde soms acceptabel vindt, zijn er in dit geval ook argumenten die daartegen pleiten. Afhankelijk van bijvoorbeeld de duur van de pay-for-performance afspraak vraagt de grote mate van onzekerheid over de lange termijn effecten en kosteneffectiviteit om een prijsreductie. Verder leidt de huidige prijs die ver boven de referentiewaarde ligt tot verdringing van andere zorg. Tot slot is indicatie-uitbreiding te verwachten.¹

Alle argumenten overwegende, komt de commissie tot de conclusie dat zij het belangrijk vindt dat het middel snel beschikbaar komt, mits er een goede pay-for-performance afspraak tot stand komt en de prijs van beti-cel met minimaal 35% is gereduceerd. De commissie adviseert om bij deze prijsonderhandeling daarnaast ook al rekening te houden met de te verwachten indicatie-uitbreiding.

De commissie acht dataverzameling noodzakelijk en adviseert om het systematisch verzamelen van kwaliteit van leven data hierin mee te nemen. Ook steunt de commissie het voorstel om een weesgeneesmiddelen-arrangement op te stellen waarin deze afspraken worden vastgelegd, maar ook rekening wordt gehouden met de inzet van luspatercept en de te verwachten indicatie-uitbreiding.

¹ Overbodig te zeggen dat de commissie geen inzicht heeft in de daadwerkelijke kosten die zijn gemaakt voor de ontwikkeling van dit middel. Met de hoge vraagprijzen van gentherapieën gaat dit steeds meer wringen. De commissie vraagt zich af of het juist is dat het consumentensurplus volledig naar de fabrikant gaat. Ook de maatschappij zou moeten kunnen profiteren van dit surplus.