

Zorginstituut Nederland
Zorg

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

95
Adviescommissie Pakket

Datum
15 juli 2021

Onze referentie
2021028459

Omschrijving	Adviescommissie Pakket
Vergaderdatum	15 juli 2021, 11.30 uur
Vergaderplaats	Videoconferentie i.v.m. coronamaatregelen
Aanwezig	Romke van der Veen (voorzitter) Jan van Busschbach Marcel Canoy Carina Hilders Carla Hollak Cor Oosterwijk Jos Schols Jacqueline Zwaap (secretaris) Angèl Link (plv. secretaris, verslag)
Afwezig	Hans Gelderblom Marcel Verweij

5 1 Opening en mededelingen

De voorzitter heet iedereen welkom bij de ACP vergadering. Hij verzoekt alle leden van de commissie de camera aan te doen en de microfoon uit en alle deelnemers zowel de camera als de microfoon uit te doen. Hij zal de sprekers uitnodigen om de camera en microfoon aan te zetten wanneer het moment daar is. Er zijn twee leden verhinderd, namelijk Hans Gelderblom en Marcel Verweij. Na aanleiding van discussies in de ACP-vergaderingen van mei en juni heeft de commissie brieven ontvangen die bij de stukken ter kennisgeving zijn gevoegd. De commissie heeft voor de bespreking vandaag inspraakverzoeken ontvangen van de patiëntenorganisatie en het expertisecentrum. Er zijn geen leden met conflicterende belangen.

2 Verslag van de vergadering van 25 juni 2021 (94)

Marcel Canoy geeft aan dat zijn opmerking over ethische rechtvaardiging (regel 157) niet goed is geformuleerd en vraagt het verslag op dat punt aan te passen. Ook vraagt hij nog eens goed te kijken naar de formuleringen in de regels 207-209. Marcel Canoy herinnert zich de discussie anders. Jan van Busschbach geeft aan dat hij (regel 170) bedoelde dat kwaliteit van leven gegevens bij dat dossier juist minder relevant waren omdat het effect op overleving dominant was. De voorzitter heeft de zin over het vertrouwen in de beroepsgroep (379) anders

25 bedoeld dan hoe het nu in het verslag is opgenomen. Het secretariaat zal de band op die punten terugluisteren en het verslag aanpassen.

3 Stukken ter kennisgeving

30 De voorzitter vraagt of er nog leden zijn met vragen of opmerkingen naar aanleiding van de stukken ter kennisgeving. In het bijzonder vraagt de voorzitter aandacht voor de binnengekomen brieven en of deze nog aanleiding geven tot vragen of opmerkingen. Dat is niet het geval.

4 Tafamidis (61 mg) bij de behandeling van verworven of erfelijke transthyretineamyloïdose bij volwassen patiënten met cardiomyopathie (ATTR-CM)

35 De voorzitter nodigt de medewerker uit om het onderwerp in te leiden. Zij doet dit aan de hand van een presentatie (bijlage 1). De voorzitter vraagt of er vragen zijn. Cor Oosterwijk viel het op dat de positieve resultaten voor kwaliteit van leven bij de patiënten met NYHA klasse III met enige voorzichtigheid geïnterpreteerd moeten worden omdat het maar om 20 patiënten ging. Bij de negatieve resultaten over het aantal ziekenhuisopnames is dat voorbehoud niet opgenomen. De medewerkster antwoordt dat de ligging van de puntschatter minder goed was dan bij klasse I en II. Een andere medewerkster vult aan dat het niet logisch klinkt dat patiënten waarbij er sprake is van meer ziekenhuisopnames een betere kwaliteit van leven ervaren. Zij verwacht dan ook het om verschillende klasse III-patiënten gaat, maar dat is op basis van de publicatie niet duidelijk. Marcel Canoy heeft een vraag over waarom het een onbekend ziektebeeld is voor zowel huisartsen als cardiologen. Huisartsen kan hij zich wat bij voorstellen, maar 40 cardiologen wat minder. De medewerkster antwoordt dat het een zeldzame aandoening betreft die moeilijk is te herkennen. De voorzitter stelt vast, kijkend naar de cijfers, dat het niet heel zeldzaam is. De medewerkster vult aan dat het steeds meer bekendheid krijgt, wat ook terug is te zien in een stijging van het aantal patiënten. Carina Hilders vraagt zich af of de ondersteunende therapie ook in de kosteneffectiviteit is meegenomen. Dat is het geval. Er zijn geen verdere vragen. 45 50 55

