

Zorginstituut Nederland
Zorg I
Oncologie
Willem Dudokhof 1
1112 ZA Diemen
Postbus 320
1110 AH Diemen
www.zorginstituutnederland.nl
info@zinl.nl
T +31 (0)20 797 85 55

verslag

89
Adviescommissie Pakket

Datum
14 december 2020

Onze referentie
2020054027

Omschrijving	Adviescommissie Pakket
Vergaderdatum	11 december 2020, 11.00 uur
Vergaderplaats	Videoconferentie vanwege Covid-19
Aanwezig	Romke van der Veen (voorzitter) Jan van Busschbach Marcel Canoy Hans Gelderblom Carla Hollak Cor Oosterwijk Jos Schols Jacqueline Zwaap (secretaris) Angèl Link (plv. secretaris, verslag)
Afwezig	Carina Hilders Marcel Verweij

1 Opening en mededelingen

- 5 De voorzitter opent de vergadering en meldt dat Marcel Verweij en Carina Hilders zijn verhinderd. De secretaris meldt dat er nog een aantal stukken zijn nagezonden aan de commissie. Deze stukken zijn ook nog toegevoegd aan de website. Het betrof een email van de fabrikant van mexiletine, waarin werd aangegeven dat de NHS Schotland na prijsonderhandeling is overgegaan tot vergoeding van Namuscla®, en een document met daarin aanvullende informatie over de kosten van de behandeling van multipel myeloom. Cor Oosterwijk geeft 10 aan dat hij de directeur is van de patiëntenorganisatie VSOP, maar er geen sprake is van belangenverstremgeling met de middelen op de agenda. De voorzitter vraagt of er sprake is van belangenverstremgeling bij één of meer van de agendapunten bij de andere leden. Carla Hollak geeft aan dat zij niet aan de 15 discussie over mexiletine zal deelnemen gezien haar betrokkenheid bij dit dossier.

2 Verslag van de vergadering van 27 november 2020 (88)

Er zijn geen opmerkingen bij het verslag.

20 3 Stukken ter kennisgeving

Er zijn vragen naar aanleiding van de stukken ter kennisgeving.

25 **4 Sluisgeneesmiddelen bij patiënten met multiple myeloom**

De voorzitter geeft de medewerkster van het Zorginstituut de gelegenheid om het onderwerp in te leiden. Zij doet dit aan de hand van een presentatie (bijlage 1 (PM)). De voorzitter dankt de medewerkster en vraagt de leden of zij nog vragen hebben. Er zijn geen vragen. De voorzitter nodigt Hans Scheurer uit namens de patiëntenvereniging Hematon om in te spreken. Pauline Evers, namens de patiëntenorganisatie NFK, is eveneens aanwezig om eventuele vragen van de commissie te beantwoorden. De inspreektest is bijgevoegd als bijlage 2. Er is bij de insprekers geen sprake van conflicterende belangen. De commissie heeft geen vragen voor de insprekers. De voorzitter bedankt de insprekers en nodigt Pieter Sonneveld uit om in te spreken. Hij bevestigt dat hij inspreekt namens de beroepsgroep. Op de vraag of er sprake is van conflicterende belangen antwoordt hij dat hij voorzitter is van de myeloom werkgroep van de HOVON, en ook voorzitter is van het Europees myeloom netwerk, een organisatie die internationaal trials uitvoert. Hij spreekt mede namens vicevoorzitter Sonja Zweegman die ook aanwezig is. Zijn inspreektekst is bijgevoegd als bijlage 3. Cor Oosterwijk vraagt zich af waarom de beroepsgroep baat zou hebben bij eventuele prijsonderhandelingen en of de inspreker bij de keuze van behandelingen wordt beperkt door het ziekenhuisbudget. De inspreker antwoordt dat dat lange tijd wel zo is geweest, maar dat dat op dit moment niet het geval is. Hij wordt wel beperkt door de indicatiestelling. Als die wordt uitgebreid, wordt het beter mogelijk om structuur aan te brengen in de bepaling van de eerste en tweedelijns behandeling. Carla Hollak licht toe dat het ook de taak is van de commissie om te adviseren over de hoogte van de prijs. Dat is nu ingewikkeld omdat niet inzichtelijk is wat heel duur is en wanneer in de behandellijn een bepaald middel ingezet zou moeten worden. Zij vindt dat de heer Sonneveld terecht aangeeft dat er op dit moment indicatiebeperkingen zijn. Idealiter zou op basis van effectiviteit een behandelalgoritme ontwikkeld moeten worden. Zij vraagt de inspreker of hij de commissie kan helpen welke van de voorliggende middelen eerder een plek zou moeten krijgen in het behandelalgoritme en waarover de commissie wellicht een krachtiger advies zou moeten geven wat betreft de prijs. De inspreker reageert dat dat een belangrijk punt is. Het is van belang om te kijken naar de effectiviteit van de middelen, waarbij je wilt dat het middel met het grootste effect zo vroeg als mogelijk ingezet gaat worden, omdat daar de meeste winst te behalen valt. Zonder bepaalde middelen naar voren te halen, wil hij in het bijzonder daratumumab noemen. Dit middel laat een zeer groot voordeel in PFS zien en hoogstwaarschijnlijk ook in overleving. Inzet hiervan helpt enorm om patiënten een langere overlevingsverwachting te geven en ook om het gebruik van niet effectieve behandelingen te reduceren. Maar er zijn meer middelen die ook heel effectief zijn. Marcel Canoy begrijpt goed dat er sprake is van een complex behandelalgoritme. Hij zou graag willen weten of er nog middelen substitueren, of dat dat van de individuele patiënt afhangt. De inspreker antwoordt dat dat deels af hangt van patiënten maar dat hij zich daar niet achter wil verschuilen. Het doel is om zo strak als mogelijk de regie te voeren over de volgorde van de behandelingen. Indien daratumumab in de eerste lijn is gegeven dan moet het niet ook nog in de tweede lijn gegeven worden. Een algemeen geldend algoritme zou artsen houvast bieden. Hans Gelderblom vraagt zich af of indien middelen inwisselbaar zijn, of dan een keuze wordt gemaakt op basis van kosten. De inspreker geeft aan dat eerst naar de effectiviteit wordt gekeken, maar vooral ook naar de bijwerkingen, omdat het van belang is dat patiënten de behandeling afmaken. De richtlijn is daar op gebaseerd. In de tweede plaats onttrekt de beroepsgroep zich niet aan hun maatschappelijke verantwoordelijkheid om te

