



**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**

J. Zwaap  
T +31 (0)20 797 8808

**Datum**

28 april 2016

**Onze referentie**

ACP 61-2

# verslag

ACP 60  
Vergadering Adviescommissie Pakket

---

Vergaderdatum	22 april 2016
Vergaderplaats	Zorginstituut Nederland, Diemen.
Aanwezig	Marcel Canoy Heleen Dupuis Romke van der Veen (voorzitter)
	Jacqueline Zwaap (secretaris, verslag)
Afwezig	Claudi Bockting Carina Hilders

---

## 5 1 Opening en mededelingen

De voorzitter opent de vergadering en heet alle aanwezigen welkom. Hij meldt dat Carina Hilders en Claudi Bockting vandaag zijn verhinderd.

### 1.1 Mededelingen

10 De secretaris meldt dat er een verzoek om inspraak is gekomen van de Nederlandse Cystic Fibrose Stichting. Mevrouw Noordhoek zal namens de stichting inspreken bij agendapunt 3.

### 1.2 Conflicterende belangen

15 De voorzitter vraagt of er leden zijn die melding willen maken van een potentieel conflicterend belang bij een van de agendapunten. Dat is niet het geval.

## 2 Verslag van de vergadering van 218 maart 2016 (59)

Er zijn geen opmerkingen bij het verslag. Het verslag wordt vastgesteld.

## 20 3 Pakketadvies lumakafto/ivacaftor (Orkambi) bij cystic fibrosis

25 Een medewerker van het Zorginstituut geeft ter introductie een presentatie<sup>1</sup>. Hij merkt op dat partijen nog geen reactie hebben gekregen op de opmerkingen die zij bij de Wetenschappelijke Adviesraad hebben ingebracht, maar dat partijen daar snel een brief over krijgen. Hij heeft de opmerkingen op hoofdlijnen ook verwerkt in de presentatie.

---

<sup>1</sup> De presentatie is als bijlage 1 bij het verslag gevoegd

Naar aanleiding van de presentatie heeft de commissie enkele vragen. De voorzitter vraagt naar de start- en stopcriteria. Het lijkt hem lastig om te bepalen wanneer je stopt wanneer er sprake is van een klein effect. De medewerker antwoordt dat dit zo is. Maar het lijkt theoretisch mogelijk om een groep van 60% van de patiënten te selecteren bij wie de behandeling een groter effect zal hebben. Dit kan met behulp van een biopsie van de darm. Deze test is echter nog geen realiteit. Een ander lid meent dat het altijd een lastig besluit blijft om te stoppen omdat je te maken hebt met patiënten in een niet stabiele toestand. Een ander lid vindt een toename in de longcapaciteit van 2 tot 3% wel heel weinig. De medewerker antwoordt dat dit effect verdund wordt in de hele groep. Maar er is ook sprake van 40% afname van het aantal pulmonale exacerbaties en dat is wel een interessant percentage.

Vervolgens geeft de voorzitter het woord aan mevrouw Noordhoek van de Nederlandse Cystic Fibrose Stichting.<sup>2</sup> Naar aanleiding van de inspraak zijn er enkele vragen en reacties. Een lid vraagt hoe het komt dat niet uit de rapportages blijkt dat dit geneesmiddel onherstelbare schade kan voorkómen. Een medewerker antwoordt dat dit nog niet uit de resultaten is gebleken. Wat niet wil zeggen dat dit in de toekomst niet nog zal kunnen blijken. Het is daarvoor wellicht nog te vroeg. Een ander lid reageert dat hij verbaasd is dat de fabrikant deze positieve effecten dan niet in haar rapportage meldt als die er inderdaad zijn. De inspreker antwoordt dat dit juist de reden is dat zij inspreekt. De fabrikant meet met bepaalde maten die zijn voorgeschreven. Maar er zijn meer maten. Een lid vraagt daarop of de farmaceutische industrie verkeerde maten gebruikt. De inspreker antwoordt dat trials worden opgezet volgens bepaalde regels. De voorzitter vraagt daarop aan de medewerker in hoeverre de effecten waarvan inspreker melding maakt, zijn meegenomen in de beoordeling van de effectiviteit. De medewerker antwoordt dat dit niet in geval is wanneer dit niet is vastgesteld op de wijze die is vereist. Casuïstiek kan als aanvullend bewijs worden ingebracht. De Wetenschappelijke Advies Raad (WAR) neemt in haar beoordeling mee wat wetenschappelijk is bewezen. Wanneer dit middel ervoor kan zorgen dat diabetes verdwijnt, zullen daar eerst publicaties van moeten zijn. Op dat moment kan er een nieuwe beoordeling plaatsvinden.