De voorzitter nodigt de heer Verhagen uit om namens de patiëntenorganisatie SAN (Stichting Amyloïdose Nederland) in te spreken. Zijn tekst is bijgevoegd als 60 bijlage 2. De voorzitter vraagt of er nog vragen zijn voor de inspreker. Cor Oosterwijk bedankt de inspreker voor zijn aanwezigheid. Zij kennen elkaar al enige tijd. De inspreker zet zich al jaren in voor deze aandoening. Hij spreekt zijn complimenten hiervoor uit. Hij heeft een vraag of de door de inspreker genoemde besparingen zijn meegenomen in de kosteneffectiviteitsberekening. De 65 medewerkster antwoordt dat de besparingen in de zorg zijn meegenomen. Over de besparingen op mantelzorg waren geen gegevens beschikbaar en die konden daarom niet meegenomen worden. Carla Hollak bedankt de inspreker. Zij steunt de oproep van de inspreker aan partijen op te regelen dat dit middel beschikbaar kom. Dat wil zij ook; het probleem is de enorm hoge prijs. Op basis van de 70 inspraak nemen haar zorgen toe over het volume. Ze concludeert dat de getallen in het rapport mogelijk een onderschatting zijn. Zij vindt het van belang om deze onzekerheid mee te nemen in de discussie. Er zijn geen verdere vragen.

De voorzitter nodigt de heer Nienhuis uit om in te spreken namens het 75 Amyloïdose expertisecentrum. Op de vraag of er sprake is van conflicterende belangen antwoordt de inspreker dat hij in het verleden consultancy fees heeft

ontvangen van Pfizer. De inspreker geeft ook aan dat hij namens het expertisenetwerk amyloïdose spreekt. Zijn inspraak is bijgevoegd als bijlage 3 (PM). De voorzitter bedankt de inspreker voor zijn toelichting en vraagt of er nog vragen zijn. Carla Hollak is blij te horen dat er een systeem voor gepaste inzet wordt ingericht, zoals de commissie graag ziet. Er worden individuele verschillen gevonden wat betreft respons. Zij wil graag weten of het op dit moment mogelijk is om een behandelalgoritme op te stellen op basis van voorspellende biomarkers. De inspreker antwoordt dat daar op dit moment geen wetenschappelijk basis voor is. Het lastige is dat het een progressieve ziekte betreft. Met het middel wordt de achteruitgang geremd waardoor patiënten niet als eigen controle kunnen dienen. In het register wil het expertisecentrum beeldvormende gegevens en gegevens over biomarkers gaan verzamelen. Die gegevens gaan hopelijk een bijdrage leveren aan gepaste inzet van tafamidis. Mogelijk dat er in de toekomst nog alternatieve middelen beschikbaar komen. Wat betreft de subgroepanalyse bij NYHA klasse III moeten de data voorzichtig geïnterpreteerd worden, maar voor die groep lijkt het middel minder effectief dan bij patiënten met klasse I en II. Carla Hollak geeft aan ervaring te hebben middelen voor progressieve aandoeningen. Haar ervaring is dat stopcriteria mogelijk zijn mits patiënten van tevoren goed worden geïnformeerd dat wanneer de achteruitgang toch groter is dan verwacht de behandeling zal worden gestaakt. Haar ervaring is dat patiënten hier begrip voor hebben. Zij vraagt zich af of het een onafhankelijk register betreft of dat dit gesponsord is vanuit de industrie. De inspreker antwoordt dat het een onafhankelijk register betreft. De inspreker vindt het eveneens van belang om kritisch naar stoppen te kijken. Indien patiënten verslechteren naar klasse IV en er sprake is van meer ziekenhuisopnames moet overgewogen worden of doorbehandelen zinvol is. Cor Oosterwijk denkt dat het gebruik van stopcriteria niet gemakkelijk zal zijn. Cor Oosterwijk vraagt of de inspreker de inschatting van het aantal patiënten onderschrijft en wat eraan gedaan wordt om de patiënten die nog niet gediagnosticeerd zijn op te sporen. De inspreker geeft aan dat de schattingen wel kloppen. Hij verwacht dat een deel van de patiënten te ziek zal zijn om in aanmerking te komen voor tafamidis. Hij verwacht ook niet dat al die patiënten aan het licht gaan komen. Het expertisecentrum probeert de awareness te verhogen. Er zijn inmiddels betere technieken om de juiste diagnose te stellen. Dit zal leiden tot een toename in het aantal patiënten de komende jaren, maar zal niet zo'n vaart lopen. Carina Hilders vraagt zich af hoe het expertisecentrum de awareness probeert te verbeteren. De inspreker antwoordt dat er een landelijke leidraad is opgesteld die op congressen wordt gepresenteerd. Ook is er een regiotour georganiseerd. De afgelopen jaren zien we een toename in het aantal patiënten, dus dat lijkt succesvol te zijn geweest. De inspreker spreekt zijn wens uit om patiënten in een eerder stadium te gaan behandelen, daarom is diagnostiek zo van belang. Marcel Canoy heeft een vraag over de conflicterende belangen. Hij is benieuwd welke consultancy fees de inspreker heeft ontvangen. De inspreker antwoordt dat dat lang geleden was. Hij heeft meegedacht aan een algoritme voor diagnostiek dat op de website van Pfizer is geplaatst. Pfizer sponsort ook het landelijk symposium. Dat soort zaken. Jos Schols begrijpt dat dit middel reeds in een andere dosering beschikbaar is. Hij vraagt zich af of deze patiënten ook met de hogere dosering behandeld zullen gaan worden. De inspreker antwoordt dat het aantal patiënten met uitsluitend cardiale klachten heel klein is en verwacht dat dat wel mee zal vallen. Er zijn geen verdere vragen.

