



Lumacaftor/ivacaftor (Orkambi®) bij cystische fibrose (CF)

De minister van VWS heeft besloten om het middel Lumacaftor/ivacaftor (Orkambi®) voor cystische fibrose (ook wel bekend als taaislijmziekte) vanaf 1 november 2017 toe te laten tot het basispakket.

<https://www.rijksoverheid.nl/actueel/nieuws/2017/10/25/schippers-laait-orkambi-toe-tot-basispakket>

Indicatie waarvoor het geneesmiddel is geregistreerd

Lumacaftor/ivacaftor is geregistreerd voor de behandeling van cystische fibrose (CF) bij patiënten van 12 jaar en ouder die homozygoot zijn voor de F508del-mutatie in het CFTR-gen. Lumacaftor/ivacaftor wordt toegevoegd aan een al bestaande behandeling (best ondersteunende zorg).

CF is een autosomaal recessieve erfelijke aandoening die wordt veroorzaakt door een mutatie in het CFTR-gen. Hierdoor wordt het zout-watertransport verstoord, waardoor taai slijm ontstaat. CF leidt o.a. tot toenemende luchtweginfecties met onomkeerbare beschadiging van de longen en stoornissen in de spijsvertering. In Nederland is de mediane levensverwachting van patiënten met CF circa 40 jaar.

Tijdslijn van beoordeling tot vergoeding

Mei 2016 – pakketbeoordeling Orkambi®

Het Zorginstituut adviseert de minister van VWS om Orkambi® niet te vergoeden vanuit het basispakket. Dit negatieve advies voort uit een slechte onderbouwing van de fabrikant over de kosteneffectiviteit. Het Zorginstituut is bereid om, indien aan bepaalde randvoorwaarden wordt voldaan, het product opnieuw aan de pakketcriteria te toetsen.

<https://www.zorginstituutnederland.nl/publicaties/adviezen/2016/05/13/lumacaftor-ivacaftor-orkambi-bij-cystische-fibrose-cf-bij-patienten-van-12-jaar-en-ouder-die-homozygoot-zijn-voor-de-f508del-mutatie-in-het-cftr-gen>

December 2016 – herbeoordeling Orkambi®

In oktober 2016 heeft de minister van VWS het Zorginstituut gevraagd een herbeoordeling te doen op basis van het geactualiseerde farmaco-economisch dossier van Orkambi®.

In deze herbeoordeling heeft het Zorginstituut alleen aandacht besteed aan het criterium kosteneffectiviteit. De kosteneffectiviteitsratio die de fabrikant heeft bepaald, wordt geschat op ongeveer € 400.000 per QALY (= een extra levensjaar in goede gezondheid).

Op basis van de criteria van onderlinge vervangbaarheid komt Orkambi® niet in aanmerking voor plaatsing op bijlage 1A van het Geneesmiddelenvergoedingssysteem en op basis van de huidige zeer hoge kosten-batenverhouding ook niet voor plaatsing op bijlage 1B. Het Zorginstituut adviseert de minister van VWS om met de fabrikant te onderhandelen over de prijs.

<https://www.zorginstituutnederland.nl/publicaties/adviezen/2016/12/15/herbeoordeling-lumacaftor-ivacaftor-orkambi-bij-cystische-fibrose-cf-bij-patienten-die-homozygoot-zijn-voor-de-f508del-mutatie-in-het-cftr-gen>

Mei 2017 – 1^e prijsonderhandeling

De minister van VWS heeft het advies van het Zorginstituut overgenomen om met fabrikant Vertex te onderhandelen over de prijs. Op 23 mei 2017 heeft zij de prijsonderhandeling gestaakt, aangezien er geen aanvaardbare prijs kon worden overeengekomen.

<https://www.rijksoverheid.nl/ministeries/ministerie-van-volksgezondheid-welzijn-en-sport/nieuws/2017/05/23/prijsonderhandelingen-geneesmiddel-voor-cystische-fibrose-beeindigd>

September 2017 – advies niet gewijzigd

De minister van VWS heeft in een brief van 18 augustus 2017 verzocht na te gaan of het eerder afgegeven advies over lumacaftor/ivacaftor (Orkambi®) nog steeds van toepassing is. Zij vroeg het Zorginstituut te onderzoeken of er nog nieuwe gegevens over de effectiviteit voorhanden waren die de hoge kosten konden rechtvaardigen. De minister wilde dit weten voorafgaand aan nieuwe prijsonderhandelingen met de fabrikant. Het Zorginstituut heeft na onderzoek geconstateerd dat de situatie niet anders is en er geen reden is om het advies te herzien.

<https://www.zorginstituutnederland.nl/publicaties/brief/2017/09/22/brief-aan-vws-update-lumacaftor-ivacaftor-orkambi>

Oktober 2017 – 2^e prijsonderhandeling

Opnieuw is de minister gestart met prijsonderhandeling. Ook ditmaal is deze weer gestaakt, aangezien er geen maatschappelijk aanvaardbare prijs is geboden door de fabrikant. Het middel zal niet worden opgenomen in het basispakket. De prijs die Vertex vraagt is veel te hoog in relatie tot de betrekkelijk bescheiden effecten zoals door het Zorginstituut vastgesteld. Bovendien biedt Vertex geen inzicht waarom deze prijs zo hoog zou moeten zijn.

<https://www.rijksoverheid.nl/actueel/nieuws/2017/10/09/prijsonderhandelingen-middel-voor-cystische-fibrose-opnieuw-beeindigd>

Eind oktober 2017 – 3^e prijsonderhandeling leidt tot vergoeding

Voor de derde keer is de minister van VWS met Vertex om de tafel gaan zitten. Na deze laatste onderhandeling heeft zij besloten om het middel Orkambi® voor CF toe te laten tot het basispakket. Met fabrikant Vertex zijn afspraken gemaakt over de prijs. Onderdeel van de prijsafspraken met de fabrikant is dat de details van de overeenkomst vertrouwelijk blijven. Lumacaftor/ivacaftor (Orkambi®) bij cystische fibrose (CF) wordt vanaf 1 november 2017 vergoed uit het basispakket.