

**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

8 november 2017

Onze referentie

2017050151

verslag

ACP 70
Vergadering Adviescommissie Pakket

Vergaderdatum	27 oktober 2017
Vergaderplaats	Zorginstituut Nederland, Diemen.
Aanwezig	Jan van Busschbach Marcel Canoy Heleen Dupuis Cor Oosterwijk Jos Schols Romke van der Veen (voorzitter) Marcel Verweij Jacqueline Zwaap (ZIN, secretaris, verslag)
Afwezig	Carina Hilders Angèl Link (ZIN, plv. secretaris)

1 Opening en mededelingen

- 5 De voorzitter opent de vergadering en heet alle aanwezigen welkom. Carina Hilders is vandaag verhinderd. Er zullen insprekers zijn bij agendapunten 4 (sluisgeneesmiddel daratumumab) en 5 (monitor geneesmiddelen). De secretaris meldt dat er voor dezelfde agendapunten stukken aan de commissieleden zijn nagestuurd, welke niet meer op de website zijn gepubliceerd. Het gaat om
- 10 respectievelijk een brief van de patiëntenverenigingen over daratumumab en een mail van de Vereniging van Innovatieve Geneesmiddelen over de monitor weesgeneesmiddelen. Er zijn verder geen mededelingen.

15

1.1 *Conflicterende belangen*

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

20 **2 Stukken ter kennisneming**

Er zijn geen opmerkingen over de stukken ter kennisneming.

25 **3 Verslag van de vergadering van 15 september 2017 (ACP69)**

Er zijn geen opmerkingen bij het verslag.

30 **4 Sluisgeneesmiddel: daratumumab (Darzalex®) voor de behandeling van multipel myeloom**

Een medewerker geeft een toelichting bij dit agendapunt aan de hand van een presentatie. Deze is als bijlage 1 bij dit verslag gevoegd. Hij eindigt de presentatie met de vraag of de commissie argumenten ziet om de ongunstige kosteneffectiviteit in dit geval te accepteren, en dus om te adviseren om het middel zonder prijsonderhandelingen tot het pakket toe te laten. De voorzitter vraagt of er vragen of opmerkingen zijn bij deze inleiding vóórdat hij het woord geeft aan de sprekers.

Een lid vraagt binnen welke termijn betere data kunnen worden verwacht. De medewerker antwoordt dat het Zorginstituut daar niet op kan wachten omdat het middel in de sluis zit. De uiteindelijke data kunnen mooier worden of minder mooi. Een ander lid vraagt vervolgens of er plausibiliteit is dat het middel effect heeft op de overleving. De medewerker antwoordt dat deze correlatie inderdaad plausibel is. De voorzitter vraagt of de ICER betrekking heeft op de triplet of op het middel zelf. De medewerker antwoordt dat het gaat om de toegevoegde kosten en toegevoegde effecten. Dus de kosten van de huidige middelen zijn hierin niet mee genomen. Hij voegt toe dat één van de middelen waaraan daratumumab wordt toegevoegd, dexametason, bijna niets kost.

Er vindt enige discussie plaats over wat het betekent voor de beoordeling dat het hier gaat om een toegevoegde behandeling. Een lid antwoordt dat dit in de praktijk altijd het geval is. Als voorbeeld noemt hij de nierdialyse. Alleen kijken naar de ene behandeling wordt wel heel complex. Dat lukt alleen als er nog geen behandeling is. Hoe meer er sprake is van een stapeling van behandelingen, des te lastiger is het de toegevoegde waarde van een behandeling aan te geven. De medewerker geeft aan dat dit ook speelde bij de beoordeling van pertuzumab (behandeling van borstkanker), maar toen werden daar geen vragen over gesteld. De voorzitter geeft aan dat er sprake van voortschrijdend inzicht kan zijn. Een lid voegt daaraan toe dat veel middelen niet zijn beoordeeld. Wanneer je gaat stapelen wordt dat nog extremer. Een ander lid vraagt naar het hoge percentage patiënten dat een lagere kwaliteit van leven heeft als gevolg van bijwerkingen. De medewerker antwoordt dat dit niet zozeer door daratumumab komt, maar door de andere middelen.

Vervolgens geeft de voorzitter het woord aan mevrouw Pauline Evers van de federatie voor kankerpatiënten (NFK) die namens één van haar leden, de stichting Hematon inspreekt. Haar inspraak is bijgesloten als bijlage 2. Tijdens haar

65 inspraak komt zij ook terug op twee punten die in de inleiding aan de orde zijn
geweest. Namelijk op de betekenis van progressievrije overleving (PFS) voor
patiënten en op het feit dat patiënten in deze ernstige situatie veel bijwerkingen
van hun behandeling voor lief nemen. Tot slot vraagt zij de aandacht voor het
lange beoordelingstraject, waarbij ook het Zorginstituut veel tijd nodig heeft om
70 tot een oordeel te komen. Er zijn verder geen vragen voor de insprekerster. De
voorzitter bedankt haar voor haar bijdrage.

Vervolgens nodigt de voorzitter mevrouw Helen Welten en de heer Michel van
Agthoven van Janssen Cilag uit aan tafel. Voordat de heer van Agthoven aan zijn
75 inspraak begint, gaat hij nog even kort in op de discussie in de commissie die net
plaatsvond, namelijk dat in de ICER de kosten zitten van vervolgbehandelingen.
De inspraaktekst van de heer van Agthoven, en de sheet die hij ter toelichting laat
zien, zijn bijgevoegd als bijlage 3 bij dit verslag. De voorzitter vraagt of er vragen
zijn aan de inspreker. Een lid vraagt of de spreker wil zeggen dat het middel in
80 een soort compassionate use arrangement ter beschikking van de patiënt wordt
gesteld in de periode dat het middel in de sluis zit. De heer van Agthoven
antwoordt dat hij hoopt dat het middel snel wordt toegelaten tot het pakket. Na
aandringen van het lid om hier toch meer over te zeggen geeft de heer van
Agthoven aan dat daratumumab als monotherapie al beschikbaar is; in de aanloop
naar de besluitvorming daarover was er ook sprake van compassionate use. Het
85 lid heeft nog een tweede vraag. Een ICER geldt altijd in vergelijking met een
relevant alternatief. Hij vraagt wat er zou gebeuren met het kostenbeslag
wanneer het middel niet vergoed zou worden. De medewerker van het
Zorginstituut antwoordt dat dan nog geschikt kan worden over andere tripletten.
De vraag kan gesteld worden waarom het Zorginstituut daar niets over heeft
90 gezegd. Aan de resultaten is te zien dat daratumumab het beter doet, dus er blijft
een drive om daarover te beschikken.
De voorzitter merkt op dat er in de commissie altijd sprake is van een contextuele
beoordeling; je kan naar het middel sec kijken of breder. In het laatste geval
komt het plaatje er anders uit te zien. Een andere medewerker van het
95 Zorginstituut voegt toe dat Janssen een indirecte vergelijking met andere
combinaties heeft gedaan, maar de opmerking was dat de claim, dat er een
gelijke waarde is ten opzichte van die combinaties, statistisch niet goed is
onderbouwd. Ten tweede merkt hij op dat de ICER ten opzichte van andere
combinaties ook is meegenomen. Het lid bedankt voor het antwoord en zegt dit
100 relevante informatie te vinden.
De voorzitter bedankt de inspreker voor zijn bijdrage en vraagt wie hij als eerste
het woord mag geven in de discussie.

