

**Advies van de ACP aan de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over de beoordeling van eculizumab bij de behandeling van het atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS)**

De Adviescommissie Pakket (ACP) adviseert de Raad van Bestuur 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 (die ook graag willen dat de behandeling van hun aandoening wordt vergoed) en van premiebetalers. Zij doet dit vanuit het principe dat de basisverzekering maximale gezondheidswinst dient op te leveren voor de gehele bevolking.

De commissie heeft in haar vergadering van 14 oktober 2016 gesproken over de vraag of het geneesmiddel eculizumab bij de indicatie aHUS moet worden blijven vergoed uit de basisverzekering.

De commissie is overtuigd van de therapeutische meerwaarde van dit geneesmiddel voor patiënten en wil daar niets op af dingen. Echter, gezien de onvoldoende methodologische kwaliteit van het kosteneffectiviteitsmodel van de fabrikant en de (door de zeer hoge kosten per patiënt per jaar) overduidelijk zeer ongunstige kosteneffectiviteit bij een levenslange behandeling, vindt zij een negatief advies over de vergoeding van levenslange behandeling van aHUS met eculizumab uit de basisverzekering gerechtvaardigd.

Behandelaren en patiëntenorganisaties hebben onafhankelijk van de producent een onderzoek gestart naar de kosteneffectiviteit van een kortere behandelduur. De verwachting over de uitkomsten van dit onderzoek is dat een kortere behandelduur een veel gunstigere kosteneffectiviteit oplevert. De commissie ziet het belang dat patiënten hebben bij de uitkomsten van het onderzoek, en waardeert het unieke, gezamenlijke initiatief van behandelaren en patiëntenorganisaties om, onafhankelijk van de producent, te streven naar een betere kosteneffectiviteit. De commissie wil dan ook dat het mogelijk blijft om binnen het onderzoeksprotocol eculizumab bij de indicatie aHUS te vergoeden uit publieke middelen. De commissie ziet uit naar de uitkomsten van het onderzoek voor verdere evaluatie.

De commissie vindt dat het hier vertoonde, ongewenst gedrag van fabrikanten (het vragen van bijzonder hoge prijzen zonder goede onderbouwing, ook niet na een eerder verzoek hiertoe; het niet beantwoorden van vragen van het Zorginstituut, het aanleveren van een kosteneffectiviteitsmodel van onvoldoende kwaliteit en het weigeren mee te werken aan een veelbelovend, beter betaalbaar behandelingsregime zoals in Nederland door het, door de minister

erkende, expertisecentrum wordt onderzocht) niet mag worden beloond. Daarom adviseert zij de Raad van Bestuur de Minister de volgende vijf punten mee te geven:

- Laat de fabrikant het onderzoek mee financieren.
- Zorg voor betrokkenheid van de Wetenschappelijke Advies Raad (WAR) bij de inrichting en uitvoering van het onderzoek;
- Stel alle bestaande en nieuwe patiënten die daarvoor in aanmerking komen in de gelegenheid mee te doen aan het onderzoek: maak de vergoeding van de behandeling daarvan afhankelijk;
- Wanneer eculizumab opnieuw ter vergoeding wordt voorgelegd bij een andere indicatie (eerder is eculizumab ook al ter vergoeding voorgelegd bij de indicatie PNH) , is het wenselijk en logisch dat de prijs van het middel voor alle indicaties die reeds zijn toegelaten wordt verlaagd naar rato van de toename van de totale patiëntenpopulatie. Wanneer de fabrikant betoogt dat de hoge prijs voor de eerder toegelaten indicaties nodig is om de investeringen terug te verdienen, dan volgt vanzelf uit de eventuele toevoeging van nieuwe indicaties dat er overwinst geboekt wordt. Een prijsverlaging is dan een rechtvaardige maatregel. Overigens geldt dit ook voor andere (dure) weesgeneesmiddelen waarbij in de loop der tijd voor nieuwe indicaties vergoeding wordt gevraagd.
- In aanvulling op bovenstaande is ook de onderhandeling met het bureau financiële arrangementen geneesmiddelen van VWS een optie.

Tot slot verzoekt de Commissie aan de Raad van Bestuur om de Minister wederom op te roepen bij te dragen aan transparantie van de prijs, ook in andere Europese landen. Tevens is het noodzakelijk om (kosteneffectiviteit) studies zoals nu in Nederland gestart, op Europees niveau uit te voeren. Goede Europese samenwerking is noodzakelijk om dit soort geneesmiddelen, vooral weesgeneesmiddelen, beschikbaar en betaalbaar te houden.