60

#### *Discussie*

Een eerste lid ziet de voorliggende casus in het perspectief van andere soorten beslissingen die bij de ACP langs komen, zoals eculizumab. Dit geneesmiddel stond de vorige vergadering op de agenda. Daar was de kosteneffectiviteit ook heel ongunstig, maar de effectiviteit was veel groter dan bij lumacaftor/ivacaftor. Dat middel had zelfs invloed op de mortaliteit. Hij kan niet anders dan negatief adviseren, ook al voelt dat niet goed. Zowel de effectiviteit als de kwaliteit zijn belangrijk; het is zeker niet de bedoeling om de QALY referentiewaarde blind toe te passen. Er kunnen redenen zijn om naar boven of naar beneden af te wijken. De vraag is of er hier redenen zijn om af te wijken. De vorige keer waren die er volgens hem, maar het gat dat tussen de berekende kosteneffectiviteit en de acceptabele kosteneffectiviteit was wel heel erg groot. Dat geldt hier ook. En de casus die voor ligt is nog slechter. 360.000 euro per QALY is heel hoog en mogelijk is dit bedrag nog hoger. Het is onbevredigend dat dit niet duidelijk is. Hij kijkt daarvoor naar de sector; die moet haar huiswerk goed doen wanneer zij willen dat hun geneesmiddelen worden aanbevolen. In dit geval is het effect

<sup>2</sup> De inspraaktekst van mevrouw Noordhoek gaat als bijlage 2 bij het verslag

