Zorginstituut Nederland

WAR CG notulen elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor i.c.m. ivacaftor (Kaftrio® i.c.m. Kalydeco®)

elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor i.c.m. ivacaftor (Kaftrio® i.c.m. Kalydeco®) bij taaislijmziekte (cystische fibrose; CF) met twee niet-F508del mutaties in het CFTR-gen, eerste bespreking

10 augustus 2026

FE:

Specifieke vragen dossier:

1. **Het Zorginstituut vindt de toepassing van de behandelingspecifieke utiliteitsverhoging methodologisch inconsistent (want er worden uitkomsten van twee verschillende vragenlijsten gecombineerd). Kunt u zich vinden in de argumentatie van het Zorginstituut om nog steeds niet mee te gaan in de behandelspecifieke utiliteitsverhoging?**
   a. Zo ja, heeft u nog suggesties om de argumentatie sterker te maken?

De WAR is het eens met hoe het nu staat beschreven. Het belangrijkste argument is dat de door de registratiehouder uitgevoerde behandelingspecifieke utiliteitsverhoging methodologisch niet correct is.

2. **Kunt u zich vinden in de andere twee belangrijke kritiekpunten?**
   - **De ppFEV1 is in de modelpopulatie aanzienlijk lager dan in de Nederlandse patiëntenpopulatie. De registratiehouder heeft niet goed onderbouwd waarom dit afwijkt en ook niet inzichtelijk gemaakt wat de impact hiervan is. Omdat dit mogelijk wel een grote impact zou kunnen hebben, dient de registratiehouder dit aan te passen.**
   - **De duur van het effect op longfunctie (ppFEV1) en longaanvallen is niet gevarieerd in scenarioanalyses: effect houdt levenslang, constant aan (zonder treatment effect waning).**

Ja, de WAR kan zich hier in vinden. Echter, vraagt de WAR zich wel af hoe de ppFEV1 in de modelpopulatie op een correctie manier aangepast kan worden zodat deze meer in lijn komt met de ppFEV1 van de Nederlandse populatie. De registratiehouder moet dit goed inzichtelijk maken.

3. **Voor het modelleren van de jaarlijkse achtergang van de ppFEV1 zonder ELX/TEZ/IVA zijn gegevens uit de literatuur gebruikt. Er zijn verschillende studies beschikbaar waar dit op gebaseerd kon worden. De registratiehouder heeft meerdere scenarioanalyses uitgevoerd op basis van verschillende bronnen. Er is echter ook een meta-analyse beschikbaar van Harun et al., die niet is opgenomen in het model. Het Zorginstituut overweegt de registratiehouder te verzoeken om de jaarlijkse achteruitgang van ppFEV1 in een scenario te baseren op de meta-analyse van Harun et al. en daarbij het effect vanaf de leeftijd van 30 jaar door te trekken. Vind u dit een relevant scenario of zijn de al aangeleverde scenario's volgens u voldoende? (Zie pagina 28 en 29 van het FE)**

De WAR is het hier mee eens.

Algemene vragen:

1. **Bent u het eens met het Zorginstituut dat het ingediende model op dit moment niet voldoende is voor besluitvorming?**
   Hier is de WAR het mee eens.
2. **Bent u het er mee eens dat als kritiekpunt 1, 2 en 3 opgelost worden, dat het model dan wel voldoende is? En dat kritiekpunt 1 hierbij het meest cruciaal is?**
   De WAR vindt het lastig te zeggen of kritiekpunt 1 het meest cruciaal is omdat de impact van de andere kritiekpunten niet gekwantificeerd zijn. Op dit moment zijn alle kritiekpunten dus cruciaal.