



> Retouradres Postbus 320, 1110 AH Diemen

Aan de minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport
Postbus 20350
2500 EJ DEN HAAG

2025023976

Datum 9 oktober 2025
Betreft GVS advies odevixibat (Kayfanda®) voor cholestatische pruritus

Zorginstituut Nederland
Onderzoek, Ontwikkeling en
Geneesmiddelen
Team Geneesmiddelen

Willem Dudokhof 1
1112 ZA Diemen
Postbus 320
1110 AH Diemen
www.zorginstituutnederland.nl
info@zinl.nl

T +31 (0)20 797 85 55

Contactpersoon
P. Bloemen
warcg@zinl.nl

Onze referentie
2025023976

Geachte heer Bruijn,

Zorginstituut Nederland adviseert u over de opname van odevixibat (Kayfanda®) voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het syndroom van Alagille (ALGS) in het Geneesmiddelenvergoedingssysteem (GVS). Aanleiding voor dit advies vormde uw verzoek in de brief van 15 juli 2025 (CIBG-25-08443). Odevixibat voor progressieve familiale intrahepatische cholestase (PFIC) is reeds opgenomen op bijlage 1A onder de merknaam Bylvay®. Het Zorginstituut adviseert u om, nu ook odevixibat voor ALGS met als merknaam Kayfanda® op te nemen op bijlage 1A en de nadere voorwaarde op bijlage 2 aan te passen en samen te voegen met de nadere voorwaarde voor maralixibat.

ALGS is een erfelijke aandoening die meerdere organen, waaronder de lever, het hart, de nieren, de ogen en het skelet kan aantasten. Kinderen kunnen daarnaast ook problemen krijgen met de groei en een ontwikkelingsachterstand oplopen. De ziekte is niet te genezen. Eén op de 40.000 kinderen wordt geboren met dit syndroom. De behandeling is gericht op het verminderen van de symptomen van de ziekte. De genoemde symptomen komen doordat de lever het gal niet goed afvoert naar de darm. De darm kan de vetten daarom niet goed verteren wat vette diarree geeft. Omdat te veel gal in de lever blijft zitten werkt de lever minder goed. Door de ophoping van galzuren ontstaat jeuk, ook wel cholestatische pruritus. De pruritus kan dermate ernstig zijn, dat het de voornaamste reden vormt voor een levertransplantatie. Het Zorginstituut heeft reeds een positief advies uitgebracht over maralixibat voor cholestatische pruritus als gevolg van het syndroom van ALGS.¹ Odevixibat zorgt, net als maralixibat, voor minder ophoping van galzuren in het lichaam wat de jeuk vermindert.

Geregistreerde indicatie(s)

Odevixibat (Kayfanda®) is geïndiceerd voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille syndroom (ALGS) bij patiënten in de leeftijd van 6 maanden en ouder.

Daarnaast is odevixibat (Bylvay®) geregistreerd en reeds opgenomen in het GVS

¹ <https://www.zorginstituutnederland.nl/publicaties/adviezen/2024/09/20/gvs-advies-maralixibat-livmarli-bij-het-syndroom-van-alagille-als>

op bijlage 1A voor de behandeling van PFIC bij patiënten in de leeftijd van 6 maanden en ouder. Odevixibat is hiervoor geclusterd met maralixibat.

Zorginstituut Nederland
Onderzoek, Ontwikkeling en
Geneesmiddelen
Team Geneesmiddelen

Huidige voorwaarde odevixibat:

Uitsluitend voor een verzekerde van zes maanden en ouder

- a. met genetisch bevestigde PFIC (met uitzondering van PFIC2, subtype BSEP3);*
- b. die daarvoor onder behandeling is in een expertisecentrum;*
- c. bij wie andere niet-invasieve, symptomatische behandeling nog niet gestart is, of niet tot een duurzaam therapeutisch bevredigend resultaat heeft geleid.*

Datum

9 oktober 2025

Onze referentie

2025023976

De behandeling dient te worden gestaakt indien na ten hoogste negen maanden ononderbroken behandeling geen klinisch aantoonbaar, symptomatisch behandelvoordeel kan worden vastgesteld.