- 80 echter relatief klein wanneer je het afzet tegen de effectiviteit van geneesmiddelen die vorige vergaderingen aan de orde zijn geweest, vindt hij. De voorzitter beaamt dat er ruimte is om af te wijken van de norm, maar daar moet wel een goede reden voor zijn. De commissie moet het publiek kunnen uitleggen waarom er voor dit middel een plek is in het pakket. In dit geval is de effectiviteit echter relatief beperkt en is (mede daardoor) de kosteneffectiviteit zeer ongunstig. Bovendien kan deze nog ongunstiger zijn dan wordt voorgespiegeld omdat het FE onderzoek van methodologisch onvoldoende kwaliteit is.
- 85 Een vorig lid voegt daaraan toe dat de gunstige effecten waar melding van wordt gemaakt nog niet zijn aangetoond. Hij hoopt natuurlijk dat die er inderdaad blijken te zijn voor de patiënt. De voorzitter zou graag zien dat dit soort anekdotes ergens eerder in het proces een plek krijgen. Een volgend lid vraagt zich af hoe zich vertaalt dat iemand geweldig opknapt van het middel. Er zijn veel meer exacerbaties in de placebogroep. Dat getal is aanzienlijk, maar wat stelt dat precies voor? Het lid komt steeds op hetzelfde uit: de consistentie in de adviezen is belangrijk. Het lid hoopt dat de fabrikant hiermee aan de slag gaat. Het product dat de commissie vorige keer besprak kon de dood keren. De prijs van dit middel moet naar 20% van de huidige prijs. De effectiviteit is relatief beperkt. Een
- 95 medewerker reageert dat wel is meegewogen dat het beter is dan niets doen. Een lid reageert dat de ACP niet zegt dat het middel niet effectief is. Anders zou zij het vandaag helemaal niet bespreken. Maar in verhouding tot de geneesmiddelen die eerder in de commissie zijn besproken en waarover zij negatief heeft geadviseerd, is de effectiviteit van dit geneesmiddel gering. Het lid
- 100 ziet geen reden af te wijken van de norm. Daarnaast vindt hij dat er een absurde prijs wordt gevraagd voor het middel. Hij heeft een artikel gelezen waarin staat dat de managers een bonus krijgen wanneer dit product winst gaat maken. Hij moet elke maand constateren dat dit aan de orde is een maakt hier dan ook melding van.
- 105 De voorzitter vat de discussie als volgt samen.
- er is sprake van effectiviteit, al is deze niet heel groot wanneer je het vergelijk met geneesmiddelen waarover in eerdere vergaderingen is geadviseerd. De commissie heeft gekeken of er argumenten zijn om af te
- 110 wijken voor de referentiewaarden voor kosteneffectiviteit;
- de niet onderbouwde kosteneffectiviteit in combinatie met de relatief beperkte effectiviteit maakt echter dat er geen argumenten zijn om af te wijken.
- 115 Een lid merkt op dat ook de consistentie met andere adviezen belangrijk is. In deze context moet de advisering over dit geneesmiddel plaatsvinden.
- De voorzitter merkt verder op dat wanneer er adviezen gegeven moeten worden met zo een grote impact, transparantie heel belangrijk is. een
- 120 belangrijk vraag is hoe reëel deze prijzen zijn. Dat moet een meegever zijn aan de Minister.
- Het vorige lid merkt op dat wanneer de effecten inderdaad zo groot zijn als de inspreker zegt, een herbeoordeling kan worden gedaan.
- 125 De voorzitter merkt op dat door middel van prijsreductie de kosteneffectiviteit binnen aanvaardbare marges kan komen. Een ander lid zou ook meer nadruk willen leggen op prijsverschillen binnen Europa. Spanje heeft een heel ander systeem met betrekking tot orphan drugs. Dat moet je weten. Wanneer je niet

- 130 kosteneffectieve zorg opneemt, kunnen er problemen ontstaan voor andere patiënten. Er is dan sprake van een verdringingseffect. Dat heeft consequenties voor de hele volksgezondheid; die wordt slechter. De commissie heeft hier een opdracht. Zij zit niet zo maar moeilijk te doen.
- 135 De voorzitter voegt toe dat het gebrek aan transparantie ook geldt voor de internationale prijsstelling. Dit maakt publiek geld verdelen moeilijk. Als vierde punt noemt hij dat, als de Minister kiest voor een onderhandelingstraject, er heldere afspraken moeten komen over start- en stopcriteria en er onderzoek moet komen naar de selectie van patiënten die veel baat hebben bij het middel.
- 140 De voorzitter zegt dat de commissie een conceptadvies zal opstellen dat ook wordt voorgelegd aan de twee ontbrekende leden. Daarna gaat het naar de Raad van Bestuur die een advies aan de Minister zal vaststellen.

**Zorginstituut Nederland**  
Pakket

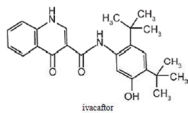
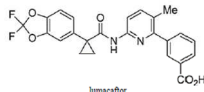
**Datum**  
28 april 2016

**Onze referentie**  
ACP 61-2

#### **4 Rondvraag en sluiting**

Er zijn opmerkingen; de voorzitter sluit de vergadering.