De voorzitter opent de discussie. Vertrekpunt van de discussie is dat het middel bewezen effectief is voor NYHA klasse I en II, maar dat het niet kosteneffectief is.

130 De prijs zal met minimaal 50% moeten dalen om onder de referentiewaarde te
komen. Er is sprake van een hoge budgetimpact waar ook onzekerheid over
bestaat. Hiervoor geldt de conclusie dat van opname in de basisverzekering geen
sprake kan zijn tenzij er een forse prijsdaling komt. De voorzitter vraagt of de
leden zich kunnen vinden in deze samenvatting en of er nog andere argumenten
zijn die een rol zouden moeten spelen in het advies. Jan van Busschbach deelt de
135 samenvatting. Wat hij wel wil benadrukken dat de referentiewaarde niet de grens
is van een eerlijke prijs. Die waarde houdt in dat als de kosteneffectiviteit
daarboven ligt, het middel voor de samenleving meer kwaad dan goed doet,
omdat het zorg die tot meer gezondheidswinst leidt verdringt. De voorzitter
vraagt of Jan van Busschbach probeert te zeggen dat de commissie zou moeten
140 aansturen op een hogere korting dan 50%. Jan van Busschbach bevestigt dat. Hij
heeft geen argument gehoord waarom dit middel zo duur zou moeten zijn. Het is
een opvolger van een bestaand middel waardoor er minder onderzoeken nodig
zijn geweest. Hij is daarom van mening dat de prijs nog lager zou moeten zijn om
in de buurt te komen van wat wij rechtvaardig vinden. Marcel Canoy onderschrijft
145 dit en herhaalt nog een keer dat de referentiewaarde van €80.000 per QALY
alleen te rechtvaardigen is wanneer de fabrikant geen business model heeft als hij
een lagere prijs hanteert. Hiervan is bij dit medicijn geen sprake. We weten niet in
welke mate, maar het betreft een indicatie-uitbreiding en een vrij grote populatie
waardoor het business model bij een lagere prijs ook positief zal zijn. Carla Hollak
150 deelt deze mening. Het is weliswaar een ander soort preparaat, maar de variant
van 20 mg is al sinds 2006 op de markt. Ze weet niet of de bescherming is
weggefallen en of de fabrikant met deze andere formulering probeert opnieuw
langdurige bescherming te krijgen. Als dat zo is, zou zij een langdurige
monopoliepositie niet terecht vinden. Carla Hollak geeft aan dat er echt iets van
155 haar hart moet. Ze vindt het triest. Ze ziet hoe de beroepsgroep haar best doet
en dat het voor een deel van de patiënten echt verschil maakt, maar dat we door
de hoge prijzen in deze situatie belanden. De voorzitter ziet dat als een oproep
richting de fabrikant. Marcel Canoy valt bij dat alle leden van de commissie deze
emoties hebben. Cor Oosterwijk geeft aan dat prijs-volume afspraken wellicht een
160 optie zouden kunnen zijn, ondanks dat daar wellicht uitvoeringsproblemen aan
zitten. Hij vraagt zich af of de commissie kan kwantificeren hoeveel meer er van
de prijs af zal moeten. Marcel Canoy licht toe dat voor een meer cost based
benadering je andere gegevens nodig hebt, waarover de commissie nu niet over
beschikt. Wellicht in de toekomst. Voor een dergelijk grote populatie hoeft de prijs
165 niet zo hoog te zijn. Marcel Canoy is dan ook van mening dat de prijs aanzienlijk
lager kan. Hij geeft verder aan dat als er sprake zou zijn van onzekerheid, pay
for performance oplossing kan bieden. Carla Hollak geeft aan dat er sprake is van
onzekerheid over de effectiviteit. De voorzitter geeft aan dat de commissie tot nu
toe eigenlijk alleen in geval van curatieve behandelingen pay for performance
170 afspraken heeft geadviseerd. In geval van remming van een progressieve ziekte
lijkt het hem wat lastig. De leden delen zijn mening. De voorzitter concludeert
aanvullend op zijn samenvatting bij de start van de discussie dat de commissie
van mening is dat een prijskorting van 50% eigenlijk te laag is. Hoeveel lager
kunnen we onvoldoende benoemen omdat we niet weten hoe de prijs tot stand is
175 gekomen. De commissie vindt forse prijsreductie aangewezen omdat het een
indicatie-uitbreiding betreft en er sprake is van een vrij grote populatie. Hij vraagt
of de leden nog aanvullingen hebben. Het is Jan van Busschbach opgevallen dat
het middel in andere landen niet altijd met open armen is ontvangen en dat, als
het vergoed wordt, er strikte regels gelden. De voorzitter zou willen adviseren dat
180 een weesgeneesmiddelen-arrangement is aangewezen. Er is nog veel onbekend.

