



> Retouradres Postbus 320, 1110 AH Diemen

Biomarin

**Zorginstituut Nederland**  
Pakket

Eekholt 4  
1112 XH Diemen  
Postbus 320  
1110 AH Diemen  
www.zorginstituutnederland.nl  
info@zinl.nl

T +31 (0)20 797 89 59

**Contactpersoon**

mw. J.E. de Boer, arts  
T +31 (0)20 797 85 23

0530.2016022811

Datum 31 oktober 2016  
Betreft Wijziging beleid t=4 dossiers specialistische geneesmiddelen

**Onze referentie**  
2016022811

Geacht bestuur,

We willen u op de hoogte brengen van een wijziging in ons beleid ten aanzien van de liggende en nog binnenkomende 't=4 dossiers'. Dit zijn alle specialistische geneesmiddelen die in de periode 2006-2012 zijn opgenomen op de beleidsregel dure geneesmiddelen of de beleidsregel weesgeneesmiddelen. In uw geval betreft het het weesgeneesmiddel galsulfase (Naglazyme ®) bij patiënten met mucopolysaccharidose VI.

We hebben de huidige werkwijze rond de t=4 beoordelingen geëvalueerd: We constateren dat het uitgevoerde uitkomstenonderzoek in veel gevallen niet of nauwelijks nieuwe informatie oplevert. Sinds 2013 bepalen we risicogericht<sup>1</sup> welke specialistische geneesmiddelen we (her)beoordelen. Vanuit het oogpunt van risicogericht pakketbeheer is het niet zinvol om alle t=4 dossiers te herbeoordelen. Op basis van de criteria voor het bepalen van het risico voor de basisverzekering zijn wij tot de conclusie gekomen dat we op dit moment niet over zullen gaan tot herbeoordeling van galsulfase bij patiënten met mucopolysaccharidose VI. Wel hebben we ervoor gekozen galsulfase te selecteren voor de eerste monitor weesgeneesmiddelen mede door de zeer hoge kosten per patiënt per jaar. We evalueren of galsulfase gepast wordt toegepast in de praktijk en welke waarborgen hiervoor zijn ingebouwd. De resultaten hiervan presenteren we in de eerste monitor weesgeneesmiddelen welke we naar verwachting begin 2017 uitbrengen.

<sup>1</sup> Wij hanteren hiervoor de volgende criteria om te bepalen of een interventie een hoog risico kent voor het basispakket:

- \* Is er sprake van een claim therapeutische meerwaarde ten opzichte van de standaardbehandeling?
- \* Vermoedt het Zorginstituut dat zorgverzekeraars geen effectieve regie kunnen voeren op het gebruik van het product?
- \* Ontbreekt overtuigende bewijskracht voor het inzetten van het product?
- \* Is er weinig zelfsturing in het veld in termen van protocollen, richtlijnen en registers met aandacht voor kwaliteit van leven en kosteneffectiviteit?
- \* Is de verwachte budgettaire consequentie aanzienlijk?
- \* Gaat het om een therapeutisch gebied met veel dynamiek?
- \* Is er sprake van een monopoliepositie van een aanbieder(s) waarover het Zorginstituut iets wil zeggen?

Afhankelijk van de resultaten van deze evaluatie zullen we bekijken of de inzet van één of meerdere instrumenten (bijv. afsluiten weesgeneesmiddelenarrangement, herbeoordelen of aansturen op een prijsarrangement) is aangewezen.

Ik hoop u hiermee voldoende te hebben ingelicht. Mocht u nog vragen hebben naar aanleiding van deze brief, kunt u met mij contact opnemen ([jeboer@zinl.nl](mailto:jeboer@zinl.nl) of 020-797 8523).

Hoogachtend,

mw. J.E. de Boer, arts  
*Secretaris commissie geneesmiddelen*

*NFU t.a.v. mevr. R Noest-Poll  
Erasmus MC Centrum voor Lysosomale en Metabole Ziekten t.a.v. prof. dr. A.T.  
van der Ploeg  
VKS t.a.v. mevrouw H. Dekker*

**Zorginstituut Nederland**  
Pakket

**Datum**  
31 oktober 2016

**Onze referentie**  
2016022811