kiezen voor de goedkoopste, maar een vergelijking is niet makkelijk te maken. Er zijn geen verdere vragen. De voorzitter bedankt de inspreker en nodigt de volgende inspreker, Michel van Agthoven, uit om namens de fabrikant Janssen in te spreken. Hij geeft aan geen conflicterende belangen te hebben. Zijn
80 inspreektest is bijgevoegd als bijlage 4. Carla Hollak heeft een vraag naar aanleiding van het feit dat de inspreker aangeeft dat Janssen bereid is om bij te dragen aan het verzamelen van real world data. Janssen is namelijk niet de enige fabrikant. Zij vraagt zich af hoe Janssen dat voor zich ziet en hoe
85 onafhankelijkheid geborgd kan worden. De inspreker is het eens met Carla Hollak dat dat niet kan vanuit de fabrikant, omdat dat in dit geval betekent dat alleen data over daratumumab verzameld zal worden. Hij vindt dan ook dat het initiatief bij de beroepsgroep zou moeten liggen. De onafhankelijkheid kan op die manier ook geborgd worden. Hij geeft aan dat de beroepsgroep hier meer over kan
90 vertellen. De heer Sonneveld licht toe dat de beroepsgroep een project heeft ingediend om de bestaande registratie landelijk uit te gaan rollen. Volgende week wordt duidelijk of hiervoor een projectbijdrage wordt verkregen. In dit project wordt samengewerkt met de NKR en het IKNL. Marcel Canoy begint met het geven van een compliment aan de heer Van Agthoven voor zijn inspraak. Hij
95 begrijpt heel goed dat fabrikanten veel geld hebben betaald om een middel te ontwikkelen en ook dat investeerders tevreden gehouden moeten worden. In dit geval gaat het echter om een indicatie uitbreiding van een middel dat al langer bestaat en waardoor de inspanningen van de fabrikant kleiner zijn. Echter, in de praktijk leidt dit niet tot een prijsdaling. Daarnaast komt ook nog dat er voor
100 multiple myeloom meerdere middelen op de markt zijn. Bij een normale markt zou concurrentie ontstaan. Marcel Canoy wil graag weten hoe de inspreker dit ziet. De inspreker geeft aan dat prijsbepaling een complex verhaal is en dat er ontzettend veel over valt te zeggen. Hij wil nu ingaan op de belangrijkste punten. De meeste grote bedrijven zijn beursgenoteerd. Er wordt door investeerders gekeken
105 naar de toekomst. Investerings in de toekomst zijn onzeker. Dit speelt een belangrijke rol bij de prijsbepaling. Daarnaast speelt mee dat het bedrijf de ambitie heeft om het middel ook beschikbaar te maken in minder kapitaalkrachtige landen. Tot slot speelt de waarde van het product een rol. Janssen is van mening dat uitkomsten in de praktijk een grotere rol moeten gaan
110 spelen. Het is een onmogelijke opdracht voor de commissie om nu te bepalen wat een goede prijs is. Daarom acht hij een systeem waarin de waarde in de praktijk bepaald wordt van belang. Hij biedt aan op een ander moment hierover van gedachten te wisselen met commissie. Er zijn geen verdere vragen. Mevrouw Blijlevens heeft via de chat aangegeven dat zij eerder nog iets wilde zeggen bij de
115 inspraak door de beroepsgroep, maar dat het toen niet lukte. Ze krijgt het woord van de voorzitter. Zij wil graag terug gaan naar de kern, namelijk het advies aan VWS. Zij is van mening dat deze middelen niet meer op zichzelf beoordeeld kunnen worden. Beoordelen op combinaties moet de norm worden. Er is nu een soort patstelling. De voorzitter zegt dat dit punt duidelijk is. Hij vraagt mevrouw Blijlevens of zij gezien de tijd, nog nieuwe informatie heeft toe te voegen. Dat is
120 niet hij geval. Hij bedankt haar voor haar aanvulling.

De voorzitter herhaalt de drie vragen die gesteld zijn aan de commissie en opent de discussie. Hij concludeert dat de sprekers zich allen kunnen vinden in de
125 aanpak zoals voorgesteld door het Zorginstituut. Carla Hollak geeft ook aan positief te zijn over de aanpak. Zij begrijpt mevrouw Blijlevens wat betreft het punt dat nadere uitwerking nodig is. Daarom acht zij het noodzakelijk dat er een taakgroep wordt ingesteld. Zij is van mening dat het te ontwikkelen

130 behandelalgoritme de kern moet zijn. Daarnaast is een transparant en
onafhankelijk systeem voor dataverzameling en –analyse van belang. Zij zou
willen voorstellen om uiteindelijk de prijs afhankelijk te maken van de plaats in de
behandeling en de budgetimpact. Ze kan zich voorstellen dat het nu vooral gaat
om de middelen die al tien maanden in de sluis zitten, vooral daratumumab. Zij
heeft begrip voor de frustratie en vindt dat het middel snel beschikbaar moet
135 komen, maar wellicht is wel een extra aandachtspunt voor VWS om dit middel
beschikbaar te maken met een prijsonderhandeling. Marcel Canoy sluit zich aan
bij het voorstel van het Zorginstituut. Er moet een betere manier komen om met
dit soort middelen om te gaan. Het is belangrijk dat deze middelen snel
140 beschikbaar komen. Het is niet goed dat deze middelen al zo lang in de procedure
zitten, maar hij heeft er ook begrip voor dat dit soort zaken tijd kost. Hij wil even
terugkomen op de woorden van de heer Van Agthoven. Wat de heer Van
Agthoven eigenlijk zegt is, “we zijn beursgenoteerd en onze aandeelhouders zijn
belangrijk voor ons”. Dat is niet fout, maar betekent eigenlijk dat er voor het
145 maximaliseren van de aandeelhouders, een prijs gevraagd wordt ‘wat de gek
ervoor geeft’. Ook voor middelen waarvoor nauwelijks R&D kosten gemaakt zijn
en waarvoor alternatieven beschikbaar zijn. De commissie beschikt niet over
kosteneffectiviteitsgegevens om op basis van value based argumenten te kijken of
de kosten en effecten in verhouding zijn tot elkaar. Ondanks dat deze gegevens
150 ontbreken, is hij van mening dat er argumenten zijn om te adviseren dat het
middel niet zoveel hoeft te kosten. Voor de aandeelhouders natuurlijk wel, maar
niet voor de premiebetaler. Het feit dat er sprake is van een competitief veld acht
hij een belangrijk aspect voor het advies. De onderhandelpositie is niet sterk
wanneer er maar één middel is en de patiënt anders komt te overlijden. Daarvan
is nu zeker geen sprake. Tot slot wil hij nog melden dat er voortdurend een
155 weesgeneesmiddel status worden aangevraagd in gevallen waar die eigenlijk niet
voor bedoeld is. Dat is een algemeen punt dat hij wil maken, maar hij zal daar
ook nog op terugkomen bij het volgende agendapunt. De voorzitter deelt zijn
mening dat de commissie inderdaad iets moet opnemen over prijsonderhandeling
in haar advies, maar vraagt zich af hoe, nu gegevens over effectiviteit en
160 kosteneffectiviteit ontbreken. Hij wil een aantal mogelijkheden verkennen. De
commissie zou kunnen adviseren om het totale budget niet verder te laten
groeien tijdens de periode van tijdelijke toelating. Marcel Canoy vraagt zich af wat
de ratio daarvan is, waarom niet minder? De voorzitter is van mening dat blijven
bij het huidige budget al een stevig advies is, zeker gezien de enorme stijgingen
165 van het afgelopen jaren. Carla Hollak geeft aan zich hierin niet te kunnen vinden.
Er zijn zoveel onzekere factoren, er komen biosimilars aan, over daratumumab
kun je misschien wel onderhandelen, maar misschien krijgt het ook wel weer een
andere plaats in het behandelalgoritme. Zij is bang als je er nu een cap op zet,
dat ten koste gaat van het ontwikkelen van het optimale behandelregime. Zij is er
170 een voorstander van om achteraf, na de pilot, af te rekenen wat reëel is. Jos
Schols deelt ook de strategie van het Zorginstituut. Ook Jan van Busschbach
hoort goede dingen. Hij is er voorstander van om het stapelen van behandelingen
structureel aan te pakken. Hij denkt dat er een goede weg wordt ingeslagen,
maar denkt wel dat alles vergoeden en dan achteraf terugbetaald krijgen een
175 kwetsbare strategie is. Er is niet alleen snelheid geboden voor multipel myeloom
patiënten maar ook voor patiënten daarbuiten, want het ene budget eet het
andere budget op. Ten tweede zou hij de snelheid willen verhogen om zaken te
benutten die er al liggen, zoals ziektemodellen. Een aantal leden is enthousiast
over de toepassing daarvan. Hij acht prijsonderhandeling noodzakelijk, maar niet
180 achteraf. Er is sprake van grote onzekerheid over de effecten, dat moet zich