Zorginstituut Nederland
Zorg

Datum
15 juli 2021

Onze referentie
2021028459

185 Carina Hilders wil de beroepsgroep en de patiëntenorganisatie complimenteren met het genomen initiatief. Het zou wellicht fijn zijn indien er ondersteuning komt vanuit de fabrikant. Carla Hollak reageert dat zij daar geen voorstander van is en het belangrijk vindt dat registers onafhankelijk zijn van de industrie. De voorzitter deelt die mening. Cor Oosterwijk heeft het expertisecentrum niet horen klagen, maar vindt wel dat als er middelen nodig zijn voor het register, zij dit moeten melden. De voorzitter concludeert dat het advies zal bestaan uit de samenvatting die hij eerder gaf, de argumenten voor een hogere prijsreductie en tot slot het advies om gepast gebruik afspraken op te stellen. Er zijn geen aanvullingen. De 190 secretarissen zullen het advies uitschrijven en met de leden van de commissie afstemmen waarna het op de website geplaatst zal worden. De voorzitter bedankt de medewerkster, de sprekers en de leden voor hun bijdrage.

5 Rondvraag en sluiting

195 Er zijn geen vragen. De voorzitter sluit de vergadering met de conclusie dat het hem voor het eerst sinds tijden is het gelukt om de vergadering binnen de gestelde tijd af te ronden. Afhankelijk of er onderwerpen zijn, is de volgende vergadering in augustus of september. Hij wenst iedereen een goede zomer.

Dia 1

Zorginstituut Nederland

Tafamidis 61mg vrije zuur (Vyndaqel®)

ATTR-CM

GVS-geneesmiddel

Ly Tran

| Van goede zorg verzekerd |

Dia 2

Tafamidis (Vyndaqel®)

Tafamidis 61mg (vrije zuur) is geregistreerd voor de behandeling van wild-type of erfelijke transthyretineamyloidose bij volwassen patiënten met cardiomyopathie (ATTR-CM)

Tafamidis 20mg (meglumine) is geregistreerd voor de behandeling van transthyretineamyloidose bij volwassen patiënten met een stadium I symptomatische polyneuropathie om perifere neurologische stoornissen te vertragen. Voor deze indicatie is tafamidis vergoed.