105 Een lid zegt dat de vraag is in hoeverre de 80.000 euro/QALY hier geldt. Er zijn
argumenten voor en tegen een positief advies. Argumenten om hier minnelijk
naar te kijken zijn:

- De ziektelast is goed gewogen;
 - Er is goed nagedacht over stopcriteria;
 - Er is een duidelijk effect op de intermediaire effectmaat.
- 110 Argumenten om hier strenger of kritischer naar te kijken zijn:
- Er is onzekerheid over het effect op de overleving, al zijn er wel redenen

- om dit effect te veronderstellen;
- Er is sprake van een hoge budgetimpact vanwege een hoog volume, hetgeen een hoog risico oplevert.

115

Al deze argumenten overziende is hij redelijk tevreden met het voorgestelde advies, met de aanbeveling om goed naar de prijs te kijken.

120

Een volgend lid sluit zich aan bij de vorige spreker, met enkele toevoegingen. Het advies is consistent met eerdere eigen beoordelingen van (wees)geneesmiddelen. Er is nog een argument niet genoemd, namelijk dat de commissie een hoger gewicht toekent aan behandelingen die mensen genezen en aan behandelingen voor mensen die geen alternatief hebben. Het gaat hier om het verlengen van het leven dat al een slechte kwaliteit heeft. Ook omdat er alternatieven zijn, is er

125 geen reden om boven de 80.000 euro/QALY te gaan zitten. De prijs zal met 70% moeten dalen, suggererend dat dan 80.000 euro/QALY prima is. Hij wil niet het beeld schetsen dat alles daaronder wel prima is. Het gaat hier om een vuistregel. Ten aanzien van het punt van onzekerheid geeft hij aan dat er andere methoden zijn om het risico niet bij de samenleving te leggen, maar bij de fabrikant. Dan is

130 onzekerheid geen minpunt, maar een onderhandelpunt.

135

Een volgend lid is het eens met de vorige leden. Hij meent dat de effectiviteit al een onderdeel is van de ICER en dus al is meegenomen. Het vorige lid reageert dat dit weliswaar zo is, maar dat de commissie heeft gezegd dat de samenleving meer wil betalen voor genezing of voor een toename voor de kwaliteit van leven.

140

Een volgend lid vindt ook dat gekeken moet worden naar arrangementen. Een vorig lid wil wel duidelijk stellen dat het middel bij deze prijs niet kosteneffectief is. Een ander lid voegt daaraan toe dat er geen redenen zijn om boven de grens uit te gaan. Weer een ander lid is het daarmee eens. Het vorige lid is wel verbaasd over de lengte van het onderhandelingstraject. Hij vindt dat de commissie zou moeten opmerken dat de patiënt hier niet de dupe van mag zijn. De onderhandelingen zouden dan korter moeten duren of het middel zou in het kader van compassionate use moeten worden verstrekt.

145

De voorzitter concludeert het volgende. De WAR heeft positief geoordeeld over de effectiviteit en er is nagedacht over stopcriteria. Dan zijn er variabelen die tot een strengere weging leiden: de behandelingen is palliatief, er is veel onzekerheid, er zijn behandelalternatieven en er is sprake van een stapeling van behandelingen.

150 Dit alles maakt dat de commissie niet boven de 80.000 euro/QALY wil gaan zitten. Dat betekent dat er een aanbeveling wordt gedaan om te onderhandelen over de prijs met de toevoeging om dit zo snel mogelijk te doen in het belang van de patiënten.

155

Een lid mist in deze conclusie nog het voorstel voor arrangementen. De voorzitter meent dat dit al in deze samenvatting zit. Een ander lid merkt op dat er sprake is van een wijde range; daar moet ook een opmerking over komen. Tot slot vindt een lid dat er erg in processen wordt geformuleerd. Hij hecht eraan in ieder geval in het advies op te nemen dat het middel niet kosteneffectief is bij deze prijs.

160

De voorzitter bedankt de insprekers en sluit de discussie over dit onderwerp.

5 Monitor weesgeneesmiddelen

165

Een medewerker van het Zorginstituut geeft een korte presentatie ter introductie van het onderwerp. Deze gaat bij het verslag als bijlage 4. De voorzitter vraagt of er vragen zijn. Een lid zegt dat het extra nuttig is vanuit doelgroepen vooruit te kijken en hierbij een relatie te leggen met de Horizon Scanning. Hij vraagt of dat in een volgende monitor een plek zou kunnen krijgen. De medewerker antwoordt dat de scan omgeven is met onzekerheden. Het huidige criterium is dat het gaat om middelen die nu worden vergoed. Het lid heeft verder een vraag over de data. Gaat het om middelen die in de DBC zitten of die als add on worden vergoed? Dat is onduidelijk. De kosten kunnen dus ook heel anders of hoger zijn.

170

De medewerker geeft aan dat alleen weesgeneesmiddelen die als GVS-middel zijn verstrekt of als add-on zijn gedeclareerd zijn meegenomen. GVS-middelen zijn alleen zichtbaar als ze extramuraal zijn verstrekt (GIP; via openbare apotheek) niet als ze intramuraal zijn toegepast. Bij de add ons is zoveel mogelijk gekeken naar indicatie en aanspraak. Het is niet mogelijk om te zien of een middel daadwerkelijk is gedeclareerd; dat kan pas vanaf 2017. De vorige medewerker antwoordt dat het gaat om gedeclareerde gegevens. Inzicht is moeilijk te krijgen. Daarvoor moeten steeds gesprekken worden gevoerd met de beroepsgroep en met fabrikanten. Een volgend lid vraagt naar het Europese motto. Gebeurt dat nu echt? De medewerker antwoordt dat er een grote verscheidenheid is.

175

180

185

De voorzitter vraagt vervolgens Peter Bertens om in te spreken namens de Vereniging voor Innovatieve Geneesmiddelen (VIG). Er zijn geen vragen voor de inspreker en de voorzitter bedankt hem voor zijn bijdrage.

190

De voorzitter constateert dat de inspreker een vraag heeft die het beleid rond weesgeneesmiddelen betreft. Om die vraag te beantwoorden is (beleids)informatie nodig die niet in deze monitor staat. Dat is wellicht iets voor een volgende editie. Hij stelt voor het nu te hebben over de informatie die wel in de monitor staat. Hij vraagt wie van de leden hij als eerst het woord mag geven.

195

Een lid vraagt hoe het nu is met de effectiviteit van de geneesmiddelen bij de ziekte van Pompe en Fabry. Zijn de verwachtingen die er waren uitgekomen? Verder vindt zij dat vanuit het oogpunt van samenwerking het inzien van registers een onderhandelingsseis zou moeten zijn. Tot slot is zij het niet eens met de zin dat je niet wilt terugkomen op een beslissing die is genomen. Daar kan dit soort informatie juist wel een reden voor zijn, vindt zij.

200

Een volgend lid wil iets wat de inspreker heeft gezegd feitelijk corrigeren. Zowel over eculizumab als over orkambi is uiteindelijk een positief besluit genomen. Niet het Zorginstituut neemt een besluit, maar de Minister. Wanneer het besluit uiteindelijk anders is dan het advies, wil dat niet zeggen dat wat het Zorginstituut doet niet effectief is. Hij zou zelfs wel het tegenovergestelde kunnen zeggen.

205

Verder vraagt hij zich af wat wordt bedoeld met "beleid ondersteunen" als doel van de monitor. Dan moet je niet alleen een foto maken, maar ook in analyserende zin iets zeggen. Daar moet het Zorginstituut een keuze in maken.