  
**ORKAMBI™**  
(lumacaftor/ivacaftor)  
200 mg / 125 mg tabletts



| Van goede zorg verzekerd |



Zorginstituut Nederland

## Ivacaftor/lumacaftor (Orkambi®) bij cystische fibrose (taaislijmziekte)

Martin van der Graaff  
Saskia Knies  
Hedi Schelleman

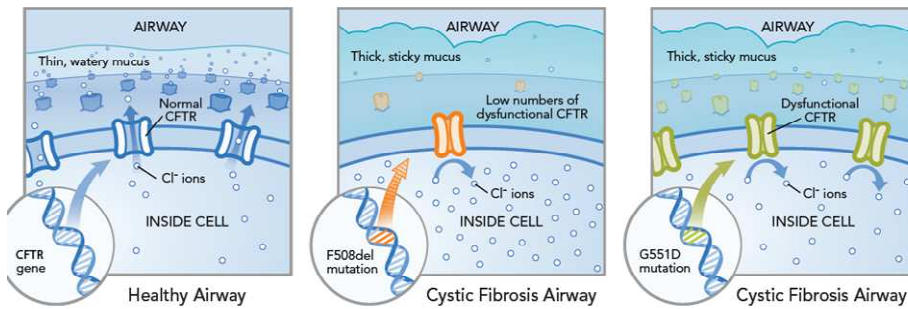
ACP 22 april

## Cystische Fibrose (CF)

- Defect in CFTR-gen dat codeert voor chloridekanalen (een van onze langste genen, dus veel fouten)
- Aantal patiënten met CF in Nederland: 1530
- Aantal patiënten waarvan genotype bekend: 1499
- CF patiënten homozygoot F508del mutatie 12 jaar en ouder: 541
- Patiënten die in aanmerking komen voor Orkambi: 498
- *Nog niet geregistreerd voor: CF patiënten homozygoot F508del mutatie <12 jaar: 243*
  - *Mogelijk off-label gebruik?*

## Gene Mutations in Cystic Fibrosis

Cystic fibrosis (CF) is a genetic disorder, a disease that results from mutations, or errors, in genes.



Genes direct the production of proteins. A normal cystic fibrosis transmembrane conductance regulator (CFTR) gene produces a normal CFTR protein. This protein works like a channel to allow chloride (Cl<sup>-</sup>) ions to move into or out of cells and maintain a thin, watery layer of mucus.

Cystic Fibrosis (SIS-tik fi-BRO-sis)

Mutations in the CFTR gene can create abnormal or too few CFTR proteins, resulting in little to no Cl<sup>-</sup> ions passing into or out of cells and thick, sticky mucus. The most common CFTR mutation, F508del, causes too few or no CFTR proteins to reach the cell surface.

Mutations in the CFTR gene can create abnormal or too few CFTR proteins, resulting in little to no Cl<sup>-</sup> ions passing into or out of cells and thick, sticky mucus. The G551D mutation creates CFTR proteins that reach the cell surface but do not work correctly. This mutation is the most common gating defect and is present in a subset of people with CF.