Tafamidis 61mg vrije zuur is bio-equivalent aan 80mg tafamidis meglumine.

2

Dia 3

Transthyretineamyloidose met cardiomyopathie

The diagram illustrates the pathophysiology of Transthyretin Amyloid. It starts with TTR mRNA in the liver, which is translated into TTR tetramers. These tetramers can be folded abnormally, leading to misfolded monomers and oligomers. These oligomers aggregate into amyloid fibrils, which deposit in various tissues, including the heart (causing restrictive cardiomyopathy), small intestine, and peripheral nerves (causing peripheral and/or autonomic neuropathy). The diagram also shows the epidemiology of ATTR-CM, with a line graph showing the number of cases from 2000 to 2020. The graph shows a significant increase in cases, particularly for the wild-type (ATTR) form, which is represented by a red line, compared to the hereditary (hATTR) form, represented by a blue line. A box labeled 'Diagnosis' points to a microscopic image of amyloid fibrils.

Pathology of Transthyretin Amyloid

Small intestine
Restrictive Cardiomyopathy
Peripheral and/or Autonomic Neuropathy

Epidemiology

Recognition of ATTR-CM

Number of Cases

2000 2010 2020


hATTR
ATTR

Diagnosis

- presenteert zich met symptomen bij hartfalen
- NYHA classificatie wordt gebruikt om de ernst van de hartfalen aan te geven
- Behandeling bestaat uit de behandeling van de cardiologische aandoeningen
- Twee vormen van ATTR-CM:
 - Wild-type (verworven): 43 maanden overleving
 - Erfelijk: 25,6 maanden overleving

3

Dia 4



Tafamidis 61mg vrije zuur

Gunstige effecten

- Minder sterftegevallen ongeacht oorzaak (klinisch relevant)
- Bij NYHA klasse III: verhoogde kans op cardiovasculaire-gerelateerde ziekenhuisopnames, niet-significante lagere kans op sterkte ongeacht oorzaak
- Achteruitgang in loopvermogen minder snel (klasse I en II significant)
- Klinische relevante verbetering van kwaliteit van leven (alle klassen)

Ongunstige effecten

- Ongunstige effecten kwamen niet vaker voor dan bij placebo
- Aantal stakers: 36% in tafamidis arm, 42% placebo arm. Grotendeels door sterfte.

4

Dia 5



Stand van de wetenschap en praktijk

Tafamidis voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk voor patiënten met wild-type of erfelijke ATTR-CM en NYHA klasse I-II

Tafamidis voldoet niet aan de stand van de wetenschap en praktijk voor patiënten met wild-type of erfelijke ATTR-CM en NYHA klasse III

Patiënten met NYHA klasse IV waren geëxcludeerd van de studie

5

Dia 6




Volume en kosten tafamidis 61mg vrije zuur

Totaal aantal patiënten dat in jaar 3 voor behandeling met tafamidis in aanmerking komt	1.979-4.672
Jaarlijkse kosten per patiënt	€122.552
De totale meerkosten in het derde jaar na opname	€172 – 412 miljoen

Brede spreiding: Onzekerheid over hoe snel de diagnostiek zich gaan ontwikkelen

6

Dia 7



Kosteneffectiviteit tafamidis 61mg


Ziektelast	0,77
ICER referentiewaarde €80.000/QALY	€151.050 per QALY

Tafamidis + BSC is niet kosteneffectief ten opzichte BSC.
Prijsdaling: ruim 50%

Onzekerheid over algehele overleving na 66 maanden

7

Dia 8




Andere punten

- De behandelaars zijn bezig met een gepast gebruik protocol voor herkenning van ATTR-CM, doorverwijzing, behandeling, verzameling van gegevens.
- Er lopen een aantal klinische studies van andere geneesmiddelen in deze indicatie.