210 Kiest het voor een foto, dan leidt dat tot vragen bij de commissie en bij de
samenleving. Dus daar moet je of in de monitor iets over zeggen of in een ander
document. Wanneer het doel van de monitor is het beleid te ondersteunen, zou
215 een onderdeel kunnen zijn het weesgeneesmiddel regiem kritisch tegen het licht
te houden, zoals dat nu in Europees verband door DG Sanco gebeurt. Wellicht kan
het Zorginstituut (of VWS) een review plegen op het beleid, nu er bijvoorbeeld
zoveel data zijn over Pompe en Fabry en wanneer het niet voldoet aan de criteria,
moet dat consequenties hebben.

220 Een volgend lid reageert op de vorige sprekers. Hij vindt dat de bal niet alleen bij
het Zorginstituut moet liggen, maar ook bij fabrikanten zelf, bij verzekeraars en
bij de overheid. Om bij de laatste te beginnen, noemt hij twee belangrijke punten:

- Er moet transparantie zijn van registers;
- Expertisecentra moeten worden gefaciliteerd. Nu hoppen zij van project
naar project. Het is belangrijk dat er een nationale infrastructuur komt
voor registers. Daar moet druk op de ketel komen; er worden veel
verwachtingen gewekt.

225 Wat betreft zorgverzekeraars vindt hij dat deze zich minder onverschillig moeten
opstellen. Zij willen niet betrokken zijn bij richtlijnen en hebben ook geen kennis.

230 Een volgend lid komt terug op de casus van Pompe en Fabry. De grenzen die je
nu soms stelt wijken af van wat in deze monitor wordt beschreven. Dat geeft het
gevoel dat je meer solidair bent met sommigen dan met anderen. Het wordt dan
lastig om nu op basis van argumenten vergoeding van daratumumab af te raden.
Ook hij reageert op de uitspraak dat je niet een ingestroomde behandeling wilt
stoppen. Daar schuilt ook een bepaald gevaar in. Als iets niet aan de eisen blijkt
te voldoen, moet je er ook mee kunnen stoppen. De commissie steunt niet dat het
235 onwenselijk zou zijn op een beslissing terug te komen. Dat gebeurt regelmatig.
Een medewerker van het Zorginstituut merkt op dat dit niet een uitspraak is van
het Zorginstituut, maar van zorgverzekeraars. Het gaat hier om de eerste alinea
van hoofdstuk 3.

240 Een volgend lid vindt dat de data over Nederland mooi zijn. Over de andere
landen zou hij wel meer willen weten. Nu staat er alleen of het middel wordt
vergoed. Je zou er ook van willen leren. Een vorig lid reageert dat niet in het
rapport staat dat de Europese Commissie European Reference Networks heeft
ingesteld die gezamenlijke registers opzet en op termijn ook gezamenlijk wil gaan
inkopen.

245 De medewerker van het Zorginstituut antwoordt dat de commissie heeft gevraagd
naar de vergoedingsstatus in andere landen. Zij begrijpt nu dat de commissie
meer wil weten. Daar zal zij meer informatie over verzamelen. Een lid vraagt ook
de BeNeLuxa daarin mee te nemen. De medewerker antwoordt dat er ook
gezamenlijke beoordelingen worden gedaan en gezamenlijk wordt onderhandeld.
250 Zij voegt toe dat dit allemaal aan de voorkant is; je wilt ook gegevens over de
praktijk. Een volgend lid vindt het een waardevol rapport. De discussie gaat
vooral over de inhoud. Als je de gegevens en de context bij elkaar veegt, wordt
het rapport waardevoller.

255 De voorzitter zegt dat, hoewel er geen advies van de commissie hoeft te komen,
hij de belangrijkste punten wil samenvatten.

- Het rapport is er op verzoek van de commissie en die neemt er met waardering kennis van;
- 260 • Het is nuttig het doel van de monitor explicieter te benoemen. Is het echt een monitor of is het meer?
- Het is belangrijk meer informatie te hebben over de prijs en de effectiviteit. Bevorder dat die er op termijn komen;
- 265 • Het document nodigt uit tot beleidsvragen. Het is de vraag of je die in de monitor wil adresseren of dat je monitoren en reflectie op beleid wilt scheiden. In ieder geval moet er apart aandacht zijn voor de beleidsvraag over het weesgeneesmiddelenbeleid. Persoonlijk is hij ervoor dit te scheiden.

270 De voorzitter sluit hiermee de discussie af.

6 Rondvraag en sluiting

De leden maken geen gebruik van de rondvraag. De voorzitter bedankt publiek en leden voor de aanwezigheid en sluit de vergadering.

275 **Bijlage 1 bij verslag vergadering ACP d.d. 27 oktober 2017: agendapunt 4:
pakketadvies daratumumab: Inleidende presentatie Zorginstituut**

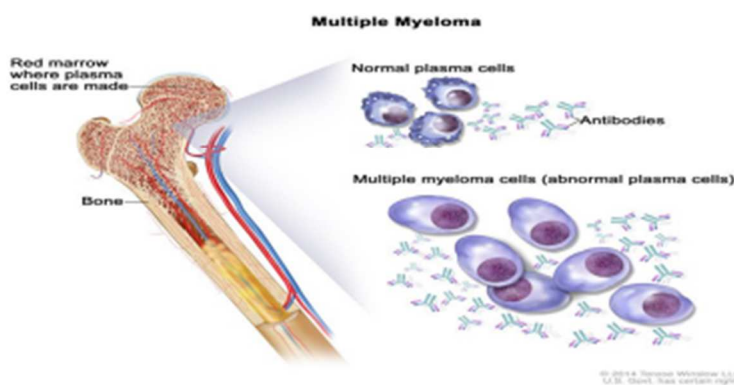
Datum
8 november 2017

Onze referentie
2017050151



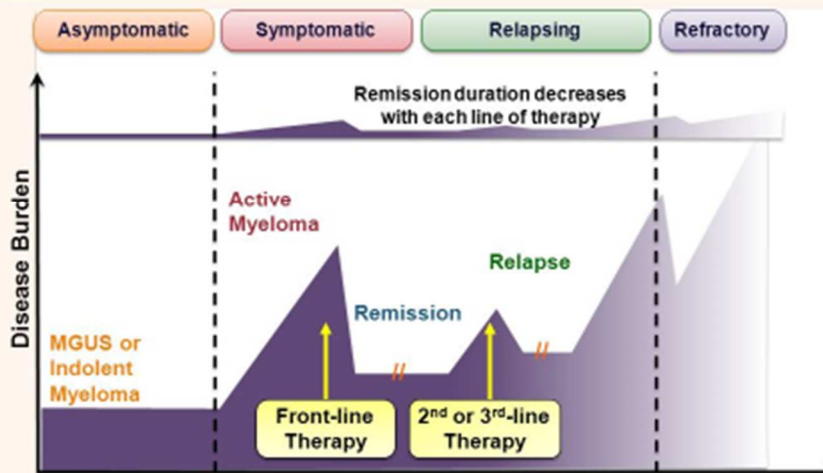


Multipel myeloom



280

MM is Characterized by a Pattern of Remission and Relapse



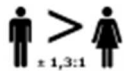
Durie. Concise Review of the Disease and Treatment Options: Multiple Myeloma. International Myeloma Foundation, 2011/2012 edition; Kumar. Mayo Clin Proc. 2004;79:867.



Factsheet multipel myeloom

Zeldzaam

Incidentie: ca. 1100 mensen per jaar



>45 jaar

Meerderheid van de patiënten overlijdt uiteindelijk aan *multi drug-resistente ziekte*.

