Zorginstituut Nederland

Advies van de ACP aan de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over de beoordeling van ivacaftor/lumacaftor (Orkambi®) bij cystische fibrose

De Adviescommissie Pakket (ACP) adviseert de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over voorgenomen pakketadviezen. Zij toetst deze adviezen aan de pakketcriteria en kijkt of de uitkomsten daarvan maatschappelijk wenselijk zijn. Daarbij kijkt zij zowel naar de belangen van de patiënten die in aanmerking komen voor vergoeding van een bepaalde interventie, als naar de belangen van patiënten met andere aandoeningen (die ook graag willen dat de behandeling van hun aandoening wordt vergoed) en van premiebetalers. Zij doet dit vanuit het principe dat de in de basisverzekering geïnvesteerde euro's maximale gezondheidswinst zouden moeten opleveren voor de bevolking.

De commissie heeft in haar vergadering van 22 april 2016 over het pakketadvies ivacaftor/lumacaftor gesproken.

De commissie stelt vast dat er weliswaar sprake is van een effectief geneesmiddel, maar dat de klinische relevantie van dit effect beperkt is. In het klinisch onderzoek is gekeken of ivacaftor/lumacaftor de longfunctie verbetert. Dit is gemeten als de ppFEV1: de verbetering van de hoeveelheid lucht die een patiënt in een seconde kan uitblazen, uitgedrukt als percentage van het voorspelde volume van de betrokken patiënt. De onderzoeksresultaten laten zien dat deze verbetering 2 tot 3%, bedraagt, terwijl patiënten met de aandoening in dit stadium ongeveer 30% van hun longcapaciteit verloren zijn. Zij winnen dus relatief maar een klein gedeelte terug van hun verloren longcapaciteit door het geneesmiddel. Mede omdat er wel sprake is van een aanzienlijke afname (30 tot 40%) van het aantal opvlammingen van de ziekte, die vaak gepaard gaan met infecties die het longvolume (meestal tijdelijk) verder doen afnemen (exacerbaties), heeft de Wetenschappelijke Adviesraad toch een therapeutische meerwaarde toegekend aan de combinatie ivacaftor/lumacaftor.
De kosteneffectiviteit is echter zeer ongunstig en het model dat de fabrikant heeft aangeleverd is methodologisch onvoldoende onderbouwd. Dat wil zeggen dat de kosteneffectiviteit vermoedelijk nog ongunstiger is dan de ongeveer € 360.000 per voor kwaliteit gecorrigeerd gewonnen levensjaar (QALY) waar de fabrikant op uit is gekomen.
De commissie heeft onderzocht of er toch redenen zijn om deze zeer ongunstige kosteneffectiviteit te accepteren. Een argument dat daarvoor kan pleiten is dat het in theorie mogelijk is de effectiviteit van het geneesmiddel te verbeteren. In dit geval zou dat kunnen door middel van selectie vooraf van een groep patiënten die veel baat zal kunnen hebben bij het geneesmiddel. De methode die hiervoor wordt gebruikt, is echter nog niet gevalideerd en daarom is deze mogelijkheid nog met te veel onzekerheden omgeven.

De commissie komt daarom tot de conclusie dat er in dit geval geen redenen zijn om de zeer ongunstige kosteneffectiviteit te accepteren en adviseert negatief over toelating van ivacaftor/lumacaftor tot het pakket.

De commissie voegt daar nog aan toe dat, wanneer er adviezen gegeven moeten worden met een grote impact als in het onderhavige geval, transparantie heel belangrijk is. Het gebrek aan transparantie over de prijsstelling van dit middel, waaronder de commissie ook de prijsstelling in andere landen verstaat, maakt het rechtvaardig verdelen van publiek geld een lastige opgave.

Mocht de Minister besluiten een onderhandelingstraject over de prijs van dit geneesmiddel in te zetten, dan merkt de Commissie op dat een prijsreductie van ten minste 80% nodig is om de kosteneffectiviteit binnen aanvaardbare marges te brengen. Dat wil zeggen binnen een bandbreedte waarbij er nog maar een beperkte kans is dat opname van het geneesmiddel in de basisverzekering leidt tot verdringing van andere wel kosteneffectieve zorg voor andere groepen patiënten. Het is dan wel van belang dat de methodologische kwaliteit van het

gehanteerde model op orde is. Verder adviseert de commissie ook heldere afspraken te maken over het formuleren en naleven van start- en stopcriteria en over onderzoek om de groep patiënten die veel baat heeft bij dit middel goed te selecteren.