Claim registratiehouder

Odevixibat (Kayfanda®) heeft voor de geregistreerde indicatie ALGS een gelijke waarde ten opzichte van maralixibat.

De registratiehouder verzoekt daarbij om opname op bijlage 1A van de Regeling zorgverzekering voor de indicatie ALGS.

Advies

Zorginstituut Nederland adviseert u om uitbreiding van de nadere voorwaarde voor odevixibat (Kayfanda®) met de indicatie ALGS in het GVS cluster 0A05AXAOV.

Wanneer dit advies wordt opgevolgd, zijn odevixibat en maralixibat voor dezelfde twee indicaties (ALGS en PFIC) geregistreerd en vergoed. Het voorstel is om daarom ook de twee bestaande nadere voorwaarden voor de producten samen te voegen tot gezamenlijke voorwaarden voor beide middelen.

Nieuwe voorwaarde odevixibat en maralixibat:

- 1. Uitsluitend voor een verzekerde*
 - a. met genetisch bevestigde PFIC (met uitzondering van subtype BSEP3 van PFIC 2); en*
 - b. die daarvoor onder behandeling is in een expertisecentrum; OF*
- 2. Uitsluitend voor een verzekerde*
 - a. met ernstige pruritus als gevolg van ALGS*
 - b. die daarvoor onder behandeling is in een expertisecentrum; en*
 - c. bij wie andere niet-invasieve, symptomatische behandeling niet therapeutisch voldoende effectief is; EN*
- 3. De behandeling voor PFIC en ALGS dient gedurende de eerste maanden te worden geëvalueerd. Als na maximaal 6 maanden geen klinisch aantoonbaar, symptomatisch behandelvoordeel kan worden vastgesteld dient de behandeling te worden gestaakt.*

Wij lichten de totstandkoming van dit advies hieronder nader toe.

Inhoudelijke beoordeling

Toets onderlinge vervangbaarheid

Op basis van de criteria voor onderlinge vervangbaarheid heeft het Zorginstituut geconcludeerd dat odevixibat (Kayfanda®) bij ALGS onderling vervangbaar is met maralixibat. Beide middelen zijn reeds opgenomen op bijlage 1A van de Regeling zorgverzekering in het cluster 0A05AXAOV. De clustering kan worden gehandhaafd, waarbij de nadere voorwaarde voor odevixibat (Bylvay®) moeten worden uitgebreid met ALGS.

De toetsing van de onderlinge vervangbaarheid is uitgevoerd bij de beoordeling voor de opname van maralixibat (Livmarli®) voor ALGS in het GVS.¹ Bij deze toetsing is rekening gehouden met beide indicaties (PFIC en ALGS) van zowel odevixibat als maralixibat. Op grond van een indirecte vergelijking van de klinische studies van deze geneesmiddelen (ASSERT studie odevixibat en ICONIC studie maralixibat) is er geen sprake van een aangetoond verschil in gunstige en ongunstige effecten bij de behandeling van cholestatische pruritus ten gevolge van ALGS. De gegevens die zijn aangeleverd door de registratiehouder bij de huidige vergoedingsaanvraag zijn reeds gebruikt in het GVS rapport van maralixibat.

De World Health Organisation (WHO) heeft geen DDD vastgesteld voor maralixibat en odevixibat. Op basis van de prevalentiecijfers is geen hoofdindicatie aan te wijzen. Voor de standaarddoseringen wordt verwezen naar het pakketadvies maralixibat voor ALGS.¹

Wij vertrouwen erop u hiermee voldoende te hebben geïnformeerd.

Hoogachtend,



M.J. Janssen
Voorzitter Raad van Bestuur

Zorginstituut Nederland
Onderzoek, Ontwikkeling en
Geneesmiddelen
Team Geneesmiddelen

Datum
9 oktober 2025

Onze referentie
2025023976