Levensbedreigende aandoening:

Woekering van plasmacellen in bloedvormend beenmerg

Symptomen:

Botbreuken, beschadiging ruggenmerg, nierschade, bloedarmoede, infecties.

Gemiddelde *overleving* na diagnose:

>7 jaar

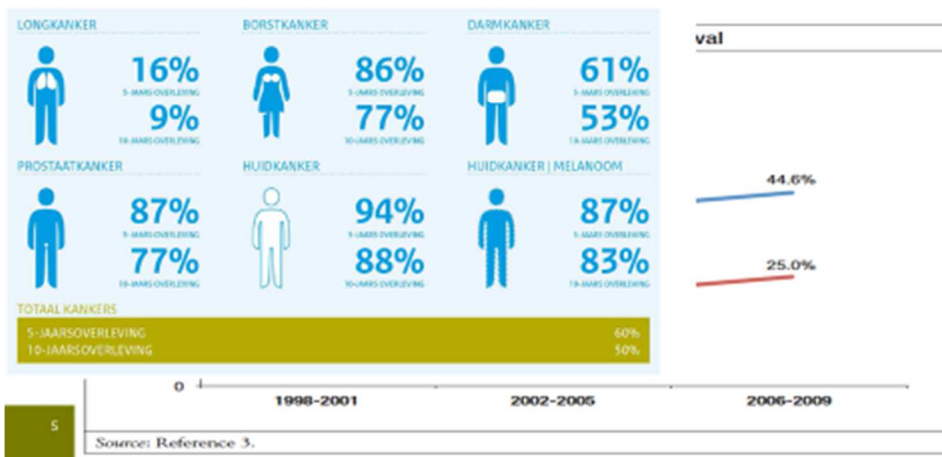
dankzij geboekte vooruitgang in de behandeling

Het ziektebeeld is *heterogeen*:

- Ernst van de klachten;
- Snelheid in het beloop;
- De agressiviteit;
- Duur van het ziektevrije interval.



Verbeterde behandelmogelijkheden



Ziektelast is 0,71-0,79

- Levensbedreigende aandoening: het beïnvloedt het functioneren van het beenmerg, leidt tot botlaesies en veroorzaakt nierfalen.
- Prognose is slechter voor patiënten die recidiveren na de eerste behandellijn.
- Verlies van kwaliteit van leven en de verkorting van levensduur.
- **Obv ziektelast is de referentiewaarde van €80.000/QALY relevant**



Indicatie daratumumab (i.v. infusie)

Voor behandeling van multipel myeloom bij patiënten die hebben gefaald op 1-3 eerdere behandellijnen.

Daratumumab wordt toegevoegd aan de combinatie:

- Bortezomib + dexamethason
- Lenalidomide + dexamethason

De respons op voorgaande behandellijn(en) is bepalend voor de behandelcombinatie waarvoor de patiënt in aanmerking komt.

7

295



Effectiviteit (1/2)

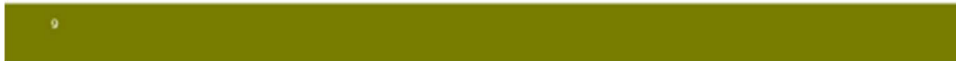
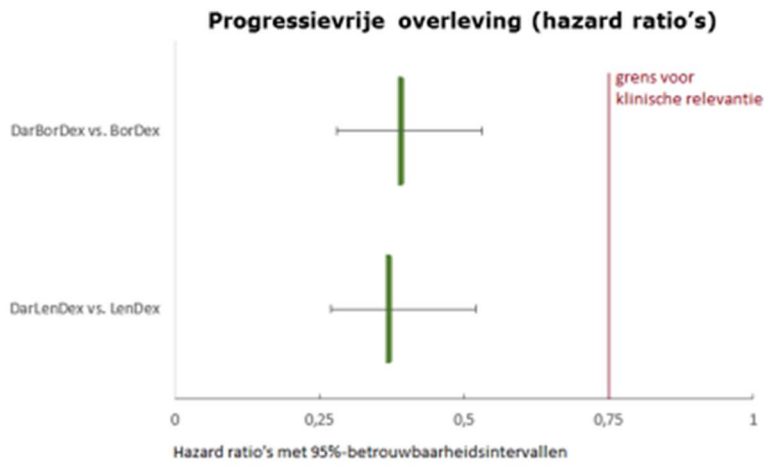
Patiëntrelevante uitkomstmaat (PFS): progressievrije overleving

- langzame beloop van de ziekte
- niet haalbaar om mature algehele overlevingsdata te eisen
- algehele overlevingswinst lastig aan te tonen vanwege de eventuele vervolghandelingen.

Inmiddels update studiegegevens:

Relatie winst in PFS en in winst in algehele overleving lijkt aannemelijk.

8





Effectiviteit (2/2)

	Mediane PFS (95%-BI)	HR (95%-BI)
DarBorDex	N.B. (12,3 – N.B.)	0,39 (0,28 – 0,53)
BorDex	7,2 (6,2 – 7,9)	

	Mediane PFS (95%-BI)	HR (95%-BI)
DarLenDex	N.B. (N.B. – N.B.)	0,37 (0,27 – 0,52)
LenDex	18,4 (13,9 – N.B.)	

7



Ongunstige effecten toevoeging daratumumab

- Geen verandering bijwerkingenprofiel, behalve infusiegerelateerde.
- Wel verhoging risico van aantal bijwerkingen van
 - Bortezomib: perifere neuropathie, cytopenie, infecties
 - Lenalidomide: neutropenie, infecties
- ws geen verhoging frequentie van ernstige bijwerkingen
- In de praktijk echter goed te managen

11



Stand van de wetenschap en praktijk?

Op basis van de gunstige en ongunstige effecten is het volgende geconcludeerd:

toevoeging van daratumumab aan de standaardcombinaties

bortezomib/dexamethason óf
lenalidomide/dexamethason

bij de behandeling van volwassen patiënten met multipel myeloom
die hebben gefaald op één tot drie eerdere behandellijnen

= **stand van de wetenschap en praktijk**



Verwachte volume en kosten

Daratumumab + bortezomib + dexamethason:

- Verwacht aantal nieuwe patiënten per jaar : 158 (129 *)
- Gemiddelde behandelduur : 14,6 maanden
- Kosten per patiënt : €131.328,-

Daratumumab + lenalidomide + dexamethason:

- Verwacht aantal nieuwe patiënten per jaar : 135 (114 *)
- Gemiddelde behandelduur : 35,9 maanden
- Kosten per patiënt : €493.212

* ervan uitgaande dat deel patiënten in studieverband in de 1^{ste} lijn wordt behandeld met daratumumab

13



Meerkosten in 2020 bij introductie daratumumab

Daratumumab + bortezomib + dexamethason:

- Meerkosten (alleen geneesmiddelkosten):
 - €17 * tot €21 miljoen
- Meerkosten (breder perspectief: meenemen infusiekosten)
 - €22 * tot €27 miljoen

Daratumumab + lenalidomide + dexamethason

- Meerkosten (alleen geneesmiddelkosten):
 - €39 * tot €46 miljoen
- Meerkosten (breder perspectief: meenemen infusiekosten)
 - €41 * tot €49 miljoen

* ervan uitgaande dat deel patiënten in studieverband in de 1^{ste} lijn wordt behandeld met daratumumab

14

315



Conclusies kosteneffectiviteit

Analyses methodologisch voldoende, aantal kritiekpunten:
onzekerheid geschatte overleving

daratumumab/bortezomib/dexamethason

- Geen betrouwbare puntschatting mogelijk.
- Range: €56.830/QALY tot €109.742/QALY.