vertalen in een lagere prijs. Uit de inspraak van de beroepsgroep is gebleken dat bij ontwikkeling van richtlijnen maatschappelijke overwegingen nauwelijks worden meegenomen. Dat betekent dat het Zorginstituut dat moet doen, als het veld het niet doet, om het maatschappelijk belang van alle patiënten te waarborgen. Hij deelt ook de sterke argumenten die Marcel Canoy reeds heeft genoemd en daar komt de grote onzekerheid nog bij. De voorzitter is benieuwd of Jan van Busschbach nog mogelijkheden ziet om het advies over prijsonderhandeling meer richting te geven anders dan de prijs cap. Jan van Busschbach kan zich voorstellen dat het ook een mogelijkheid is om een prijs per patiënt per jaar vast te stellen of een prijs per behandeling. Hij vindt echter ook dat dergelijke overwegingen op de werkvloer gemaakt moeten worden. Artsen willen alles inzetten, maakt niet uit wat het kost. Hij snapt het, maar hij heeft er geen sympathie voor. Cor Oosterwijk wil een paar algemene opmerkingen maken over de taakgroep. Niemand zal daar tegen zijn en ook patiëntenorganisaties krijgen een plek. Hij ziet de mogelijkheid om overeenkomstig de weesgeneesmiddelenarrangementen afspraken te maken. Zorgverleners zullen gevraagd worden zitting te nemen in de taakgroep, maar hun bazen zullen terughoudend zijn i.v.m. de productie en tijd en dat geldt ook voor patiëntvertegenwoordigers. Hij vraagt zich af in het geval dat, zoals mevrouw Blijlevens zegt, combinaties de norm worden, hoeveel taakgroepen er nodig zijn en of het niet beter is om iets algemener in te richten. De voorzitter geeft aan een poging te gaan doen om een advies te formuleren. De commissie is het eens met het voorgestelde advies van het Zorginstituut, dat aansluit bij wat de ACP eerder heeft geadviseerd. Doorontwikkeling van pakketbeheer bij dergelijke complexe terreinen is belangrijk. De commissie is dan ook voorstander van de tijdelijke toelating, gekoppeld aan het instellen van een taakgroep, waarvoor de randvoorwaarden door het Zorginstituut zijn genoemd. Het advies is gebaseerd op het feit dat effectiviteit weliswaar is aangetoond maar met grote onzekerheden. Transparantie van data is essentieel. De commissie acht prijsonderhandeling aangewezen. Wat betreft de prijsonderhandeling heeft de commissie een aantal opties verkend. Deze kan scherp zijn zoals ook het Zorginstituut voorstelt, maar er zijn verschillende opvattingen binnen de commissie. Een lid is voorstander van een tijdelijk arrangement en daarna te kijken welke prijs gerechtvaardigd is. De anderen zijn voor prijsonderhandeling vooraf waarbij onduidelijk is of een prijs cap de voorkeur heeft of een vast bedrag per patiënt per behandeling of per jaar. Tijdens de pilotfase lijkt het de voorzitter zelf redelijk een om vast budget af te spreken. Marcel Canoy geeft aan Carla Hollak wel te begrijpen omdat door prijsonderhandeling mogelijk een suboptimaal behandelalgoritme ontstaat. Die cap is bedoeld om een paaltje in de grond te slaan, tot hier en niet verder. Er is nauwelijks sprake van extra R&D kosten en dus is er geen reden om diep in de buidel te tasten. De voorzitter vult aan dat die cap tijdelijk is. Als de taakgroep het Zorginstituut heeft geadviseerd, kan de commissie opnieuw advies uitbrengen. Carla Hollak zou graag aan het advies toegevoegd zien dat de onderhandeling niet ten koste mag gaan van patiënten en de ontwikkeling van een primair op effectiviteit gebaseerd behandelalgoritme. Marcel Canoy reageert dat hij van mening is dat, als je dat doet, je de onderhandelingspositie weggeeft en we als Nederland de hoofdprijs gaan betalen. De voorzitter gaat niet het hele advies herhalen, maar hij constateert dat niet ieder lid zich erin kan vinden. Hij stelt voor scherpe prijsonderhandeling te adviseren met een beschrijving van de mogelijkheden voor prijs cap of op patiëntniveau en om de keuze aan het ministerie over te laten. Jan van Busschbach vindt dit vrij zwak. De ontwikkeling van een behandelalgoritme juicht hij toe, maar het onbeperkt stapelen van

behandelingen, ongeacht de kosten, vindt hij lastig. Een alternatieve formulering,
die minder ruimte biedt is om in het advies op te nemen dat één lid van mening is
235 dat het niet ten koste mag gaan van de patiënt. Marcel Canoy geeft aan ook niet
te willen dat het ten koste van de patiënt gaat, maar dat wil de commissie nooit.
Hij vindt dat als dat het uitgangspunt wordt, dat de commissie dat wel kan
opdoeken. Er is nu geen informatie over kosteneffectiviteit, maar we moeten nu
niet doen alsof het niet bestaat, dat is niet consistent. Carla Hollak is van mening
240 dat doordat we geen kosteneffectiviteitsgegevens hebben de commissie in het
duister tast. Dat kan ten koste gaan van de patiënt, dat vindt zij wat anders dan
wanneer je een enkel middel beoordeelt. De voorzitter geeft gezien de tijd aan,
dat de commissie tot een besluit moet komen. Hans Gelderblom is van mening
dat deze aanpak ruimte biedt om dure middelen eerder in de behandelrichtlijn op
245 te nemen, dat is naast een voordeel voor de patiënt ook in het voordeel van de
farma. Hij is er dan ook voorstander van om scherp te onderhandelen. Als richting
hiervoor lijkt de prijs cap hem de meest duidelijke optie en ook een redelijke. Cor
Oosterwijk vult aan dat als de commissie prijsonderhandeling adviseert dat dat
niet betekent dat de commissie geen oog heeft voor de patiënt. Ook VWS heeft
250 daar tijdens de onderhandeling oog voor. De voorzitter rondt af. De precieze
formulering zal het secretariaat nog voorleggen.

5 Mexiletine (Namuscla®) bij de symptomatische behandeling van myotonie bij volwassen patiënten met non-dystrofische myotone aandoeningen

