



WAR CG notulen pentosanpolysulfaatnatrium (Elmiron®)

pentosanpolysulfaatnatrium (Elmiron®), eerste bespreking

23 maart 2020

FT rapport

Een WAR lid benoemt dat er inderdaad nog onvoldoende effectiviteitsdata van blaasinstillatie zijn en dit niet kan worden gebruikt als vergelijkende behandeling. Een vergelijking met placebo is valide maar dit beperkt natuurlijk wel de interpretatie van de effecten van PPS-Na. Voor een ander WAR lid was de argumentatie hiervan nog niet helemaal duidelijk. Dit zal door het Zorginstituut worden aangescherpt in het FT rapport. De WAR-leden geven aan het eens te zijn met de gekozen (subjectieve) uitkomstmaten en het excluseren van de studies van Holm-Bentzen et al. 1987 en Nickel et al. 2015 vanwege het includeren van een bredere patiëntengroep op basis van multifactoriële kans op bias resp. dat een subgroep analyse niet te maken is en GRA niet is toegepast als primair eindpunt. Waarbij de inperking van de indicatie van PPS-Na tot een soort "high-risk" populatie op basis van de huidige gegevens terecht lijkt. De WAR-leden kunnen zich vinden in de berekeningen van de RRs, hoewel allen een bewijs hebben van middelmatige kwaliteit (betreft effectiviteit: GRA, pijn en aandrang). Een WAR lid merkt op dat in een sensitiviteitsanalyse waarin studies met hoog risico op bias worden geëxcludeerd nog steeds een gunstige RR geven met daarmee een gunstig klinisch relevant effect op het aantal patiënten met minstens 50% verbetering in symptomen van PPS-Na tov placebo. Een ander WAR lid benoemt dat het natuurlijk lastig blijft om een behandeling te beoordelen uitsluitend op subjectieve criteria, maar hardere eindpunten zijn niet te verkrijgen en vanuit patiënten en beroepsgroep wordt dit eindpunt wel herkend. Mede gezien de medical need en het positief effect op de patiënt gerapporteerde kwaliteit van leven aspecten heeft PPS-Na een meerwaarde.

Conclusie: de WAR kan zich vinden in de discussiepunten en de conclusie in het FT-rapport.

BIA rapport

Een WAR lid benoemt dat de budgetimpact duidelijk onder de €10 miljoen blijft. Vanwege het onzekere aantal patiënten dat in aanmerking komt voor behandeling, kan een extra scenario op basis van andere schattingen overwogen worden. Er staat een zin in de BIA die inconsistent is met het FT rapport, dit betreft de blaasspoelingen als vergelijkende behandeling. Blaasspoelingen zitten momenteel in de voorwaardelijke toelating en zijn voornamelijk niet bewezen effectief. Er lijkt geen rekening te zijn gehouden met de regel dat patiënten instromen na een half jaar, hierdoor valt de budgetimpact nog lager uit. Er wordt opgemerkt dat in de scenarioanalyses de ICER volgens de registratiehouder nog is aangehouden, het zou inzichtelijker zijn om dit ook aan te passen.

Conclusie: de WAR kan zich vinden in de aannames en de berekeningen in de BIA.

Zorginstituut Nederland
Onze referentie
2021006623