

ACP advies aan de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over bempedoïnezuur (Nilemdo®) voor gebruik bij volwassenen met primaire hypercholesterolemie of gemengde dyslipidemie

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 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 10 juni 2022 gesproken over de vraag of bempedoïnezuur bij de hierboven genoemde indicatie opgenomen dient te worden in de basisverzekering.

Inspraak

Tijdens de vergadering hebben de beroepsgroep en de fabrikant Daiichi Sankyo gebruik gemaakt van de mogelijkheid om in te spreken. Hieronder volgt een samenvatting van hetgeen zij hebben ingebracht.

"De beroepsgroep geeft aan dat er behoefte bestaat aan uitbreiding van het behandelarsenaal voor genoemde subgroep patiënten (d.w.z. <3%) waarbij sprake is van een unmet medical need. De beroepsgroep heeft, gezien het werkingsmechanisme, vertrouwen in de lange termijn effecten. De beroepsgroep verwacht dat de budgetimpact in de praktijk aanzienlijk lager zal gaan uitvallen dan in de budgetimpact-analyse berekend. Naar de mening van de beroepsgroep is de uptake van bempedoïnezuur te hoog ingeschat, is een therapietrouw van 100% niet realistisch en verkeert de beroepsgroep in de gelukkige omstandigheid dat er een groot aantal medicijnen zijn met verschillende aanknopingspunten die zeer succesvol zijn in het verlagen van het cardiovasculair risico. Bempedoïnezuur is dan ook geen 'blockbuster', aldus de beroepsgroep.

De fabrikant licht toe dat bempedoïnezuur een bestaand behandelgat vult. De fabrikant schat eveneens in dat het financieel risico aanzienlijk lager is (onder de 10 miljoen euro), doordat de indicatie strikte is afgebakend, ervaringen met bempedoïnezuur in andere landen en op basis van ervaringen met vergelijkbare behandelingen in Nederland. Ook benadrukt dat de fabrikant dat de puntsschatter van de kosteneffectiviteit zich onder de geldende referentiewaarde bevindt. De sensitiviteitsanalyses lieten weliswaar onzekerheid zien rondom de uitkomsten van de kosteneffectiviteitsanalyses, maar onduidelijk is welke mate van onzekerheid onacceptabel is. Interpretatie en relevantie van onzekerheid hangt naar de mening van de fabrikant samen met de budgetimpact. De fabrikant geeft aan bereid te zijn om tot een goede financiële overeenkomst te komen met het ministerie van VWS om zo deze behandeloptie mogelijk te maken, maar verzoekt de ACP het voorgesteld kortingspercentage van 50% niet over te nemen in haar advies."

Vertrekpunt voor het advies van de commissie:

- Het gaat om een aandoening met een ziektelast van 0.31 in geval van de statine intolerante populatie en 0.42 voor de statinetolerante populatie.
- Bempedoïnezuur betreft een effectieve behandeling, waarbij er onzekerheid bestaat over de lange termijn effecten en dan met name op de klinisch relevante eindpunten zoals het voorkomen van cardiovasculaire events en overlijden;

- Gezien de ernst van de aandoening geldt een referentiewaarde van 20.000 (statine intolerante populatie) en 50.000 euro per QALY (statine tolerante populatie) als uitgangspunt van de discussie.
- Bempedoïnezuur kent een gunstige kosteneffectiviteit ten opzichte van de huidige standaardbehandeling, maar de onzekerheid hierover is aanzienlijk. Als medische kosten in gewonnen levensjaren worden meegenomen zal bempedoïnezuur naar verwachting niet kosteneffectief zijn. Bij een prijskorting van 50% stijgt de kans op kosteneffectiviteit in vergelijking met de referentiewaarde naar 95% voor de statine intolerante populatie en 78% voor de statine tolerante populatie.
- Het betreft een GVS-geneesmiddel, waarbij het Zorginstituut voorstelt om in de bijlage 2 voorwaarden de plaatsbepaling van bempedoïnezuur conform de beoordeling op te nemen.

Tijdens de gedachtenvorming in de commissie zijn daarnaast de volgende argumenten ingebracht:

- De commissie is van mening dat er sprake is van aanzienlijke onzekerheid over het effect van bempedoïnezuur op harde eindpunten. De commissie vindt dat dit risico zich zou moeten vertalen in de prijs.
- Er bestaat onzekerheid over de kosteneffectiviteit. Die onzekerheid neemt naar de mening nog verder toe doordat compliance niet is meegenomen in het kosteneffectiviteitsmodel. De commissie acht volledige therapietrouw in de praktijk niet realistisch, wat tot gevolg heeft dat de kosteneffectiviteit in de praktijk mogelijk ongunstiger zal uitvallen.
- Naar aanleiding van een vraag van de commissie over het onderscheid in ziektelast tussen beide groepen, heeft de beroepsgroep aangegeven dat in de praktijk de ziektelast voor beide populaties gelijk is. Onduidelijk is echter of dan de hoge dan wel de lage ziektelast uitgangspunt zou moeten zijn. Dit leidt tot extra onzekerheid over wat betreft de uitkomst van de kosteneffectiviteit en om die reden voor de commissie een argument om een bedrag onder de referentiewaarde te adviseren.

Advies

Alles overwegende kan de commissie zich vinden in de onderbouwing van de benodigde prijskorting van ten minste 50%. De commissie is zich er echter van bewust dat ook dit kortingspercentage met onzekerheid is omgeven zoals blijkt uit de benoemde punten. De commissie wil het onderhandelingsbureau als alternatieve mogelijkheid meegeven om een lagere prijs af te spreken, waarbij een (te zijner tijd opnieuw te bepalen) kosteneffectieve prijs alsnog betaald wordt wanneer in de toekomst op basis van lange termijngegevens blijkt dat effecten op harde eindpunten worden bereikt en onzekerheden uit het kosteneffectiviteitsmodel zijn weggenomen (bv. therapietrouw).

De commissie kan zich vinden in de voorgesteld bijlage 2 voorwaarden. De commissie spreekt zijn vertrouwen in de beroepsgroep uit over de beperkte inzet van het middel, maar is er niet zeker van dat ook alle voorschrijvers zich hieraan zullen houden. Om die reden adviseert de commissie in het kader van cyclisch pakketbeheer dit te monitoren.