255 Zoals aangekondigd verlaat Carla Hollak de vergadering als lid. Het secretariaat
meldt dat één van de sprekers, de heer Postema, cardioloog, bij dit onderwerp om
13.00 een operatie gepland heeft staan. De voorzitter excuseert zich dat hij is
uitgelopen, en geeft aan dat na de inleiding door het Zorginstituut, eerst de heer
260 Postema mag inspreken. De voorzitter nodigt de medewerkster uit voor haar
toelichting (zie bijlage 5). De voorzitter vraagt of er nog vragen zijn. Cor
Oosterwijk geeft aan dat er verschillende preparaten gebruikt worden, maar het
hem niet duidelijk is of de werkzame stof identiek is en of er nog andere
verschillen zijn. De medewerkster legt uit dat er alleen een verschil in zoutvorm
265 is, maar niet in werkzaamheid. Er zijn geen verdere vragen. De voorzitter nodigt
de heer Postema uit om in te spreken en vraagt hem om aan te geven of hij
namens de beroepsgroep spreekt en of hij conflicterende belangen heeft. Hij geeft
aan dat hij namens de beroepsgroep spreekt en geen conflicterende belangen
kent. Zijn inspraaktest is bijgevoegd als bijlage 6. De voorzitter dankt de
270 inspreker en vraagt of er nog vragen zijn. Cor Oosterwijk vraagt wie besluit wat
de contra-indicaties worden bij een geneesmiddel. De inspreker denkt de
fabrikant (Lupin) zelf. Dit middel kan ook hartritmestoornissen veroorzaken,
omdat het elektrische signalen verandert, mogelijk met goed gevolg. Hij kan zich
voorstellen dat de fabrikant hiernaar geen onderzoek wilde doen en er daarom
275 voor gekozen heeft het uit te sluiten. Maar hij geeft aan dat het een beetje gissen
is, maar voor de cardiologen is het een kwalijke zaak. De voorzitter vraagt zich af
wat zo'n contra-indicatie voor gevolgen heeft voor de behandeling van
hartpatiënten. De inspreker geeft aan dat hij zich er niet zo snel door zou laten
leiden, maar dat hij niet goed kan inschatten wat eventuele consequenties zijn.
280 Hij weet ook niet wat de gevolgen voor de vergoeding zijn. Cor Oosterwijk vraagt
zich af of de inspreker in de gelegenheid is gesteld om bij de EMA bezwaar te
maken. De inspreker geeft aan dat al zijn Europese collega's verrast waren door
de beslissing van de EMA. Er zijn geen vragen. De voorzitter dankt de inspreker
voor zijn heldere toelichting. Hij nodigt mevrouw Anja Horemans uit voor de

285 inspraak namens de patiënten (zie bijlage 7). Er is geen sprake van conflicterende
belangen. Cor Oosterwijk vraagt of de inspreker de brief van de importeur
heeft gezien. Dat blijkt niet het geval. Hij licht toe dat de importeur argumenten
aanvoert voor de hoogte van de prijs. Een van de aspecten is dat de fabrikant de
beschikbaarheid van dit middel garandeert en de kwaliteit geborgd is. Hij vraagt
290 zich af of de patiënten zich hierover zorgen maken. De inspreker geeft aan dat
de beschikbaarheid van mexiletine in het verleden nooit een probleem is geweest.
Naast dat mexiletine preparaten geïmporteerd kunnen worden, bestaat ook de
mogelijkheid tot een apotheekbereiding. Apotheken moeten vanwege de
kwaliteitsborging aan hoge eisen voldoen. Zij ziet dan ook geen risico wat betreft
295 de beschikbaarheid, en ziet ook geen dreiging dat dit in de toekomst anders zal
zijn. De voorzitter dankt de inspreker voor haar toelichting en nodigt Casper
van Loosen uit om in te spreken namens de ziekenhuisapothekers. Hij geeft aan
geen conflicterende belangen te hebben anders dat hij zitting heeft in de
regiegroep van de Horizonscan geneesmiddelen en deel neemt aan het Landelijk
300 Overleg Dure Geneesmiddelen. Zijn inspraak is bijgevoegd als bijlage 8. De
voorzitter dankt de inspreker en vraagt of er nog vragen zijn. Hans Gelderblom wil
graag weten of er risico's zijn wat betreft de beschikbaarheid van grondstoffen.
De inspreker geeft aan dat dat toe nu toe geen probleem is geweest en dat hij dat
ook niet verwacht. De voorzitter bedankt de inspreker voor de puntige inbreng en
305 opent de discussie in de commissie. Hij licht toe dat de commissie een jaar of
twee geleden een brief aan de minister heeft gestuurd over het oneigenlijk
gebruik van regelgeving door farmaceuten. Mexiletine is een voorbeeld hiervan.
Marcel Canoy is van mening dat dit de overheid en de markt op zijn slechts is.
Vanuit de overheid is de EMA verantwoordelijk voor het geven van een weesstatus
310 en die past hierbij zijn eigen wet niet goed toe, zoals dit ook al bij CDCA het geval
was. In de regelgeving is opgenomen dat de status bestaat om farmaceuten te
compenseren voor doelgroepen die te klein zijn voor de normale regimes. Het
probleem is dat de EMA hier niet goed op toetst. Zoals insprekers ook aangeven is
de situatie te zot voor woorden. Ook hartpatiënten zijn slachtoffer hiervan. Dat
315 is de schuld van de EMA. Hij adviseert de heer Wijma van het Zorginstituut om
naar de EMA te stappen met de vraag hoe dit kan. Ook de inspectie acht hij
verantwoordelijk. Twee overheidsinstanties die pakketbeheer onnodig
bemoeilijken. Maar ook de markt is op zijn slechtst bezig en maakt misbruik van
procedures. Bijvoorbeeld ook door de prijs te verlagen zodat het macrobudget
320 onder de 10 miljoen blijft en een vrijstelling voor het uitvoeren van een
kosteneffectiviteitsanalyse kan worden verkregen. Zo is het niet bedoeld. We
mogen verwachten dat farmaceuten naar de geest van de wet handelen.
Patiënten en premiebetalers mogen hiervan niet de dupe worden. De industrie
hanteert een code of conduct maar handelt er niet naar. Hij is van mening dat je
325 dit niet moet willen. De voorzitter vraagt Marcel Canoy wat dit voor het advies van
de ACP zou moeten betekenen. Marcel Canoy geeft aan daar later op terug te
komen, maar dat hij graag verneemt hoe de andere leden hierin staan. Jos Schols
ondersteunt het pleidooi van Marcel Canoy. Cor Oosterwijk geeft aan advocaat
van de duivel te gaan spreken. Er is naar zijn mening geen sprake van een
330 geringe kostenverhoging. De importeur noemt verschillende argumenten waarom
de prijs is zoals hij is, maar geeft niet aan wat een redelijke opslag is. Wat we
zien is dat een openbare prijsverlaging van 40% snel mogelijk was, als hiermee
het opstellen van een kosteneffectiviteitsbepaling achterwege kon worden gelaten.
Hij zou het Zorginstituut willen adviseren om eens na te denken over die grens
335 van 10 miljoen nu hier zo manipulatief mee wordt omgegaan. Wat hij zich niet
heeft gerealiseerd is dat fabrikanten blijkbaar allesbepalend zijn wat betreft de