8

Dia 9



Conclusie

- Tafamidis 61mg voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk voor wild-type of erfelijke ATTR-CM en NYHA klasse I-II
- Budgetimpact wordt geschat op €172-€421 miljoen in het derde jaar na opname
- Tafamidis 61mg is niet kosteneffectief. De prijs zou met ruim 50% moeten dalen om onder de referentiewaarde van €80.000/QALY te vallen

9



Vragen aan de commissie

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

Betreft: opname van Tafamidis (Vyndaqel 61mg, vrije zuur) in het GVS,

Namens de Patiëntenorganisatie SAN -Stichting Amyloïdose Nederland wil ik u dankzeggen voor de mogelijkheid onze zienswijze in deze vergadering naar voren te brengen. Ik probeer hierbij de hoop en verwachting te verwoorden van de honderden patiënten die nu reeds als patiënten van wild-type ATTR-amyloïdose of als dragers van de ATTR erfelijke variant zijn gediagnosticeerd met cardiale betrokkenheid van deze ziekte; maar tevens bij te dragen tot het proces van tijdige diagnostisering van de duizenden personen in ons land die zonder zich daar bewust van te zijn dragers zijn een van een erfelijke ATTR variant dan wel, veelal ouderen, getroffen door de veel minder zeldzame 'wild type' ATTR variant, ook wel genoemd ouderdomsvariant.

Nog niet gediagnosticeerd ondervinden zij reeds nu, of zullen zij in de nabije toekomst, in hun dagelijks leven de gevolgen hiervan ondervinden, zoals extreme kortademigheid, een permanent gevoel van vermoeidheid, en andere fysieke beperkingen. Zij voelen zich hierdoor 'gehandicapt', en kunnen niet meer normaal functioneren in hun werk- of sociale omgeving, en zij zijn veroordeeld tot een beperkte levensverwachting (2 tot 3 jaar). Deze verwijzing naar bovengenoemde 'duizenden' betreft vooral de dragers van de ouderdomsvariant variant. Dat hoge aantal leid ik af uit de ons toegezonden documentatie van het Zorg Instituut waarbij bij de berekening van de budgetimpact uitgegaan wordt van een mogelijke toename in de komende jaren van het aantal te behandelen patiënten tot meer dan 4.000 (scenario 2). Deze toename is niet primair toe te schrijven aan een toename van de ziekte als zodanig, maar aan de uitbreiding en effectiviteit van het diagnostisch proces in meerdere medische centra. Deze hebben zich in toenemende mate toegerust met de benodigde kennis en geavanceerde apparatuur, zoals scintigrafie. Als patiëntenvereniging zijn wij dan ook dankbaar dat niet alleen in de Amyloïdose 'expertise centra' van het UMCG en UMCU, maar dat nu ook in het Erasmus/Rotterdam en het UMC Maastricht multidisciplinaire teams operationeel zijn voor diagnose en behandeling, en dat tevens de basis is gelegd voor een centrale registratie van ATTR diagnoses en behandelingen door het UMCG; een monitoring systeem in wording waar alle partijen baat bij zullen hebben.

Bij het in kaart brengen van ernst van het hartfalen als gevolg van ATTR blijkt etniciteit ook van belang. In het New England Journal of Medicine van Juni 2016, wordt gewezen op de "V122I Transthyretin Variant in Elderly Black Americans", een pathogene mutatie die aanwezig is bij circa 3-4% van deze categorie. Dit blijkt een complicerende factor, die een ernstige mate Cardiomyopathie kan veroorzaken met consequenties voor de ziektelast en overlevingskans.

Meer in het algemeen kan men stellen dat onze zwarte gemeenschap in Nederland onevenredig zwaar getroffen wordt door ATTR gerelateerde vormen hartfalen. Bij bloedverwanten van de uit west Afrika afkomstig 'slaaf-gemaakten' komt de erfelijke vorm van de ATTR amyloid cardiomyopathie vaak voor, juist ook bij ouderen. Die aanleg is, zo mag men veronderstellen, is ook aanwezig bij een groot deel van onze Rijksgenoten met een Surinaamse of Antilliaanse immigratie achtergrond. Dat betekent dat zwarte, of daaraan bloedverwante ouderen dubbel getroffen worden door zowel de bij hen meer voorkomende erfelijke vorm, als de algemeen voorkomende ouderdomsvorm (wild-type variant). En dit bovenop de toch al hogere aanwezige ziektelast, en slechtere inkomenspositie, die de zwarte populatie ook al onevenredig treffen.