Zorginstituut Nederland  
Pakket

Datum  
28 april 2016

Onze referentie  
ACP 61-2

150

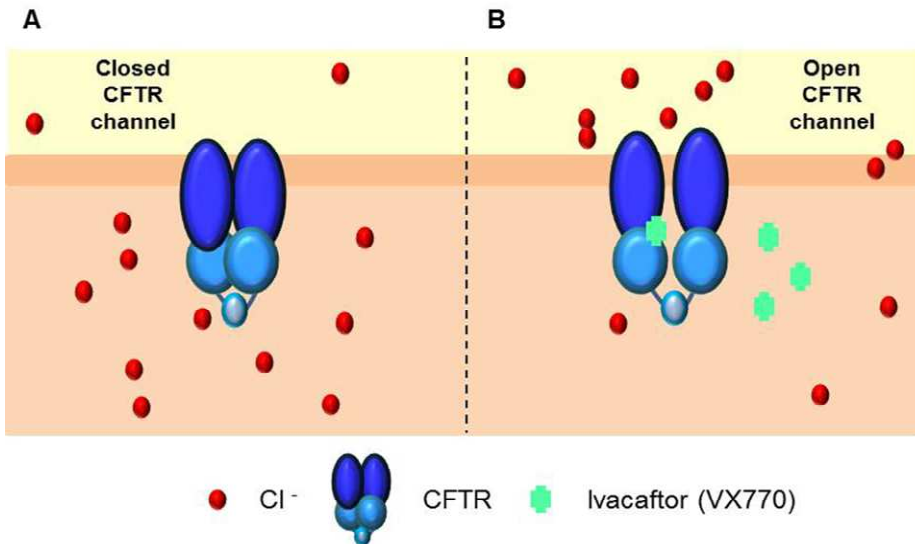
3

## Patiënten en ziektelast

- ziektelast : geen standaardwaarde (0,38 = ernstige luchtweginfecties o.a bij COPD)
- vanwege vele andere comorbiditeiten die ontstaan toch gekozen voor referentiewaarde € 80.000
- mediane levensverwachting ~ 40 jaar
- ppFEV1 voor CF-patiënten met een F508del mutatie:
  - 83,2% (kinderen tussen de 12 en 17)
  - 62,7% (volwassenen)
  - => Studiepopulatie (homozygoot) = 61%

155

5



6

**Ivacaftor—Potentiates CFTR function**

Ivacaftor is a CFTR potentiator that facilitates increased chloride transport by potentiating the channel-open probability (or gating) of the CFTR protein at the cell surface

Chloride ions

Cell membrane

CFTR protein

Cytoplasm

Ivacaftor

Endoplasmic reticulum

Nucleus

Lumacaftor

Vesicle

Golgi apparatus

**Ivacaftor—Improves processing and trafficking of mature protein to the cell surface**

Lumacaftor improves the conformational stability of F508del-CFTR, resulting in increased processing and trafficking of mature CFTR protein to the cell surface



7

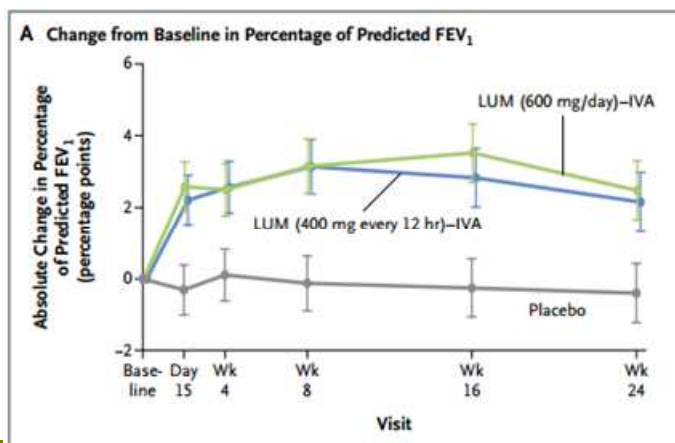


## Registratie en productkenmerken

- (Nog) niet voor kinderen onder 12 jaar
- Twee maal daags twee tabletten
- Uitsluitend homozygote F508del mutatie
- Exclusie: geen longtransplantatie

8

160



9

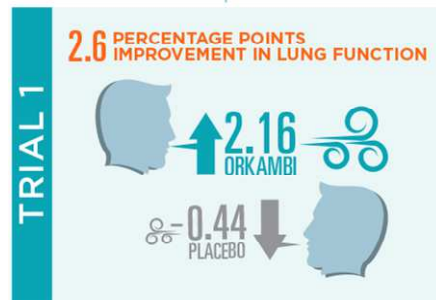




Zorginstituut Nederland  
Pakket

**Datum**  
28 april 2016

**Onze referentie**  
ACP 61-2



10

165



## Standaardbehandeling

- Voorheen standaardbehandeling: best ondersteunende zorg, w

Complicatie	Behandeling
Terugkerende infecties	antibiotica
Verstopingen door taai slijm	Loskloppen; verneveling water; fysiotherapie; ademtherapie
Lage BMI	Dieetadvies, aangepaste voeding

Tegenwoordige standaardbehandeling voor CF (mutatie-afhankelijk):  
oa. ivacaftor (Kalydeco®) en ivacaftor/lumacaftor (Orkambi®)  
Er worden op dit moment ongeveer 40 personen behandeld met  
ivacaftor