Zorginstituut Nederland
Zorg I
Oncologie

Datum
14 december 2020

Onze referentie
2020054027

indicatiestelling en de contra-indicaties. Het lijkt hem verstandig om hierover een opmerking te maken. Hij kan zich niet voorstellen dat de EMA geen mogelijkheden kent om bezwaar aan te tekenen. Cardiologen zijn blijkbaar hierdoor overvallen, maar hij vraagt zich af of het niet alsnog mogelijk is om hiertegen bezwaar te maken. Iets soortgelijks geldt ook voor de kinderen. Hij is van mening dat als er voldoende argumenten zijn en er een rationale is dat het middel ook bij kinderen veilig en effectief is. Het niet moet worden beperkt tot enkel volwassenen. De medewerkster licht toe dat het Zorginstituut de indicatie van SMPC volgen waarin is opgenomen dat het alleen voor volwassenen is geregistreerd. Een contra-indicatie hoeft naar haar mening geen belemmering te zijn, tenzij het Zorginstituut adviseert hierover aanvullende voorwaarden op te nemen op bijlage 2. De medewerkster neemt het mee en meldt dat expertisecentra hebben aangegeven medewerking te willen verlenen aan een eventuele studie bij kinderen. De secretaris licht toe dat indien de commissie nu positief zou adviseren, dit niet perse betekent dat het voor kinderen niet beschikbaar is. Echter, indien de commissie ook positief wil adviseren voor de kinderen, zal het Zorginstituut hiervoor eerst terug naar de WAR moeten. Hans Gelderblom geeft aan het eveneens eens te zijn met Marcel Canoy. Hij wil toevoegen dat de NHS in Schotland ook heeft uitgesproken problemen te hebben met de controle arm (placebo). Hierdoor is niet aangetoond dat het beter is dan wat nu aan patiënten gegeven wordt. De secretaris geeft aan een wat ongemakkelijke gevoel te hebben omdat de commissie zich in deze discussie op de rand van de WAR en de ACP begeeft. Uitbreiding van de indicatie hoort niet thuis in de ACP. Maar het blijft nu een beetje boven de markt zweven wat de gevolgen zijn voor een positief of negatief advies voor de beschikbaarheid voor Jan van Busschbach ziet dit dossier als een ambtelijke dwaling. Allerlei ambtenaren hebben hun dingetje gedaan, maar hij denkt dat het goed is wanneer de commissie, maar ook het Zorginstituut hun rol pakken en paal en perk stellen, hiervoor is de wet duidelijk niet bedoeld. Hij zou het dan ook prima vinden wanneer het advies van de commissie zou luiden om het middel niet op te nemen, waarbij kostenoverwegingen een belangrijke rol spelen. Patiënten zijn natuurlijk ook van belang, maar dit advies is niet nadelig voor patiënten wanneer de apotheekbereiding beschikbaar blijft. De voorzitter concludeert dat Jan van Busschbach voorstander is van niet toelaten en plaatsing van de werkzame stof op bijlage 3 als apotheekbereiding. Marcel Canoy geeft aan het hiermee eens te zijn. Hij heeft een aanvullend argument, namelijk dat bij een negatief advies het middel in ieder geval beschikbaar blijft voor kinderen. Natuurlijk spelen effectiviteit en kosteneffectiviteit ook een rol, maar er zijn veel vraagtekens wat betreft de kosteneffectiviteit. Vanuit het brede maatschappelijke perspectief adviseert hij om niet mee te gaan in de perverse spelletjes van de industrie. Dan moeten ze maar terugkomen met een veel lagere prijs. Cor Oosterwijk hoopt van harte dat een negatief advies positieve effecten heeft, de fabrikant zal er zijn juristen op gaan zetten. Hij vraagt zich af of mexiletine ook beschikbaar blijft voor cardiologische indicaties als de commissie negatief adviseert. De secretaris geeft aan dat dat het geval is. De voorzitter gaat over tot het formuleren van de conclusie van de commissie. Het gaat in dit geval om een effectief geneesmiddel, waarbij geen kosteneffectiviteitsgegevens beschikbaar zijn. De commissie heeft twijfels over de prijs, omdat het middel in het verleden heel veel goedkoper was. De commissie is van mening dat het te duur in de markt wordt gezet. De fabrikant heeft weliswaar een aantal redenen gegeven waarom prijs is verhoogd maar heeft die niet verder gespecificeerd. Die argumenten hebben de commissie niet kunnen overtuigen. Het advies van de commissie luidt dan ook negatief vanuit de achterliggende maatschappelijke waarden. Een

390 dergelijk onverantwoordelijke prijsstijging ondermijnt namelijk het systeem van
solidariteit. Daarbij komt dat de commissie adviseert om de apotheekbereiding op
bijlage 3 te plaatsen. Een advies over de kinderen laat de commissie buiten
beschouwing, want dat ligt buiten de bevoegdheden van de commissie, maar zij
acht een advies hierover ook niet nodig. Marcel Canoy is van mening dat de
395 voorzitter het uitstekend heeft verwoord. Hij heeft nog één nabrander. Hij wil nog
enige context geven. De casus lijkt sterk op de casus CDCA. Het kent dezelfde
logica en hetzelfde type kosten zijn gemaakt. Die casus is in behandeling bij de
ACM in verband met een onderzoek naar excessieve prijsstelling. De voorzitter
vraagt of de leden ermee instemmen om de vergadering af te ronden. In het
400 schriftelijke advies zal de commissie de puntjes op de i zetten. Hij biedt zijn
excuses aan voor het enigszins uitlopen van de vergadering.

6 Rondvraag en sluiting

405 Op de vraag of iemand nog iets heeft voor de rondvraag, antwoordt Jos Schols
dat hij graag zijn complimenten wil overbrengen aan de voorzitter voor het leiden
van deze vergadering, daarnaast is hij helaas de volgende vergadering in januari
verhinderd. De voorzitter sluit de vergadering en wenst iedereen goede dagen in
goede gezondheid.

Adviescommissie pakket 11 december 2020
Inspraak Hematon-NFK op multipel myeloom breed

De patiëntenorganisaties Hematon en NFK maken graag van de gelegenheid gebruik om in te spreken op deze bijeenkomst inzake de myeloomdossiers. Mijn naam is en ik ben Normaliter zouden Pauline Evers van NFK en ik beide aan de 'inspraaktafel' plaats nemen en eventuele vragen samen beantwoorden. We gaan ervan uit dat ondanks het feit dat ik nu alleen inspreek eventuele vragen van de ACP desgewenst ook door Pauline beantwoord kunnen worden.

Multipel myeloom, of de Ziekte van Kahler zoals dat in Nederland ook wel wordt genoemd, is een vorm van bloedkanker die nog altijd als ongeneeslijk wordt beschouwd. De algehele overleving is flink omhooggegaan in de afgelopen decennia: leefden 15 jaar geleden patiënten gemiddeld 4 jaar na de diagnose – verbeteringen in de behandelopties hebben ervoor gezorgd dat dit gemiddelde nu op circa 8 jaar ligt, en er is een kleine maar wel groeiende groep die 10 jaar of langer met de ziekte kan leven. Met nieuwe behandelingen, die zich richten op diepere responsen met vaak langere remissieperioden kan de overleving en kwaliteit van leven in de nabije toekomst nog verder verbeteren.

Het voorstel van vandaag bestaat uit twee delen: op de eerste plaats is daar een voorstel voor een nieuwe manier van beoordeling voor pakkettoelating.

De afgelopen 15 jaar zijn er veel nieuwe middelen en combinaties voor MM bijgekomen. Nieuwe middelen of combinaties worden voor marktoelating vergeleken met één van de bestaande opties, maar er is geen duidelijkheid over hun meerwaarde ten opzichte van **alle** andere opties in dezelfde lijn. Ook de samenhang met voorbehandeling of met behandeling in latere lijn ontbreekt.

Juist die bredere context is ook voor patiënten van groot belang. Niet alleen weten wat op dit moment de beste keuze tussen twee is, maar wat de beste keuze is tussen alle opties in deze lijn en wat dat betekent voor verdere behandeling later in het ziekte-traject, want zoals gezegd bij de meeste patiënten komt de ziekte vroeg of laat terug.

De patiëntenorganisaties steunen dan ook van harte het plan van ZINL om over te gaan tot een meer ziekte brede beoordeling en we nemen graag plaats in de werkgroep die zich hiermee bezig gaat houden.

Voor het goed kunnen beoordelen van de waarde van een nieuwe behandeling is het zinvol om de impact op het hele behandelpad mee te nemen, en eventueel zelfs rekening te houden met toekomstige ontwikkelingen. Naast de klinische uitkomsten moeten ook economisch afwegingen worden meegewogen, waarbij het van belang te weten of een behandeling een andere dure optie vervangt, of dat een dure behandeling verschuift van de ene naar een andere behandellijn en wat de consequenties daarvan zijn, zowel qua ziekte uitkomst als qua kosten.