Vanuit het principe van 'Black Lives Matter', verdient deze bevolkingsgroep, en vooral zij die in zogenaamde achterstandswijken wonen, speciale aandacht. Dit is een extra uitdaging voor allen die bij de gezondheidszorg betrokken zijn, inclusief SAN als patiëntenorganisatie, waarbij het, tet wel, niet alleen gaat om behoud van 'Black Lives', maar ook om behoud van de 'Blacks Quality of Live'.

Als ander punt dat zou ik willen noemen, is het grote effect dat de ATTR ouderdomsvariant heeft op het fragiele evenwicht dat bij veel oudere echtparen, ongeacht etniciteit aanwezig is. Dat evenwicht wordt door deze ziekte jaren eerder dan nodig is, verstoord. Om tegemoet te komen aan al de aanwezige beperkingen van een of beide partners, zijn er uitgebreide compensatiemechanismen tot bloei gekomen zoals de WMO, wijkzorg en verpleeghuiszorg met alle gevolgen van dien voor de kosten die de samenleving daarvoor moet opbrengen, maar waardoor het toch nog lukt om samen jarenlang zelfstandig te blijven functioneren: zelfredzaamheid! Maar helaas de sluipende vorm van Ameloid hartfalen verstoord dit evenwicht, en is dusdanig groot dat eerder een beroep moet worden gedaan op allerlei maatschappelijke voorzieningen.

In de berekeningen die ik gezien heb over de kosteneffectiviteit van het nieuwe medicijn, vind ik niet terug wat de besparingen zijn op bovengenoemde vormen van zorg. Immers door de positieve

impact van medicatie op levensenergie en behoud van zelfstandigheid hoeft in mindere mate een beroep gedaan te worden op al die zorg en steun.
Een andere overweging is dat wanneer de patiënt door goede medicatie minder hulpbehoevend is, dit ook van invloed is op de 'quality of life' van de 'mantelzorger', veelal een partner of ander familielid, en op haar of zijn participatie in het maatschappelijk arbeidsproces, betaald werk of vrijwilligerswerk. "Ik kom aan niets anders meer toe", zo hoort men zeggen. De bovengenoemde kostenbesparingen en winst in Quality of Life' van patiënt en mantelzorger laten zich moeilijk becijferen, maar dat zijn daarmee niet minder relevant - daarvoor zijn de voldoende getuigenissen aanwezig - en zouden moeten worden meegewogen in de besluitvorming over de opname van 'Vyndaqel 61mg' in het basispakket.

Over de effectiviteit van het medicijn in het verlichten van de ziektelast en levensverlenging, en de meerwaarde t.o.v. een lagere dosis, lijkt geen twijfel meer te bestaan. Dat is onder meer aangetoond door het in Frankrijk verrichte onderzoek door het Universitair Ziekenhuis Henri Mondor - Créteil/Parijs onder leiding van cardioloog Prof. Thibaud Damy, en dit heeft ongetwijfeld bijgedragen tot de opname van dit medicijn in het Franse basispakket van door de verzekeringen gedekte uitgaven. Die positieve impact wordt ook bevestigd door signalen die ons als SAN bereiken vanuit onze eigen SAN achterban van patiënten die zich gelukkig prijzen aan het Free of Charge programma te hebben kunnen deelnemen.

In de door het ZIN opgestelde rapporten blijkt dan ook geen twijfel over die meerwaarde en effectiviteit, wel echter over de kosten-effectiviteit bij de huidige prijsstelling (Euro 122.552/jaar). Deze zou "met ruim 50 % moete dalen om onder de grens van Euro 80.000 per QALY te vallen" (aldus pagina 52, ZIN Farmaco-economisch rapport voor Tafamdis/Vyndaqel).

Als patiëntenorganisatie kunnen wij niet anders doen dan onze hoop en verwachting uitspreken dan dat de betrokken partijen, te weten Pfizer, het Ministerie en Verzekeringsinstanties, in deze geadviseerd door ZIN/ACP, tot een besluit zullen komen dat aan de patiënten en hun dierbaren een vreugdevol perspectief zal bieden, te weten een gerechtvaardigde verwachting van behoud van leven en kwaliteit voor de jaren die hen nog gegeven zijn, dankzij de toegang tot passende behandeling en medicatie, met daarin een niet te miskennen belangrijke plaats voor Tafamdis/Vyndaqel 61 mg. Het ontzeggen van die toegang zou voor velen niet anders dan rampzalig zijn.