Combinatie daratumumab/lenalidomide/dexamethason

- betrouwbare uitspraak precieze hoogte niet mogelijk.
- Wel zeker dat ICER ruim boven €80.000/QALY
- Schatting Zorginstituut tussen €129.721/QALY tot €338.087/QALY

15

320



Wanneer wel kosteneffectief?

Daratumumab + bortezomib + dexamethason

- Bij hoogst geschatte ICER (= €109.742/QALY) moet prijs met $\geq 30\%$ dalen

Daratumumab + lenalidomide + dexamethason

- Uitgaande van de schatting ICER in base case scenario van €168.663/QALY moet de prijs met circa 70% dalen

16



Gepast gebruik HOVON

- Rationale over de plaats van daratumumab in de therapie.
- De plaats komt overeen met de patiëntengroep waarvoor daratumumab op basis van de beoordeling behoort tot de stand van wetenschap en praktijk.
- Staken behandeling indien geen respons binnen eerste drie maanden.
- Behandeling alleen in ziekenhuizen die de dagbehandeling op orde hebben en beschikken over een goed bloedtransfusiesysteem (moleculaire bloedgroepbepaling).

17

Product met ref. waarde € /QALY 80.000	Kosten-effectiviteit € /QALY	Kans (%) Kosten-effectief	Budget Impact in miljoen €	Kosten in € per patiënt per jaar
Nivolumab Opdivo® long	134.000	3	46 - 203	46.000
Pertuzumab Perjeta® borst	149.000	2	39,5	78.500
Iva- & lumacaftor Orkambi® Cystic fibrose	400.000	0	84 (- 125)	170.000
Agalsidase α, β o.a. Fabrazyme® Fabry	3.300.000	-	15	195.000
Alglucosidase α Myozyme® Pompe	300.000-900.000	-	44	700.000
Eculizumab Soliris® NPH	>480.000	0	25	360.000
Everolimus Afinitor® borst	~60.000	67	20 - 57	60.000
Pemetrexed Alimta® long	92.000 – 116.000	20 - 40	24	11.000
DAR BOR DEX	56.000 – 109.000	-	22 - 27	131.000
DAR LEN DEX	130.000 – 338.000	-	41 – 49	493.000



Conclusie

- Toevoeging van daratumumab aan bortezomib + dexamethason óf lenalidomide + dexamethason

= stand van de wetenschap en praktijk
- De budget impact is hoog (vooral icm lenalidomide)
- Is niet kosteneffectief (vooral icm lenalidomide)
- Gepast gebruik lijkt gewaarborgd
- **Vraag:**
Hoe weegt de ACP deze informatie en tot welk advies komt zij?

19

330

20



Extra dia – Impact parameters op ICER Dar+Len+Dex

Parameter DAR+LEN+DEX	Base Case ICER	Lower Value	Upper Value
OS parameterization DARA-LEN-DEX	€161.320	€356.365	€97.406
OS parameterization LEN-DEX	€161.320	€111.778	€592.419
TTD parameterization DARA-LEN-DEX	€161.320	€133.520	€199.079
Indirect cost: Cost of productivity loss (per week)	€161.320	€161.320	€161.320
Indirect cost: Employment percentage (population)	€161.320	€161.320	€161.320
PFS Utility	€161.320	€164.420	€158.335
PPS Utility	€161.320	€162.574	€160.085

340 **Bijlage 2 bij verslag vergadering ACP d.d. 27 oktober 2017: agendapunt 4:
Inspraaktekst NFK/ Stichting Hematon**

Inspraak adviescommissie pakket 27 oktober 2017

345 **Daratumumab in multipel myeloom**

Pauline Evers Nederlandse Federatie van Kankerpatiëntenorganisaties

Hartelijke dank dat Hematon en de Nederlandse Federatie

350 Kankerpatiëntenorganisaties hun mening mogen geven over het middel Darzalex
of Daratumumab bij de 2e lijns behandeling van multipel myeloom in combinatie
met

- Lenalidomide en dexamethason
- Bortezomib en dexamethason

355 **Therapeutische meerwaarde**

Multipel myeloom is een zeldzame bloedkanker, per jaar komen er zo'n 1100
nieuwe gevallen bij. De afgelopen jaren is de prognose van deze ziekte al aardig
verbeterd met de komst van middelen als lenalidomide en bortezomib die ook in
de eerste lijn ingezet kunnen worden. De 5 jaars overleving is op dit moment
360 50%, maar veel patiënten krijgen een recidief en deze hebben een aanzienlijk
slechtere prognose.

De huidige 2e lijns behandeling bestaat uit lenalidomide of bortezomib, beide
gecombineerd met dexamethason.

365 Het dossier dat vandaag voorligt gaat over de toevoeging van daratumumab aan
deze twee regimens.

In de combinatie met bortezomib neemt de progressievrije overleving (PFS) toe
van 7,2 naar 12,3 maanden met een zeer gunstige HR van 0,39. Voor de
lenalidomide combinatie is mediane PFS nog niet bereikt, die van de controle
370 behandeling bedraagt 18 maanden, ook hier met een zeer gunstige HR van 0,37.
In de DarLendex groep was na een jaar 83 % progressievrij tegen 60 % in de
controle groep. De bijwerkingen zijn in beide gevallen goed te managen

375 Zojuist hoorde ik de vragen die de ACP leden naar aanleiding van de uitleg van
ZINL stelden. Langzaamaan word ik moedeloos van het repeterende karakter van
deze vragen, maar hieronder nogmaals de visie van de kankerpatienten hierop.
De ACP vraagt naar het aantonen van winst in OS. Dit is een vraag die keer op
keer terugkomt als hier oncologische producten besproken worden. natuurlijk
willen patienten graag duidelijkheid over overleving, net als u. Maar in het kader
380 van de beoordeling wil ik hier graag benadrukken dat de eis van het aantonen van
OS winst in de meeste gevallen geen haalbare kaart is. in dit specifieke geval is
de mediane overleving van patiënten met daratumumab monotherapie in 2e en
latere lijn 20 maanden. In een fase 2 studie in voorbehandelde patienten met
Darlendex was 90% na 18 maanden nog in leven. Om een relevant verschil aan te
385 tonen in OS is een studie met langere looptijd nodig. Dat zou een voor patienten
onacceptabele vertraging in toegang tot deze combinaties betekenen.

Daarnaast zijn er dan nog een aantal nieuwe middelen in ontwikkeling dus
patiënten die een recidief op de tweede lijns behandeling krijgen zullen vrijwel
zeker nog verder behandeld worden in studieverband hetgeen de overall survival

- 390 data onbetrouwbaar maakt. Dat is de realiteit in de oncologie waarmee we te maken hebben en waar de ACP dus mee moet werken. Voor patiënten met multipel myeloom is dit middel zeker van toegevoegde waarde.
- 395 Ook wordt hier vaak opgemerkt en zo ook weer vandaag, dat er veel bijwerkingen zijn en de QOL naar verwachting negatief beïnvloed zal worden. Ook dat is niets nieuws onder de zon: ALLE oncolytica hebben veel bijwerkingen en alhoewel de patiënten het graag anders zouden zien nemen zij deze graag op de koop toe als dat hun kans om deze levensbedreigende ziekte te overleven doet toenemen.