11



## Conclusies Pakketbeheer weesgeneesmiddelen (2015)

- Geen principiële redenen om af te wijken van beoordelingssystematiek pakketprincipes
- Referentiewaarden ook van toepassing op weesgeneesmiddelen

12



## Beoordeling effectiviteit obv studie 24 weken

### ***CF patiënten die homozygoot zijn voor F508del-mutatie***

#### *Gunstige effecten*

- Gemiddelde absolute toename van ppFEV1: 2-3
  - (N.B. effect ivacaftor bij G551D mutatie: 11-12%)
- Minder long-exacerbaties
- Beperkte onderbouwing voor:
  - Toename BMI
- Ongunstige effecten
  - dyspneu, diarree en misselijkheid

13



## Conclusie volume en kosten

- Patiënten behandelbaar met Orkambi® : 498 (+ off-label 243)
- Gemiddelde behandelduur : **levenslang**
  
- Kosten per patiënt per behandeling : € **170.000/jaar**
- Kosten per patiënt levenslang : € **2 miljoen**
  
- Totale kosten CF/ F508del homozygote patiënten per jaar:  
**€ 84 miljoen (+ off-label € 41 miljoen)**

14



## Kosteneffectiviteit

- **Model Vertex methodologisch onvoldoende onderbouwd**  
Vertex komt uit op: ICER:~ € **360.000/QALY**

### Conclusie Zorginstituut

- Gunstige schatting (best mogelijke scenario gebruikt door aanvrager)
- Problemen: twijfel over aanname dat lange termijn afname longfunctie langzamer dan BSC
- Mogelijke dubbeltelling in model van gunstige effecten verbetering longfunctie & afname exacerbaties
- Gebruik verouderd model voor bepalen lange termijn overleving

15



## Budgetimpact

- €84-125 miljoen
  - €84 miljoen als volgens de indicatie wordt voorgeschreven (12 jaar en ouder)
  - €125 als alle CF patiënten worden behandeld die homozygoot zijn voor de F508del-mutatie

16

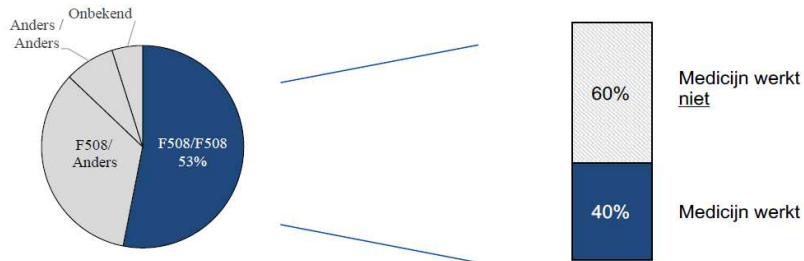
175



## Kosteneffectiviteit

- Het Zorginstituut hanteert hier een referentiewaarde van € 80.000 / QALY
- De kans dat Orkambi® kosteneffectief is bij deze referentiewaarde is 0%
- In het elektronisch model zakt de gemiddelde ICER tot de referentiewaarde van € 80.000 / QALY bij een prijsreductie van Orkambi® van ongeveer 80%

17



Vertex heeft voor het medicijn Ivacaftor/lumacaftor een clinical trial uitgevoerd binnen grootste groep CF patiënten (mutatie 'F508/F508')

Clinical trial heeft aangetoond dat binnen de groep F508/F508 het medicijn bij 60% van de mensen niet werkt (op basis van FEV1 test)



180

### Bijlage 2 bij verslag openbare vergadering ACP d.d. 22



## Toekomstmuziek (minimaal een jaar)

Gebruik organoids om potentiële non-responders op voorhand uit te sluiten.