De ACP zelf heeft bij de recente behandeling van dossiers op het terrein van Multipel myeloom, Chronisch lymfatische leukemie (venetoclax en ibrutinib) en DLBCL (polatuzumab) aangegeven dat zij in deze indicaties waar nieuwe opties elkaar snel opvolgen middelen graag in samenhang beoordeeld wil zien. Uw oproep daartoe gaat dus nu in MM in elk geval gehoor krijgen.

Een tweede aspect van het voorstel gaat over 5 op dit moment voorliggende dossiers.

Een nieuwe methode van beoordelen vraagt nieuwe regels en kaders. Dat betekent dat we niet mogen verwachten dat een MM brede beoordeling binnen korte tijd gaat leiden tot een goed gefundeerd advies over de plaats van de 5 op dit moment voorliggende dossiers.

In het voorstel geven ZINL-medewerkers aan dat deze interventies in elk geval voldoen aan de stand van wetenschap en praktijk. Dat is ook het standpunt van de beroepsgroep zoals blijkt uit de meest recente behandel richtlijn, waarin deze middelen (onder voorwaarde van pakketopname) al zijn opgenomen. De beroepsgroep baseert dit op gepubliceerde resultaten van de klinische studies, de EMA-registratie dossiers en ervaring in de praktijk.

Deze 5 behandelingen hebben al geruime tijd geleden markttoelating gekregen (tussen juli 2019 en februari 2020) en ze zitten dus al minimaal 10 maanden in de sluis. De patiëntenorganisaties vinden het onverantwoord om deze middelen - gezien de meerwaarde als aangegeven in de richtlijn en in het ZINL voorstel - nog veel langer aan patiënten te onthouden. We zijn het dan ook eens met het voorstel om deze middelen met een advies voor tijdelijke pakketopname en stevige prijsonderhandelingen door te sturen naar VWS.

Als er nog vragen zijn, zijn we gaarne bereid deze te beantwoorden

Ingebrachte informatie voor ACP vergadering dd 11 december 2020

Van: Prof. P. Sonneveld, Erasmus MC Rotterdam, voorzitter HOVON Myeloom Werkgroep

Betreft: Multipel Myeloom traject beoordeling

Multipel Myeloom (MM) is een hematologische maligniteit die per jaar 1100-1300 maal wordt gediagnostiseerd in NL. De behandeling vergt inzet van traditionele chemotherapie, autologe stamceltransplantatie en toenemend nieuwe, vaak doelgerichte (targeted) middelen. Hiermee wordt in het merendeel van de patienten een remissie bereikt, die echter in 90% van de patienten niet blijvend is. Vrijwel alle patienten hebben gedurende de ziekteperiode meerdere behandelingen nodig, elk bestaande uit combinaties van -steeds wisselende- geneesmiddelen. In de afgelopen 10 jaar zijn 11 nieuwe middelen goedgekeurd door het EMA, alleen of (vooral) in combinatie met andere middelen. Door deze aanpak, die het gehele ziektebeloop bestrijkt, is de overleving zeer sterk verbeterd van 2 jaar in 1999 tot 6 en 10 jaar bij resp. oudere en jongere patienten.

De HOVON werkgroep stelt richtlijnen op voor het juiste en doelmatige gebruik van de middelen/combinaties in de diverse stadia van de ziekte, en de volgorde waarin deze dienen te moeten worden toegepast, gebaseerd op resultaten van gevalideerde klinische trials.

Deze adviezen worden jaarlijks aangepast en goed opgevolgd.

Voor een goede en doelmatige zorg is het van belang dat door EMA goedgekeurde combinaties tijdig geïmplementeerd worden door de beroepsgroep, zodat de zorg uniform en kwalitatief hoogwaardig blijft. Dit verloopt optimaal indien het totale behandeltraject wordt beschouwd, in plaats van onderdelen van het traject. Zodoende blijft een logische en doelmatige opbouw van de behandeling gegarandeerd zonder ondoelmatige inzet van middelen op het verkeerde moment.

De HOVON werkgroep is van mening dat de inzet van kostbare middelen geregistreerd dient te worden door monitoring in "real life" situaties. De werkgroep heeft hiertoe een voorstel gedaan bij het Zorginstituut Nederland, dat onlangs is toegekend. In samenwerking met IKNL zal het mogelijk zijn bijna real-time de toepassing van nieuwe en bestaande behandelcombinaties te registreren.

Inspraaktekst M. van Agthoven, directie Janssen-Cilag B.V., ACP vergadering, 11 december 2020

Geachte commissie, bedankt dat Janssen de mogelijkheid krijgt om in te spreken. We zijn om twee redenen verheugd over het nu voorliggende advies van het Zorginstituut aan de ACP. En ik houd het dan ook kort.

Ten eerste liggen onze dossiers voor daratumumab inmiddels tien maanden bij het Zorginstituut. Dit is pijnlijk voor patiënten als je bedenkt dat we vandaag de dag mogen spreken over een mediane overleving met multipel myeloom die ten opzichte van grofweg 15 jaar geleden is verdubbeld, zoals de heer Scheurer al aangaf. Die verbetering is mede te danken aan de komst van behandelingen zoals bijvoorbeeld bortezomib, lenalidomide, pomalidomide en daratumumab en nog andere. Daarbij geldt ook dat juist de eerstelijnsbehandeling een grote invloed heeft op ziektevrije progressie en lange termijn patiëntenuitkomsten. De inzet van nieuwe behandelopties in de eerste lijn kan er dan ook toe leiden dat een latere lijn van behandeling niet nodig is of anders wordt gekozen. Dit is bijvoorbeeld het geval voor de combinatie van daratumumab met lenalidomide en dexamethason, waarbij uit de meest recente studiedata blijkt dat de ziekte significant langer weg blijft bij patiënten die starten met deze combinatie dan bij patiënten die starten met een combinatie zonder daratumumab. Oftewel, een effectievere eerstelijnsbehandeling kan ziekteprogressie lange tijd voorkomen, daarbij een extra behandeling uitsparen en patiënten extra tijd en kwaliteit geven, waar professor Sonneveld ook zojuist op doelde.

Het is dan ook hoog tijd dat we vooruitgang boeken met de multipel myeloommiddelen die in de sluis zijn geplaatst, zodat patiënten snel toegang kunnen krijgen tot deze levensverlengende behandelingen.

Ten tweede, en minstens zo belangrijk, is dat dit Zorginstituut-advies ons inziens de weg opent voor toekomstgerichte beoordeling van multipel myeloom-behandelingen. Wij begrijpen de worsteling van het Zorginstituut hier heel goed. Het moeten beoordelen van een specifieke behandelijn in een zeer dynamisch behandelandschap voor een ziekte die ook nog eens wordt gekenmerkt door opeenvolgende behandelijnen is immers complex.

Als Janssen zijn wij al jarenlang voorstander van een systeem waarin de uitkomsten uit de dagelijkse klinische praktijk een grotere rol spelen. Om deze reden waren wij al in 2007 één van de oprichters van de toenmalige hemato-oncologische registry 'PHAROS'. Deze is uiteindelijk opgegaan in de Nederlandse kankerregistratie en is de basis geweest voor discussies die onder anderen Janssen momenteel voert met de beroepsgroep over een systeem waarin real-time gegevens over de behandeling en patiëntrelevante uitkomsten worden opgevolgd. Deze uitkomstinformatie kan gebruikt worden voor het continu verbeteren van de zorg als een lerend systeem. Daarnaast geven deze gegevens inzicht in de optimale relatie tussen patiënt-relevante uitkomsten en de kosten in de dagelijkse klinische praktijk. Zulke gegevens kunnen uiteindelijk in de toekomst een belangrijke basis vormen voor een echt uitkomstgedreven systeem. Dit zijn echter geen systemen die je van vandaag op morgen eenzijdig invoert, maar waaraan je wel gezamenlijk kunt bouwen. Wij zien de stap die het Zorginstituut nu zet en welke ook recent door het Zorginstituut en de NZa is geadviseerd, dan ook als een stap in de goede richting. Zeker in combinatie met het ook door het Zorginstituut geleide project Regie op Registers!

