2019061796

Advies van de ACP aan de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over de beoordeling van emicizumab (Hemlibra®) als routineprofylaxe van bloedingen bij patiënten met ernstige hemofilie A zonder remmers

De Adviescommissie Pakket (ACP) adviseert de Raad van Bestuur (RvB) 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 basisverzekering maximale gezondheidswinst dient op te leveren voor de gehele bevolking.
Om hier een uitspraak over te kunnen doen, hanteert de commissie zogenaamde referentiewaarden voor de kosteneffectiviteit. Deze referentiewaarden moeten worden opgevat als maximale bedragen die we als samenleving per gewonnen levensjaar willen investeren in een behandeling. Gaan we daarboven zitten, dan is er sprake van verdringing. Dat betekent dat voor hetzelfde bedrag meer gezondheidswinst kan worden verkregen door het aan andere behandelingen uit te geven. Er moeten dus hele goede redenen zijn om een kosteneffectiviteit gelijk aan de referentiewaarde of zelfs meer dan de referentiewaarde te accepteren.

De commissie heeft in haar vergadering van 6 december 2019 gesproken over de vraag of het ‘sluismiddel’ emicizumab opgenomen moet worden in de basisverzekering. Bij de vergadering heeft de patiëntenvereniging NVHP gebruik gemaakt van het inspraakrecht. De vereniging hield een pleidooi om het middel op te nemen in de basisverzekering omdat het voor sommige groepen patiënten een meerwaarde heeft vanwege een groter gebruiksgemak.

De commissie vindt het op de eerste plaats ongelukkig dat er geen kosteneffectiviteitsanalyse is gedaan. Zij begrijpt de reden daarvoor, namelijk de regel dat een nieuw middel dat een gelijke waarde heeft als een bestaand middel, waarvoor destijds nog geen verplichting gold om een farmaco-economisch dossier in te dienen, ook niet een dergelijke verplichting krijgt opgelegd. Echter, op deze manier beschikt de commissie niet over een goed referentiekader om de kosten en baten van dit middel te toetsen, wat leidt tot extra onzekerheid.

Dat gezegd hebbende vindt zij het toch van belang een uitspraak te doen over emicizumab. Uitgangspunt van de discussie is het advies van de WAR dat het middel effectief is, maar dat er geen gegevens zijn die aantonen dat het middel effectiever zou zijn dan de beschikbare factor VIII preparaten. Wel is het zo dat het middel voor de mensen die ervoor in aanmerking komen veel gebruiksgemak oplevert.
De commissie is daarom verbaasd dat er geen kwaliteit van leven onderzoek is gedaan. Juist een dergelijk onderzoek zou dat onderbouwen.

De commissie vindt dat een groter gebruiksgemak niet zou moeten resulteren in een meerprijs. Te meer omdat er reeds een goedwerkende behandeling voor deze patiëntenpopulatie beschikbaar is, waarvan aannemelijk is dat deze reeds een ongunstige kosteneffectiviteit heeft. Er wordt dus al flink 'geïnvesteerd' in deze patiëntenpopulatie.

De commissie is daarom van mening dat de totale budgetimpact van hemofiliebehandeling met opname van dit middel niet verder mag stijgen. Dat de prijs van emicizumab 20% hoger ligt dan de prijs van het middel dat nu wordt ingezet, vindt zij onbegrijpelijk. Helemaal wanneer rekening wordt gehouden met het feit dat de behandelcentra met de diverse fabrikanten al kortingen overeenkomen die tot wel 60% kunnen oplopen. Bij de prijs die nu voor emicizumab wordt gevraagd zou dit dus een grote stijging van het budget betekenen. Daarnaast dient vanwege het gebruiksgemak ook rekening gehouden te worden met bredere inzet dan de genoemde subgroepen.

De commissie komt op basis van deze argumenten tot het advies dat emicizumab in de basisverzekering kan worden opgenomen tegen een prijs die maximaal gelijk is aan de prijs die nu wordt betaald voor de behandeling van deze patiënten. Het feit dat er ook nog een nieuwe gentherapie aan komt ondersteunt dit advies.

Daarnaast heeft de commissie geconstateerd dat er nog een onduidelijk lange termijn risico is op trombose. Extra safety monitoring zou daarom van belang zijn en jaarlijkse evaluatie zou moeten plaatsvinden om veilige inzet te bevorderen. De beroepsgroep in samenwerking met NVHP kan gevraagd worden om start-criteria te hanteren of verder te ontwikkelen op basis van een afweging van potentieel risico, effectiviteit en gebruiksgemak.

In algemene zin voelt de commissie zich in toenemende mate ongemakkelijk bij de hoge prijzen die producenten vragen. Zij roept het Zorginstituut en de Minister van VWS op om hierover kritische vragen te blijven stellen aan de betreffende producenten. Zij kan zich voorstellen dat een betere onderbouwing van de gevraagde prijs onderdeel uit gaat maken van de informatie die de producent standaard moet aanleveren voor het proces van toelating tot het pakket.