ACP advies aan de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over brexucabtagene autoleucel (Tecartus®) bij de behandeling van mantelcellymfoom (MCL)

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 maart 2023 gesproken over de vraag of brexucabtagene autoleucel (verder: brexu-cel) (Tecartus®) bij de hierboven genoemde indicatie opgenomen dient te worden in de basisverzekering.

Inspraak
Tijdens de vergadering heeft patiëntenorganisatie Nederlandse Federatie Kankerpatiëntenorganisaties, mede namens patiëntenorganisatie Hematon ingesproken. Ook de fabrikant Gilead heeft gebruik gemaakt van de mogelijkheid om in te spreken. Hieronder volgt een samenvatting van hetgeen is ingebracht.
"*De patiëntenorganisatie geeft aan dat deze MCL-patiënten een slechte prognose hebben. De overleving na behandeling met brexu-cel neemt toe met ruim 2,5 jaar en bij 62% van de patiënten werd complete remissie bereikt. Vlak na de (eenmalige) behandeling zijn er bijwerkingen, soms ernstig van aard, maar de kwaliteit van leven neemt daarna snel weer toe. Patiënten worden in Nederland zorgvuldige geselecteerd door een indicatie commissie. Dat resulteert in een hoge succes rate en die ligt in Nederland mede door deze strenge selectie hoger dan in ons omringende landen. Ook de MCL-patiënten zullen door deze commissie beoordeeld worden. De ICER is met 2 ton fors boven de referentiewaarde van €80.000. De toegevoegde waarde van deze behandeling staat buiten kijf, maar prijsonderhandelingen zijn hier op zijn plaats.*"

"*De fabrikant geeft aan dat het om een ingrijpende agressieve vorm van kanker gaat met een slechte prognose. Er is dus sprake van een hoge medisch noodzaak. Brexu-cel is een volledig gepersonaliseerde immuuntherapie die erop gericht is cellen van het eigen immuunsysteem van patiënten te herprogrammeren om de kankercellen te herkennen en te elimineren. Deze therapie wordt eenmalig toegediend aan MCL-patiënten, en heeft het klinische potentieel om langdurige remissies te bewerkstelligen, en mogelijk zelfs patiënten te genezen. Bij de bepaling van de ICER is geen rekening gehouden met mogelijk langdurige overleving of genezing en vormt daarmee volgens de fabrikant een overschatting. De fabrikant wil het middel spoedig beschikbaar maken voor patiënten.*"

Een behandelaar heeft op verzoek van de commissie namens de beroepsgroep een aantal vragen beantwoord. De behandelaar heeft toegelicht dat de gemiddelde leeftijd van patiënten met deze aandoening weliswaar 68 jaar bedraagt, maar dat hij in zijn praktijk ook jongere patiënten heeft behandeld die zich daarna weer zo goed voelen dat ze weer volledig meedraaien in de maatschappij. Bij patiënten uit de controlegroep is dat niet het geval. Het betreft een eenmalige behandeling en bijwerkingen kunnen heftig zijn, maar inmiddels is meer ervaring opgedaan met CAR-T behandelingen en is personeel zodanig opgeleid dat toxiciteit

vroegtijdig herkend wordt en tijdig een behandeling gestart kan worden. Behandeling in een gespecialiseerd centrum is dan ook van groot belang. De behandelaar bevestigt de goede resultaten van de indicatiecommissie zoals zojuist benoemd door de patiëntenorganisatie. Op korte termijn zijn er geen voornemens om een academisch CAR-T product voor deze indicatie te maken.

Vertrekpunt voor de gedachtevorming in de commissie:

- De behandeling met brexu-cel bij genoemde indicatie voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk. Het komt niet vaak voor, maar brexu-cel laat een klinisch relevant verschil in overleving zien en ook nog aanzienlijk met 2,6 jaar.
- Het gaat om een aandoening met een hoge ziektelast.
- De kosteneffectiviteit is met een ICER van €201.686 per QALY zeer ongunstig. Op basis van deze berekening zal de prijs van brexu-cel met minstens 80% moeten dalen om onder de referentiewaarde van €80.000 per QALY uit te komen.

Overwegingen van de commissie:

Tijdens de gedachtenvorming in de commissie zijn bovenstaande punten als volgt gewogen:

- Er is sprake van indrukwekkende resultaten voor een populatie met een hoge ziektelast.
- Er is sprake van onzekerheid over de (kosten)effectiviteit ten gevolge van de beperkingen in de studieopzet.
- Het is onduidelijk wat de relatie is tussen de ontwikkelkosten en de vraagprijs. De inspreker kon geen antwoord geven op een vraag hierover van de commissie. De commissie is daarom van mening dat het vanuit maatschappelijk perspectief niet verdedigbaar is om een prijs boven de referentie te adviseren, ondanks de indrukwekkende effecten en de hoge ziektelast.
- Alles wegende ziet de commissie geen reden om een bedrag onder of boven de referentiewaarde te adviseren.
- De werkwijze van de indicatiecommissie leidt tot goede resultaten voor zowel de maatschappij als de patiënten. Voor de maatschappij omdat dure middelen niet ongepast worden ingezet en voor de patiënt omdat die niet onnodig wordt blootgesteld aan een behandeling met mogelijk ernstige bijwerkingen.
- Toch moet de commissie weer concluderen dat structurele financiering van een indicatiecommissie zoals deze en dataverzameling ook hier een knelpunt is.
- Ook vindt de commissie in het kader van passende zorg concentratie van zorg aangewezen.

Advies

De commissie adviseert om brexu-cel voor de genoemde indicatie alleen in het basispakket op te nemen wanneer een prijsreductie van minimaal 80% kan worden behaald. Daarnaast adviseert de commissie opnieuw om structurele financiering te organiseren voor het inrichten van indicatiecommissies en dataverzameling in het kader van cyclisch pakketbeheer van dure middelen.