Gezien onze gedeelde ambitie en de jarenlange ervaring en inzet van Janssen voor het verbeteren van de patiëntuitkomsten bij multipel myeloom, dragen wij graag met onze kennis en inzichten bij aan de toekomstige taakgroep multipel myeloom.

Concluderend streeft Janssen ernaar om spoedig tot afspraken te komen met het ministerie van VWS, in lijn met het voorstel van het Zorginstituut zoals dit nu voorligt aan de ACP. Het blijft hierbij van belang dat de verschillen tussen de behandelopties worden onderkend, aangezien de verschillende behandelingen niet zonder meer uitwisselbaar zijn. Ook werken wij graag mee aan een gezamenlijke aanpak om behandeluitkomsten bij multipel myeloom in de praktijk op te volgen. Zo kunnen we patiënten in de toekomst snel toegang bieden tot innovatieve middelen die ook nog eens zo doelmatig mogelijk worden ingezet.

Bijlage 5

Zorginstituut Nederland

Mexiletine (Namuscla®)

Symptomatische behandeling van myotonie bij volwassen patiënten met non-dystrofische myotone aandoeningen

GVS-middel

| Van goede zorg verzekerd |

Officiële indicatie

Mexiletine (Namuscla®) is geïndiceerd voor de symptomatische behandeling van myotonie bij volwassen patiënten met non-dystrofische myotone aandoeningen (NDM)

2

Non-dystrofische myotonieën zijn een heterogene groep van zeldzame, erfelijke spierziekten



Symptomen
Spierstijfheid
Kramp
Spierzwakte
Vermoeidheid
Pijn

Levensverwachting: normaal
Ziektebelasting: kan variëren van laag naar aanzienlijk
Kwaliteit van leven: verlaagd
400-500 patiënten*
Uiting voor het tiende levensjaar

*geschat door beroepsgroep

3

Behandeling

- Lichaamsbeweging
- Leefstijlinterventies
- Mexiletine is de gebruikelijke behandeling

- Mexiletine werd in de jaren '70 ingezet voor hartritestoornissen
- Nu alleen als "last resort" bij hartritestoornissen (± 90 patiënten)
- Rationele farmacotherapie voor bepaalde vorm van NDM (2014)

Huidige situatie:

- Geïmporteerde mexiletine Apotheekbereidingen
- Wanneer Namuscla® commercieel beschikbaar is in NL, mag er niet meer geïmporteerd worden*

*het importeren uit het buitenland is alleen mogelijk indien vanwege medische redenen niet kan worden uitgekomen met het geregistreerde alternatief

4

Beoordeling op basis van klinische studies

- Statland: 4 weken behandelduur, 59 patiënten
- Stunnenberg: 4 weken behandelduur, 30 patiënten
- MYOMEX: 3 weken behandelduur, 26 patiënten, Namuscla®

2 retrospectieve studies zijn tevens meegenomen in de beoordeling
Follow-up tijd: 1 - 20 jaar

Belangrijkste uitkomstmaten:

- Spierstijfheid
- Kwaliteit van leven
- Ongunstige effecten
- Stakers vanwege ongunstige effecten

5

De beoordeling van mexiletine

Ten opzichte van placebo:

- Klinisch relevant effect op spierstijfheid
- Waarschijnlijk een klinisch relevant effect op kwaliteit van leven
- Acceptabele risico op ernstige ongunstige effecten en stakers

Ten opzichte van andere mexiletine preparaten:

- Sterk overlappend gunstig effect op spierstijfheid
- Niet genoeg bewijs voor overlap in kwaliteit van leven
- Sterk overlap in ernstige ongunstige effecten en stakers

Namuscla® heeft een therapeutische meerwaarde t.o.v. placebo
Namuscla® is vergelijkbaar met andere preparaten

6

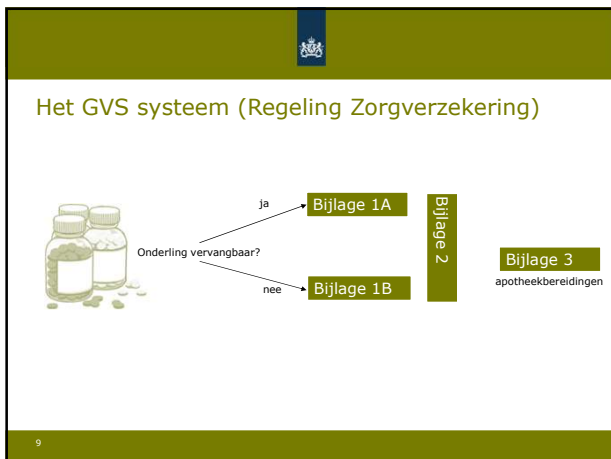
Bijlage 5

Budgetimpactanalyse		
	Prijs per capsule	
NDM indicatie	Namuscla® €23,39	
• 360 patiënten 500 mg/dag (3 capsules)	Mexiletine geïmporteerd €2,85	
• €6,1- €7,6 miljoen	Apotheekbereiding €6,95	
Cardiologische indicatie	Mexitil® €0,23	
• 90 patiënten (2 capsules)	<i>Er is geen farmaco-economische analyse uitgevoerd door het Zorginstituut</i>	
• €1,0- €1,3 miljoen		
Aannames		
• 94% therapietrouw		
• 80% van de NDM patiënten (#450) komt in aanmerking voor mexiletine		
• 100% substitutie apotheekbereiding OF 100% substitutie import		

7

Conclusie	
Bij de toepassing van mexiletine (Namuscla®) in de genoemde indicatie	
<ul style="list-style-type: none"> ■ Therapeutische meerwaarde t.o.v. placebo ■ Therapeutisch vergelijkbaar met andere mexiletine preparaten 	
<ul style="list-style-type: none"> ■ De meerkosten worden geraamd op <ul style="list-style-type: none"> ■ €6,1- €7,6 miljoen voor de geregistreerde indicatie ■ €1,0- €1,3 miljoen voor de cardiologische indicatie 	

8



9

Vragen aan de commissie	
<ol style="list-style-type: none"> 1. Heeft u alle argumenten om de pakketcriteria te wegen? 2. Wat is uw weging van deze argumenten? 3. Tot welk advies komt de commissie op basis van deze argumenten? 	

