



> Retouradres Postbus 320, 1110 AH Diemen

Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,
T.a.v. mevrouw K.H.M. van Rooijen
Directeur Geneesmiddelen en Medische Technologie
Postbus 20350
2500 EJ 'S-GRAVENHAGE

2022042285

Datum 2 november 2022
Betreft Voortgang voorwaardelijk toelatingstraject van rhPTH 1-84 (Natpar®)

Zorginstituut Nederland

Zorg
Geneesmiddelen
Willem Dudokhof 1
1112 ZA Diemen
Postbus 320
1110 AH Diemen
www.zorginstituutnederland.nl
info@zinl.nl

T +31 (0)20 797 85 55

Contactpersoon

mw. N. Stam
T +31 (0)6 342 207 90

Onze referentie

2022042285

Geachte mevrouw Van Rooijen,

Op basis van ons advies van 6 oktober 2021 heeft uw voorganger recombinant humaan parathyreoïd hormoon 1-84 (rhPTH 1-84) (Natpar®) voorwaardelijk toegelaten tot het basispakket van de Zorgverzekeringswet (Zvw) als aanvullende behandeling van volwassen patiënten met chronische hypoparathyreoïdie wiens toestand onvoldoende onder controle kan worden gebracht met standaardtherapie. Dit geldt voor de periode 1 november 2021 tot en met 31 december 2024. Op basis van nieuwe ontwikkelingen, adviseert het Zorginstituut u over de voortzetting van dit voorwaardelijke toelatingstraject.

Verloop traject

Sinds de start van het voorwaardelijke toelatingstraject zijn er 20 Nederlandse patiënten behandeld met rhPTH 1-84. Bij de aanvang van het traject werd verwacht dat er in totaal 100 Nederlandse patiënten in aanmerking zouden komen voor behandeling met rhPTH 1-84. Gegevens van de behandelde patiënten zijn verzameld in een register (nevenonderzoek: Natpar Monitor). Tijdens de klankbordgroepbijeenkomst gaven de behandelaren aan dat hun patiënten baat hebben bij het gebruik van rhPTH 1-84. Daarnaast is de internationale hoofdstudie, die deel uitmaakte van het onderzoeksvoorstel voor voorwaardelijke toelating, reeds afgerond. Het is de verwachting dat de resultaten van deze internationale studie in het aankomende jaar zullen worden gepubliceerd.

Productieproblemen

Eind april 2022 maakte registratiehouder Takeda bekend dat de hoogste dosering rhPTH 1-84 (100 microgram/dosis) vanaf eind juni 2022 niet meer geleverd kon worden vanwege productieproblemen. Tevens werd geadviseerd om geen nieuwe patiënten te behandelen. De duur van de productieproblemen was nog onbekend. Op 4 oktober 2022 maakte Takeda bekend dat de productieproblemen niet kunnen worden opgelost en dat de productie daarom eind 2024 wereldwijd zal worden stopgezet.

Gevolgen

Het doel van de voorwaardelijke toelating bestaat uit het verzamelen van aanvullende informatie met betrekking tot de effectiviteit en doelmatige inzet om daarmee een uitspraak te doen over pakketwaardigheid van het betreffende

geneesmiddel. Aangezien Takeda eind 2024 definitief zal stoppen met de productie van rhPTH 1-84 en er geen nieuwe patiënten behandeld mee zullen worden, zal rhPTH 1-84 na afloop van de voorwaardelijke toelating het pakket niet kunnen instromen. Daarom zal het Zorginstituut geen pakketbeoordeling uitvoeren. Dit zou aanleiding kunnen zijn om het voorwaardelijke toelatingstraject van rhPTH 1-84 stop te zetten. Het Zorginstituut heeft echter het volgende overwogen.

Zorginstituut Nederland
Zorg
Geneesmiddelen

Datum
2 november 2022

Onze referentie
2022042285

De beroepsgroep heeft tijdens de klankbordgroepbijeenkomst aangegeven het aankomende jaar alle patiënten die nu zijn ingesteld op rhPTH 1-84 op verantwoorde wijze over te willen zetten op een alternatief middel. Aangezien rhPTH 1-84 een *unmet medical need* vervulde, zijn er op dit moment (nog) geen adequate alternatieven beschikbaar. Patiënten zullen daarom hoogstwaarschijnlijk ontregeld raken en bijbehorende klachten ervaren. Om die reden willen de behandelaren met de patiënt samen beslissen welk moment voor het overzetten naar een alternatief het meest geschikt is. Patiënten zullen waarschijnlijk worden overgezet op teriparatide, wat *off-label* gebruik betreft. In de Europese hypoparathyreoïdie behandelrichtlijn uit 2015 wordt behandeling met teriparatide echter niet aanbevolen. Daarnaast zal worden gekeken of patiënten geïnccludeerd kunnen worden in studies waarin nieuwe behandelingen voor hypoparathyreoïdie worden onderzocht.

Het Zorginstituut pleit er daarom voor om behandelaren en patiënten genoeg ruimte te bieden om over te stappen naar een alternatief. Het is hierbij belangrijk om te benadrukken dat patiënten dus alleen moeten overstappen op een ander geneesmiddel vanwege de productieproblemen, niet vanwege een gebrek aan effectiviteit van rhPTH 1-84. Het gaat om 20 patiënten die waarschijnlijk nog maximaal één jaar behandeld zullen worden met rhPTH 1-84.

Advies van Zorginstituut Nederland

Op basis van bovenstaande overwegingen adviseert Zorginstituut Nederland om het voorwaardelijke toelatingstraject van rhPTH 1-84 voort te zetten, totdat alle Nederlandse patiënten die nu met rhPTH 1-84 worden behandeld, verantwoord zijn overgestapt op een alternatief. Verder mogen er geen nieuwe patiënten worden behandeld met rhPTH 1-84. Het Zorginstituut zal partijen hierover informeren.

Hoogachtend,



Peter Siebers
Plv. Voorzitter Raad van Bestuur