

ACP advies aan de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over tafamidis (61 mg) (Vyndaqel®) voor de behandeling van verworven of erfelijke transthyretineamyloïdose bij volwassen patiënten met cardiomyopathie (ATTR-CM)

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 15 juli 2021 gesproken over de vraag of tafamidis bij de hierboven genoemde indicatie opgenomen dient te worden in de basisverzekering. Tijdens de vergadering is door de patiëntenorganisatie SAN (Stichting Amyloïdose Nederland) en een afgevaardigde namens het Gronings expertisecentrum voor Amyloïdose en het netwerk van expertisecentra (UMCG, UMCU en Erasmus) gebruik gemaakt van de mogelijkheid tot inspreken. De fabrikant heeft schriftelijk haar visie kenbaar gemaakt (meegezonden met de stukken). De patiëntenorganisatie spreekt zich positief uit over de effectiviteit van het geneesmiddel, maar vraagt aandacht voor het belang van diagnostiek omdat bekend is dat er nog veel patiënten niet gediagnosticeerd zijn. Ook vraagt de patiëntenorganisatie aandacht voor de rol van etniciteit. Het is bekend dat bij de Afro-Amerikaanse populatie sprake is van extra complicerende factoren, zoals de ernst van hartfalen. De patiëntenorganisatie is zich bewust van de hoge kosten, maar er is ook sprake van besparingen elders in de zorg¹. De behandeling zal naar verwachting ook een positief effect hebben op mantelzorg. De patiëntenorganisatie hoopt dat partijen eruit komen en dat tafamidis beschikbaar komt. Het expertisecentrum geeft aan al veel ervaring opgedaan te hebben met tafamidis en ziet de resultaten uit de studies ook terug in de praktijk. Het expertisecentrum is bezig met het opstellen van een weesgeneesmiddelen-arrangement waarin ook aandacht is voor het verbeteren van de diagnostiek. Het is bekend dat er nog veel patiënten niet zijn gediagnosticeerd, maar het expertisecentrum probeert de bekendheid van de ziekte te vergroten. Of al deze patiënten ook behandeld zullen worden met tafamidis is nog onzeker. Het expertisecentrum wil door middel van een zelf opgezet register gaan onderzoeken of de inzet van tafamidis beperkt kan worden tot die patiënten bij wie het echt werkt op basis van bijvoorbeeld een biomarker.

Vertrekpunt van de discussie in de commissie is dat tafamidis voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk voor patiënten met verworven of aangeboren ATTR-CM én NYHA klasse I of II, al is er op patiëntniveau onduidelijkheid over de mate van het effect en het effect op langere termijn. Er is sprake van een ongunstige kosteneffectiviteit (€151.050 per QALY) ten opzichte van de maximale referentiewaarde van €80.000 per QALY die van toepassing is bij een aandoening met een hoge ziektelast. De prijs zal met minimaal 50% moeten dalen om onder de referentiewaarde te komen.

¹ Deze besparingen zijn meegenomen in de kosteneffectiviteitsanalyse van het Zorginstituut

De commissie heeft gediscussieerd of er daarnaast argumenten zijn om een lagere korting of hogere korting te adviseren. De commissie concludeert dat er argumenten zijn om een fors hogere korting dan 50% te adviseren:

- Het betreft een indicatie-uitbreiding. Het gaat hier weliswaar om een andere formulering dan tafamidis 20 mg die reeds enkele jaren op de markt is, maar de commissie is van mening dat er geen aanwijzingen zijn dat de fabrikant extreem hoge investeringen heeft moeten doen om met dit middel op de markt te komen.
- Het betreft een zeer hoge budgetimpact van tussen de 171 en 421 miljoen euro. Hierdoor zal de fabrikant de gemaakte kosten snel terug kunnen verdienen. De grote spreiding is het gevolg van de onzekerheid over het verwachte aantal patiënten dat op dit moment nog niet gediagnosticeerd is en welk deel daarvan in aanmerking komt voor tafamidis.

Verder constateert de commissie dat er op termijn nieuwe middelen voor deze indicatie komen. De commissie adviseert hiermee bij de (duur van de afspraken over) prijsonderhandeling rekening te houden.

De commissie kan geen percentage noemen dat bovenop de 50% prijsreductie zou moeten komen, omdat benodigde informatie om te adviseren wat een maatschappelijk verantwoorde prijs zou moeten zijn ontbreekt. Alle argumenten overwegende, komt de commissie tot de conclusie dat tafamidis niet opgenomen zou moeten worden in de basisverzekering tenzij een prijsreductie wordt onderhandeld die hoger is dan de 50% die nodig is om onder de referentiewaarde te komen.

Tot slot spreekt de commissie haar complimenten uit over het feit dat de behandelaren reeds stappen hebben ondernomen om tot gepast gebruik afspraken te komen en reeds een registratie hebben opgezet.