10

Bijlage 6

- Bedankt voorzitter voor de gelegenheid om in te spreken. Ik ben Pieter Postema, cardioloog in het Amsterdam UMC en gespecialiseerd in de behandeling van hartritmestoornissen en met name in de behandeling van ernstige hartritmestoornissen met een verhoogd risico op plotseling overlijden van patiënten van 0 tot 100 jaar oud
- Belangenverstrengeling
 - o Ik heb samen met 22 Europese collega's in een van de belangrijkste cardiologische tijdschriften ter wereld een kritisch artikel geschreven over de beslissing van de EMA om Namuscla goed te keuren met dientengevolge de enorme prijsstijging
 - o Ik ben samen met collega's aan het nadenken hoe we mexiletine voor de cardiologische indicatie in NL en Europa kunnen behouden
 - o Ik ben door onze beroepsgroep, de Nederlandse Vereniging Voor Cardiologie, gemachtigd om dit dossier te behandelen
 - o Ik heb vanaf 13u een volgende operatie gepland staan
- Drie belangrijke aspecten
 1. Mexiletine is al 50 jaar een niet vaak gebruikt maar essentieel middel in ons arsenaal om ernstige hartritmestoornissen die aanleiding geven tot een hartstilstand (en derhalve dus een grote kans op plotseling overlijden) van patiënten van de kinderleeftijd tot zeer gevorderde leeftijd. Daarnaast wordt mexiletine al 40 jaar gebruikt in de neurologie. Er is voor de cardiologie geen vergelijkbaar oraal middel beschikbaar. Beschikbaarheid van mexiletine wordt door ons als essentieel geacht als mono-therapie en als escalatie-therapie, om morbiditeit, mortaliteit, opnames en sequentiële invasieve behandelingen tgv ernstige hartritmestoornissen te voorkomen
 2. Ik, wij zijn zeer ontstemd over een prijsverhoging van mexiletine terwijl dit goed beschikbaar was via import of via magistrale bereiding. Bovendien is er geen innovatie verricht en is er slechts een beperkte dosering beschikbaar. Iedere prijsverhoging en met name bij dit prijsniveau slurpt budget op voor andere zorg binnen en buiten de cardiologie die ook nodig is.
 3. Wij zijn zeer ontstemd over de contra-indicatie die is vastgelegd voor Namuscla tav o.a. hartritmestoornissen en hartfalen – wat juist klassieke indicaties zijn voor mexiletine.

Bijlage 7

Inspreektekst namens de patiëntenorganisatie Spierziekten Nederland
Betreft: Zinl-APC vergadering 11 december 2020 inzake mexiletine/Namuscla als behandeling van mensen met niet-dystrofische myotonieën

Geachte leden van de ACP,

Hartelijk dank dat u Spierziekten Nederland de gelegenheid biedt om in deze vergadering te spreken. Want ook al delen wij de algemene conclusies van de voorliggende rapporten en staan wij achter het advies om mexiletine te registreren voor patiënten met niet-dystrofische myotonie, toch baart dit traject ons wel grote zorgen.

Normaliter juichen wij het toe wanneer farmaceuten zich inspannen om nieuwe middelen te ontwikkelen voor spierziekten. Voor onze zeldzame ziekten zijn immers nog maar zeer weinig werkzame medicijnen beschikbaar. Een nieuw medicijn biedt onze mensen perspectief op een beter leven en soms ook langer leven. Daarom is een nieuw medicijn voor ons een reden om de vlag in top te hijsen. Dat ligt vandaag anders.

Mexiletine wordt namelijk al jaren off label voorgeschreven en vergoed op grond van rationele farmacotherapie. Het middel is voor alle patiënten beschikbaar, ook voor kinderen. Het middel is relatief eenvoudig te maken. Iedere geschoolde apotheker kan het bij wijze van spreken in zijn keuken bereiden. Het was dan ook niet duur. Sterker nog, het was een van de weinige niet-dure weesgeneesmiddelen voor spierziekten.

Voor onze patiënten maakt het niet uit of het middel nu mexiletine heet of Namuscla, als het maar beschikbaar is en blijft, want het effect is groot. Dankzij dit middel kunnen mensen een dag werken of school volhouden. Mexiletine maakt dat onze mensen deel kunnen nemen aan onze maatschappij.

Maar daar lijkt de producent van Namuscla een stokje voor te willen steken door het middel voor een verbijsterend hoge prijs in de markt te zetten. Maar wat is de ratio achter deze prijs? Een lang ontwikkeltraject was niet nodig, want het middel was er al. Onderzoek naar de werkzaamheid was ook niet nodig, want dat was al in het Radboudumc gebeurd. En aan de bereidingskosten kan het ook niet liggen. Hoe kan de producent deze hoge prijs verantwoorden, vragen wij ons af.

Wel heeft de fabrikant de weesgeneesmiddelenstatus gekregen wat hem tot monopolist maakt. We zitten nu opgescheept met een middel met een prijs die 8 tot 9 keer hoger ligt dan het geïmporteerde middel, terwijl aan de werking niets verandert. Het levert de patiënten niks extra's op, en leidt ook niet tot verbetering in de zorg, maar kost Nederland per jaar wel al snel 6 miljoen euro extra.

En uiteindelijk zijn de patiënten de dupe. Want wat als deze prijs in de toekomst van invloed gaat zijn op de vergoeding en daarmee de beschikbaarheid van dit middel? Wat gebeurt er bijvoorbeeld als er een tweede mexiletine merk voor een reële prijs wordt geregistreerd, voor een andere aandoening? Wordt er dan een gemiddelde prijs berekend en wordt dan de patiënten gevraagd het bedrag boven dit gemiddelde bij te betalen?

De meeste mensen met niet-dystrofische myotonie hebben het financieel al niet breed. Zelfs een eigen bijdrage van een paar honderd euro is voor deze mensen niet op te brengen en betekent in de praktijk dat het middel voor hen niet beschikbaar is.

Geachte leden van de commissie,

De Europese weesgeneesmiddelen-wetgeving is tot stand gekomen om de ontwikkeling van medicijnen voor zeldzame ziekten te bevorderen. Het is voor ons belangrijke wetgeving, met een onmiskenbaar effect, maar het kan nooit de bedoeling van de wetgever zijn geweest om een nieuwe vorm van farmaceutische kaperij te faciliteren. Maar het gebeurt helaas wel. Daarom hangt vandaag bij ons de vlag half stok.

Wij snappen dat u niet over de Europese wetgeving gaat, maar wij zouden het waarderen als u er aan de hand van dit voorbeeld bij de minister op zou willen aandringen dit lek in de regelgeving zo snel mogelijk te dichten.

Dit verzoek doen wij mede namens het Spierziekten Centrum Nederland waartoe alle academische expertisecentra voor spierziekten behoren.

Ik kom bij mijn laatste punt van zorg: de kinderen. Niet dystrofische myotonieën bij volwassenen zijn zeldzaam. Maar bij kinderen is de ziekte nog veel zeldzamer. Het gaat om enkele tientallen patiëntjes. En slechts een gering percentage van hen krijgt mexiletine voorgeschreven. Er wordt niet stilgestaan bij de mogelijke consequenties hiervan op de beschikbaarheid voor kinderen.

Wij vragen u om dit middel ook voor dit handjevol kinderen beschikbaar te stellen, eventueel binnen een studie-opzet. Het expertisecentrum heeft aangegeven hieraan mee te willen werken. En let wel: De budget-impact is verwaarloosbaar klein, maar de impact op deze jonge levens is immens.

Ik dank u voor uw aandacht.

Bijlage 8

T.a.v. het product:

- mexiletine betreft een bekend en goed gedocumenteerd geneesmiddel, sinds de 70-er jaren is het beschikbaar.
- het geneesmiddel wordt al jaren verstrekt aan zowel cardiologische als neurologische patiënten. Het gebruik bij non-dystrofische myotone aandoeningen is Europees onderbouwd.
 - vaak als import geneesmiddel
 - er zijn ook apotheekbereidingen beschikbaar

Waarom is er een bereiding voorhanden?

- de apotheekbereiding wordt ingezet om patiënt specifieke formulering beschikbaar te maken (bijv. de drank voor kinderen)
- de bereiding kent een goede beschikbaarheid via verschillende apotheken
- er is een goedgekeurde pharmacopee grondstof beschikbaar, deze staat vermeld in de G-standaard.