400 **Gepast gebruik**

- Hovon geeft in haar behandelrichtlijnen nauwkeurig aan welke patiënten precies voor de behandeling in aanmerking komen. De HOVON en IKNL houden al sinds jaar en dag een register bij voor hematologische kankers. Hierin worden ook gegevens over behandeling en resultaten daarvan bij MM verzameld. Op deze manier kan ook het gepast gebruik van deze nieuwe regimens gemonitord worden.

Kosten

- 410 Uit de budgetimpact analyse en het farma economische rapport blijkt dat de kosten van het middel onacceptabel hoog zijn. Zoals al vaker betoogd is de QALY berekening gestoeld op talloze aannames en op modellering, de vraag is dus hoe betrouwbaar deze cijfers zijn. Bovendien is de spreiding in de gerapporteerde waarde zeer groot. Maar op dit moment is er geen beter instrument voorhanden en de waarde van de QALY zal in elk geval boven de door ZINL gehanteerde grens van 80.000 euro uitkomen. Momenteel wordt daratumumab vergoed in de 3e lijns behandeling van MM. Uiteindelijk zullen door verschuiving van de 3e naar de 2e lijn de kosten voor daratumumab in de 3e lijns behandeling komen te vervallen. Hiermee is in de BIA geen rekening gehouden.
- 420 Voor individuele patiënten is het onverteerbaar als een werkend middel om financiële redenen niet gegeven kan worden. Zij hebben geen boodschap aan kosten en eventuele verdringing van andere zorg. De Nederlandse Federatie van Kankerpatientenorganisaties (NFK) en haar leden staan voor de uitdaging dit belang van de individuele patiënt nu zo goed mogelijk te verenigen met de vraag om toegang tot innovatieve geneesmiddelen in de toekomst.
- 425 Wij zijn dan ook voorstander van prijsonderhandelingen. Natuurlijk heeft dit middel meerwaarde maar de prijs moet wel in verhouding staan tot de opbrengst en dat lijkt uit de qaly niet geheel het geval te zijn.

Tot slot en misschien een beetje buiten de scope van deze meeting

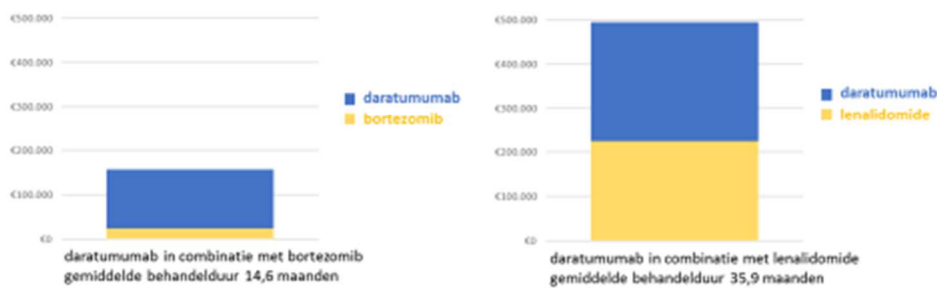
- 430 Inmiddels krijgen we aardig ervaring met middelen in de sluis (er zijn 6 oncolytica die tot nu toe de ACP hebben gepasseerd) en er bestaat in elk geval bij ons als patiëntenorganisatie behoefte om het proces te evalueren. Er gaat veel kostbare tijd verloren in het traject bij ZINL. Waar we in de horizon scan al een jaar van te voren weten wanneer nieuwe middelen op de markt komen en de minister meestal tijdig aangeeft welke middelen in de sluis komen, kan veel eerder begonnen worden met de evaluatie en in sommige gevallen (daar waar het om middelen met hetzelfde werkingsmechanisme in dezelfde indicatie gaat) de procedure wellicht ook bekort worden. Dit vraagt naast inzet van ZINL ook van fabrikanten dat zij eerder een dossier aanleveren en van de beroepsgroep dat zij in een eerder stadium beoordelen.
- 440 Als er nog vragen zijn wil ik die graag beantwoorden.

Bijlage 3 bij verslag vergadering ACP d.d. 27 oktober 2017: agendapunt 5:
Inspraaktekst en sheets Janssen Cilag

Datum
8 november 2017

Onze referentie
2017050151

Kosten van de behandeling van daratumumab in combinatie met bortezomib of lenalidomide

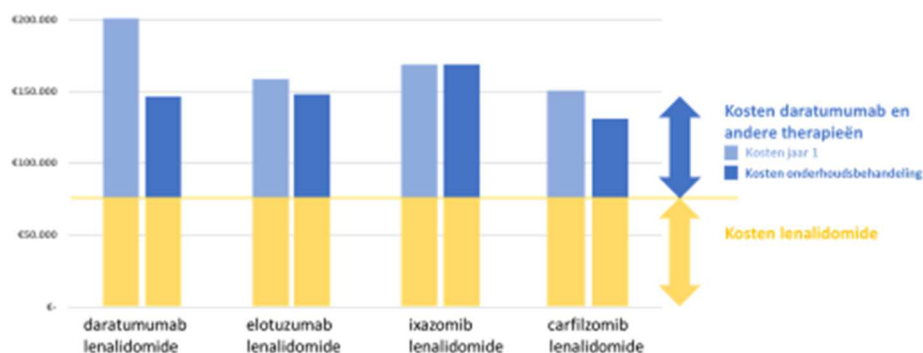


© Janssen-Cilag B.V. 2017

Dateringen op basis van SmPC daratumumab
Aanname gemiddeld gewicht patiënt: 75 kg, 20% secundaire progressie daratumumab
Gemiddelde behandelduur over extrapolatie, 20% secundaire progressie daratumumab
Prijsen op basis van AP-prijzen, data september 2017

janssen  2

Kosten daratumumab in combinatie met lenalidomide vs. andere beschikbare therapieën in combinatie met lenalidomide



© Janssen-Cilag B.V. 2017

Dezertiger op basis van SPC's daratumumab, elotuzumab, ixazomib, carfilzomib
Aanname gemiddeld gewicht patiënt: 75 kg, DIX beoefendingsrapporten daratumumab
Prijzen op basis van AP-prijzen, t/m september 2017

janssen 3

450 Dank voor de mogelijkheid om namens Janssen te spreken over daratumumab, een geneesmiddel waarvan overigens een belangrijk deel van de ontwikkeling heeft plaatsgevonden in Nederland.

Ons standpunt betreft drie onderwerpen:

1. Toegevoegde waarde.
2. Kosteneffectiviteit en budgetimpact.
- 455 3. Overleg met veldpartijen en ministerie.

Ik licht deze punten als volgt toe.

1. Toegevoegde waarde

460 Wij zijn verheugd dat de WAR concludeert dat daratumumab als combinatietherapie een grote toegevoegde waarde heeft. Zoals de WAR stelt: er is sprake van een grote vermindering van de kans op ziekteprogressie en het is aannemelijk dat deze zich vertaalt in een algehele overlevingswinst, daar heeft u al over gesproken.

465 Graag benadruk ik dat er de afgelopen jaren sowieso indrukwekkende vooruitgang is geboekt bij de behandeling van MM. We zagen in de slides van de heer van der Graaf dat de gemiddelde overleving tegenwoordig op 7 jaar ligt, dankzij nieuwe behandelingen. Ik zou zelf graag het volgende in herinnering roepen. Toen 10 jaar geleden ons eerste geneesmiddel voor de behandeling van

470 MM, bortezomib, door de toenmalige CFH behandeld werd, spraken we nog van
een veel slechtere overleving voor deze patiënten dan vandaag de dag het geval
is. Ik citeer letter uit het CFH-rapport 07/30: "*Uiteindelijk leeft [slechts (red.)]
ongeveer 25% van de patiënten langer dan 5 jaar, terwijl na 10 jaar minder dan
5% nog in leven is*". Dat is dus de vooruitgang die we met zijn allen hebben
geboekt! 7 jaar inmiddels. Naar verwachting zullen de drievoudige
475 combinatietherapieën, die de toekomst hebben bij de behandeling van MM, de
gemiddelde overleving nog verder laten stijgen.