Probleem: o.a. moment van testen (schommelingen ziekte-intensiteit)

- |   |   |   |
|---|---|---|
| Validatie Organoids voor CF                                   | ▶ | <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ Organoids gevalideerd als companion diagnostics</li> </ul>                                       |
| Vaststellen effectiviteit medicijn bij patiënten obv Organoid | ▶ | <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ Cut-off points organoids voor CF</li> </ul>  |
| Voorkomen onnodig gebruik van niet werkzame medicijnen        | ▶ | <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ Organoids geïmplementeerd in ziekenhuis- en zorgverzekeraars processen (machtigingen)</li> </ul> |





## Vergelijking met andere ICER's

Geneesmiddel	Ziekte last	Kosten/ QALY	Kans kosteneffectief	Budgetimpact (miljoen)	Kosten per patiënt
nivolumab (longkanker)	0.7-0.9	134.000	3%	46-203	46.000
pertuzumab (borstkanker)	0.86	148.824	2%	39.5	78.510
alglucosidase alfa (Pompe klassiek)	0.90	300.000- 900.000		44	700.000
agalsidase alfa en beta (Fabry)	0.35-0.67	3,3 miljoen		15	195.000
alglucosidase alfa (Pompe niet- klassiek)	0.28-0.52	15 miljoen		44	400.000
ivacaftor (CF)	>0.38	~172.000	0%	11	246.000
ivacaftor/lumacaftor	>0.38	~360.000	0%	84-125	170.000

20



## Reactie partijen (appraisal aspecten)

- **Patiënten:**
  - Een middel dat werkt moet vergoed worden: groot effect op levensverwachting en QoL
  - Het wordt toch niet kosteneffectief, dus waarom die moeite voor het FE model?
  - Draagvlak voor heldere stopcriteria
- **Vertex:**
  - Aanvullende analyse voor < 12 jaar zou waarsch. betere resultaten geven dan de nu gerapporteerde
- **Behandelaars**
  - Bezig met kwaliteitsstandaarden CF
  - Ontwikkelen start/stopcriteria

21



## Vergoeding Orkambi® in andere EU-landen

- Europese landen die vergoeden zijn:
  - Nog niet goed bekend, omdat NL en BE vroeg zijn met beoordelen
- EU lidstaten die niet vergoeden zijn:
  - Engeland: NICE vooralsnog not recommended (16 mrt)

22



## Samenvatting

- Voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk
- Kosteneffectiviteit onvoldoende onderbouwd en niet realistisch: € 360.000 /QALY
- Kosten per patiënt per jaar: € 170.000
- Levenslange therapie (gem. € 2 milj./pat.)
- Geschat aantal patiënten: ~ 498 (+ 243)
- **Wat is uw advies?**

23

190 ***Bijlage 2 bij verslag openbare vergadering ACP d.d. 22 april 2016:  
inspraaktekst de mevrouw Noordhoek van de Nederlandse Cystic Fibrose  
Stichting bij agendapunt 3 Pakketadvies lumacaftor/ivacaftor***

195 Ik heb kennis genomen van het aangepaste rapport op de  
website en wil graag verdieping geven aan de beschrijving  
van de impact die Orkambi voor een grote groep mensen  
met CF kan hebben.

200 Eerst een correctie op hetgeen beweerd wordt over de  
organoids. Gesteld wordt dat het moment van afname van  
de organoids, het darmbiopt, van invloed is op de  
resultaten. Dit is onjuist. Het zijn stamcellen die, na 1 x  
afnemen, steeds opnieuw kunnen worden opgekweekt.  
Factoren als infectie en inflammatie spelen daarbij geen rol.

205 Fysiek: ik wil enkele feiten benadrukken die onder- of niet  
belicht zijn gebleven

- 210 - Tussen 12 en 22 jaar leveren mensen met CF nu  
gemiddeld 20 % van hun longfunctie in en dat leidt tot  
onherstelbare schade. Die onherstelbare schade  
wordt met Orkambi voorkomen, waardoor de  
levenskwaliteit en -verwachting enorm toenemen.
- 215 - Bij CF is sprake van bekende co morbiditeit:  
Uiteindelijk ontwikkelt 50 % van de populatie diabetes  
en 20% ernstige leverschade. Vrijwel alle mensen met  
CF hebben darmproblemen. Orkambi heeft, zoals  
bekend een systemische werking. Wij horen van  
220 mensen die aan de trials hebben meegedaan dat zij \*)  
al vrij snel minder of geen insuline meer nodig hebben  
en \*) hun spijsvertering enorm verbeterd, waardoor  
hun chronische obstipatie verdwijnt, buikpijn klachten  
verdwijnen.
- 225 - Mensen die in een trial participeerden rapporteerden:  
voor het eerst in mijn leven word ik wakker zonder het  
gevoel, dat ik de dag niet kan beginnen omdat ik altijd,  
decennia lang, moe ben. En dat effect was er soms al  
binnen een week.



230 Belasting door de behandeling:

- Wij weten uit onderzoek dat de behandeling van CF gemiddeld bijna 3 uur per dag vraagt van patiënten en hun ouders. Wij horen van patiënten dat dit binnen korte tijd kan worden teruggebracht tot een half uur per dag, omdat hun overtollige en taaie slijmproductie normaliseert, waardoor zij niet meer 2 tot 3 maal per dag hoeven te inhaleren, fysiotherapie overbodig wordt

235  
240 - Uit de trials is gebleken dat dat het aantal ziekenhuisopnames significant afneemt. U kunt zich waarschijnlijk voorstellen wat de impact is van een opname van 2 tot 4 weken voor een patiënt, een kind, een volwassene en zijn of haar gezin.

245 - Uit onderzoek is bekend dat angst en depressie bij patiënten met CF, en nog meer bij ouders, veel vaker voorkomt dan in de algemene populatie. De toegenomen levenskwaliteit en de betere prognose zullen ook van invloed zijn op het voorkomen van depressie en angststoornissen.

250

Participatie in de maatschappij:

- Wij hebben opzienbarende verhalen van patiënten gehoord; dat zij sinds het gebruik van Orkambi weer normaal naar school kunnen, veel minder werkverzuim hebben en weer mee kunnen doen met sporten, of jongeren die voor het eerst sinds jaren kunnen uitgaan. En patiënt van 40, die vertelt dat hij een dag door Venetië heeft kunnen lopen. Voor Orkambi zat hij achter de geraniums.

260

Conclusie:

De prijs is hoog, maar de impact zal voor veel patiënten en gezinnen enorm zijn.

265

Ik hoop dat ik u heb kunnen overtuigen van dit belang van

dit medicijn en de noodzaak om nu over te gaan tot vergoeding, waarbij via een prijsarrangement de kosten voor de gezondheidszorg kunnen worden begrensd.

**Zorginstituut Nederland**  
Pakket

**Datum**  
28 april 2016

**Onze referentie**  
ACP 61-2

270

Er is breed draagvlak onder patiënten en zorgverleners om stopcriteria formuleren en op te nemen in de kwaliteitstandaard, waarvan de ontwikkeling na de zomer start. De NCFS is daar nauw bij betrokken.

275

Medio 2017 kunnen de stopcriteria (een jaar na start van de therapie) geïmplementeerd worden, zodat een groep non-responders geëligiteerd kan stoppen met de behandeling en patiënten die er echt baat bij hebben de behandeling, die een grote impact heeft op hun leven met CF, kunnen

280

voortzetten.

Orkambi is voor een hele grote groep patiënten het allereerste middel dat de aandoening oorzakelijk behandelt.

285

We slaan hiermee in de behandeling van deze patiënten een absoluut nieuwe fase in die zal gaan leiden tot een totaal ander levens- en ziekteperspectief. De nieuwe medicijnen zijn voor patiënten 'gamechangers'. Zoals bij iedere innovatie zullen de kosten in het begin hoog zijn, maar is dit een niet te omzeilen stap naar een totaal nieuwe toekomst. De huidige kosteneffectiviteit analyses houden

290

hier nog geen rekening mee. Het verleden heeft geleerd dat innovaties met een dergelijke impact op langere termijn altijd kosten- effectief zijn.