2. Kosteneffectiviteit en budgetimpact

480 Wij zien natuurlijk ook dat de kosteneffectiviteit van deze combinatietherapieën
op dit moment lastig in te schatten is. Zoals ook de WAR concludeert, komt dat
voornamelijk door het feit dat er nog relatief weinig gegevens zijn over de lange
termijn overleving. Gedurende de follow-up van het klinisch onderzoek met
daratumumab zijn er gelukkig relatief weinig patiënten overleden. Daarom
moesten er in de economische modellen aannames gedaan worden.

485 Het is al wel duidelijk dat de effectiviteit van daratumumab het grootst is
wanneer het wordt gegeven in combinatie met andere geneesmiddelen. Dat
betekent dat ook de kosteneffectiviteit van deze combinatiebehandelingen
afhankelijk is van meer dan alleen de kosten van daratumumab alleen (zie slide
1). Dat kunt u zien op de slide die op dit moment op het scherm wordt getoond,
waarin links de kosten van de combinatiebehandeling daratumumab en
bortezomib wordt weergegeven en rechts de kosten van de
490 combinatiebehandeling daratumumab en lenalidomide.

Om op de discussie van zojuist terug te komen: Het gaat dus inderdaad om de
toevoeging van de kosten van daratumumab, maar omdat deze behandeling een
synergistisch effect kent met lenalidomide, wordt ook de behandeling met
lenalidomide langer, ten opzichte van een vergelijkende behandeling met
495 lenalidomide en dexamethason alleen. Dat is een belangrijk gegeven en dit is
meegenomen in de berekening van de ICER. Ook heeft dhr. van der Graaf net
laten zien dat de behandeling van MM wordt gekenmerkt door opeenvolgende
behandelingen. En in de ICER zijn dus ook de kosten van die
vervolgbehandelingen meegenomen. Dat is ook een belangrijke toevoeging op
500 de discussie van zojuist.

Wij realiseren ons dat pakkettoelating van een behandeling met een grote
toegevoegde waarde en een hoge prijs gepaard kan gaan met een substantiële
budgetimpact. Maar wanneer daratumumab niet vergoed zou worden, zullen
patiënten behandeld worden met andere recent geïntroduceerde
505 combinatietherapieën, die niet in de zgn. pakketsluis zitten. Te zien is (slide 2)
dat deze combinatietherapieën, ixazomib, elotuzumab en carfilzomib, wel een
vergelijkbaar kostenbeslag hebben. Op de slide die wordt getoond, ziet u voor
vier verschillende combinatietherapieën telkens twee balkjes: de kosten van jaar
1 en jaar 2, waarbij in het blauw wordt weergegeven de kosten van
510 daratumumab, elotuzumab, ixazomib en carfilzomib. En onder in het geel
telkens de kosten van datgene waarmee deze middelen worden gecombineerd,
namelijk lenalidomide.

3. Overleg met veldpartijen en het ministerie

515 Wij wisten natuurlijk dat deze behandeling met een bepaalde verwachte budget
impact gepaard zou gaan en dat er, terecht, een wens zou zijn, tot het opvolgen
van gepast gebruik. Daar zijn goede afspraken voor nodig. Daarover is Janssen
al twee jaar in overleg met verschillende veldpartijen, waaronder de HOVON en
de zorgverzekeraars. Door de beslissing van de minister om de sluis toe te
520 passen voor daratumumab, zullen we nu graag verder praten met het ministerie
over de kosten en de vergoeding van dit geneesmiddel. Daarnaast maken wij
met de veldpartijen afspraken over goed en doelmatig gebruik.

Concluderend kunnen we het volgende zeggen:

- 525 1. Daratumumab heeft een grote toegevoegde waarde, wat naar
verwachting zal leiden tot verdere verbetering van de overlevingskansen
voor patiënten met MM.
2. De kosteneffectiviteit is dankzij de goede behandelresultaten moeilijk in
te schatten, en niet alleen afhankelijk van de prijs van daratumumab.
- 530 3. Janssen gaat graag zo snel mogelijk in gesprek met het ministerie, zodat
de patiënten op korte termijn behandeld kunnen gaan worden met deze
waardevolle combinatiebehandeling.

**Bijlage 4 bij verslag vergadering ACP d.d. 27 oktober 2017: agendapunt 5:
Monitor weesgeneesmiddelen: Inleidende presentatie Zorginstituut**

Datum
8 november 2017

Onze referentie
2017050151



| Van goede zorg verzekerd |



Aanleiding monitor weesgeneesmiddelen

Rapport pakketbeheer weesgeneesmiddelen (okt. 2015).

Een weesgeneesmiddelen-arrangement bestaat uit:

- een **indicatiecommissie**;
- (door)ontwikkeling van **start- en stopcriteria**;
- opzetten van of aansluiten bij een **onafhankelijk (internationaal) register**.

2



Inhoud rapport

- Kosten & volume 2012 – 2015.
- Expertisecentra Pompe & Fabry.
 - Beleid zorgverzekeraars.
- Vergoedingsstatus Europese landen.



3



Kosten en volume I

Tussen 2012 en 2015: stijging van 31% van €173 miljoen naar €226 miljoen.

Peildatum 2015:

Vergoede bedrag per verzekerde per jaar	Aantal
Tot €15.000	14
€15.000 - €50.000	12
Meer dan €50.000	14

Idursulfase (Elaprase ®) is met €618.000 per patiënt per jaar het duurst (peildatum 2015).

- Aantal weesgeneesmiddelen met marktautorisatie in 2015: **67**.
- Van **27** middelen geen gegevens. **40** geneesmiddelen wel. (Daarom: totaal 40).

4



Kosten en volume II

Jaarlijks vergoede totaalbedrag	Aantal
Tot €10 miljoen euro	36
Tussen €10 miljoen en €40 miljoen	3
Meer dan €40 miljoen	1

Alglucosidase alfa (Myozyme ®) is het duurst met **€56 miljoen euro**.

- **Weinig concurrentie** na afloop periode van 10 jaar marktexclusiviteit.

5



Inschatting financiële risico's door VWS

Kostenbeslag per jaar	
Laag	€0 - €10 mln.
Midden	€10 - €40 mln.
Hoog	>€40 mln.

Kosten per behandeling per jaar	
Laag	€0 - €15.000
Midden	€15.000 - €50.000
Hoog	>€50.000

3* aspect is: onzekerheid voorschrijfgedrag. Classificatie is van toepassing op middelen uit de horizonscan.

545

6



Financiële arrangementen

Lopende extramurale (GVS) financiële arrangementen

Stofnaam	Merksnaam	Datum ingang vergoeding	Datum einde arrangement
Pirfenidon	Esbnet ®	1 april 2014	31 december 2017
Nintedanib	Ofev ®	1 november 2015	31 december 2017
Tvacaftor	Kalydeco ®	1 juni 2015	31 december 2018

Lopende financiële arrangementen intramurale (ziekenhuis) geneesmiddelen

Stofnaam	Merksnaam	Lopend financieel arrangement sinds	Datum einde arrangement
Alglucosidase alfa	Myozyme ®	1 januari 2014	31 december 2019
Agalsidase alfa	Replagal ®	1 januari 2014	31 december 2017
Agalsidase beta	Fabrazyme ®	1 januari 2014	31 december 2017

* Selectie: alleen middelen die opgenomen zijn in de monitor.

7

Datum
8 november 2017

Onze referentie
2017050151



Hoog en middel op basis van vergoeding per verzekerde

Rang 2013 (2014)	ATC	merknaam	stofnaam	datum markt-introductie	datum einde 10 jaar markt-voetbaltest	ICD 10	Vergoed per verz.	risicogroep (zie tabel #)
1 (2)	A16AD05	Clonoxal	Idoxudifase	08-01-2007	10-01-2017	IV	616	hoog
2 (11)	A16AD06	Nafazyne	Galudifase	26-01-2006	26-01-2016	IV	532	hoog
3 (3)	A16AD07	Nafazyne	Aljastofine a/f	31-09-2006	31-09-2016	IV	448	hoog
4 (3)	L04AC23	Sakro	Ecolomax	20-06-2007		III	300	hoog
5 (4)	A16AD06	Aldazyne	Lamnidone	12-06-2005	12-06-2015	IV	281	hoog
6 (7)	A16AD03	Relejal	Agalidone a/f	07-06-2001	07-06-2011	IV	204	hoog
7 (1)	A16AD12	Vincos	Etsaflone a/f	28-06-2014		IV	180	hoog
8 (10)	A16AD04	Pabrazyne	Agalidone b/f	07-06-2001	07-06-2011	IV	172	hoog
9 (8)	A16AD10	Vinvi	Valgluceras a/f	26-06-2010		IV	161	hoog
10 (9)	A16AD02	Cerazyne	Iziflaserone	17-11-1997		IV	160	hoog
11 (6)	R07AD02	Kalydeco	Ivacafar	23-07-2012		IV	141	hoog
12 (33)	A16AV06	Zevaca	Miglustat	28-01-2009		IV	121	hoog
13 (33)	A16AA06	Carbagis	Carbamazepaar	28-01-2005	28-01-2015	IV	98	hoog
14 (33)	N07X008	Vyndogel	Tafamidis	16-11-2011		IV	82	hoog
15 (34)	A16AV04	Orfidin	Nitrogene	24-02-2008	24-02-2018	IV	46	midde
16 (35)	A16AV07	Kavas	Sapropterine	02-12-2008		IV	39	midde
17 (36)	H01AX01	Semavert	Papulaamant	18-11-2002	18-11-2012	IV	39	midde
18 (37)	B01BX04	Nofate	Komplison	04-02-2009		III	31	midde
19 (37)	C02XD04	Ossamir	Miacimoran	20-12-2013		IX	28	midde
20 (1)	L04AC11	Sylvac	Sibutramin	22-09-2014		II	26	midde
21 (1)	B01AX01	Delfalis	Dekketide	18-10-2013		XI	25	midde
22 (38)	C02XD01	Traclear	Bosentan	17-09-2002	17-09-2012	IX	25	midde
23 (39)	C02XD02	Voldris	Ambipentan	21-06-2008		IX	24	midde
24 (37)	H01AC03	Incretin	Maccosetine	03-06-2007		IV	23	midde
25 (36)	N07X008	Pinleppa	Amifampridine	23-12-2009		VI	22	midde
26 (32)	B01AC11	Ventavo	Isipras	18-09-2003	18-09-2013	IX	20	midde

B

550

555



Expertisecentra

Fabry: AMC.

Pompe: Erasmus MC.



- + Indicatiecommissie.
- + Actief op het gebied van ontwikkeling start- en stopcriteria.
- + Register.
- + Werken internationaal samen.

Werkwijze vertoont veel gelijkenissen met een formeel weesgeneesmiddelen-arrangement.

Aanbeveling: voorbeeld voor toekomstige weesgeneesmiddelen-arrangementen.

9



Beleid zorgverzekeraars

- Nacalculatie.
- Vrijwel geen discussie met patiënten / artsen over vergoedingsstatus.
 - Geen machtigingen.
- Wel toetsing op rechtmatigheid en doelmatigheid.
 - Inkoop verloopt via UMC's.

Aanbeveling = met oog op hoge kosten blijvend aandacht houden voor start- en stopcriteria en gepast gebruik.



10



Europees perspectief

Zoom op middelen bij ziekten van Pompe en Fabry.



'In verscheidenheid verenigd' (motto Europese Unie 2002).



Vragen?



575 **Bijlage 5 bij verslag vergadering ACP d.d. 27 oktober 2017: agendapunt
5: monitor weesgeneesmiddelen: Inspraaktekst VIG**

Geachte leden van de ACP,

580 Allereerst hartelijk dank voor de mogelijkheid om op zulk korte termijn een paar
woorden tot u te richten over de concept monitor weesgeneesmiddelen. We zullen
ons technisch commentaar bewaren tot de consultatieronde die volgens de derde
pagina van de oplegnotitie van het vergaderstuk nog zal volgen. Voor nu in de
discussie van uw Adviescommissie zou ik graag het volgende ter sprake willen
brengen.

585 Op de pagina's 12 en 13 van de concept monitor wordt beschreven dat sinds de
invoering van het nieuwe weesgeneesmiddelenbeleid van het Zorginstituut (in
oktober 2015) alle beoordeelde aanvragen voor vergoeding van
weesgeneesmiddelen zijn afgewezen. Ondanks deze opvallende observatie wordt
590 niet de logische vervolgvraag gesteld of het nieuwe weesgeneesmiddelenbeleid
dan wel naar behoren functioneert. Men zou de conclusie kunnen trekken dat het
nieuwe beleid (door wat voor reden dan ook) zijn doel voorbij schiet en leidt tot
het consequent niet toelaten van nieuwe weesgeneesmiddelen tot het verzekerde
pakket. Dat zou zeer zorgelijk zijn. Een meer gedetailleerde evaluatie van het
595 nieuwe weesgeneesmiddelenbeleid is volgens ons dan ook op zijn plaats. Wij
willen de vraag of het nieuwe weesgeneesmiddelenbeleid goed functioneert dan
ook graag hier aan de orde stellen.

600 Ik kan u melden dat wij bij de Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen een
dergelijke evaluatie zelf intern al gestart zijn. Wij hebben onze leden gevraagd
naar hun ervaringen met het nieuwe beleid en naar zaken die in hun ogen
verbeterd zouden moeten worden, zowel procedureel als inhoudelijk. Wij hopen
dat wij de resultaten van deze interne evaluatie voor het einde van het jaar met
het Zorginstituut kunnen bespreken.

605 Een ander punt dat we zouden willen opmerken is dat het voor de discussie
waardevol is als we ook weten hoeveel patiënten aan een bepaalde zeldzame
aandoening leiden. In bijlage 4 staat een uitgebreid overzicht van kosten van
weesgeneesmiddelen en de hoeveelheid patiënten die deze middelen krijgen. Een
610 kolom met aantallen patiënten in Nederland kan veel antwoord geven op de vraag
of alle patiënten ook de beschikking krijgen over de geneesmiddelen en daarmee
een optimale behandeling krijgen.

615 Voor nu zou ik u als Adviescommissie Pakket willen vragen hoe uw mening is ten
aanzien van het functioneren van het huidige weesgeneesmiddelenbeleid en het
Zorginstituut te adviseren om het (sinds 2015) actuele weesgeneesmiddelenbeleid
te evalueren.

620 Dr. Peter Bertens
Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen