

ACP-advies aan de Raad van Bestuur van Zorginstituut Nederland over sotatercept (Winrevair®) voor de behandeling van pulmonale arteriële hypertensie

De Adviescommissie Pakket (ACP) adviseert de Raad van Bestuur (RvB) van Zorginstituut Nederland 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 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. Hoge kosten per QALY gaan gepaard met meer verdringing. Verdringing 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 4 september 2026 gesproken over de vraag of sotatercept voor de behandeling van volwassen patiënten met pulmonale arteriële hypertensie (PAH) en met middelmatige tot ernstige beperkingen van de lichamelijke activiteit (WHO functionele klasse II, III, en IV) opgenomen dient te worden in de basisverzekering.

Inspraak

Tijdens de vergadering hebben de patiëntenorganisatie Stichting Pulmonale Hypertensie, de beroepsgroep Nederlandse Vereniging van Artsen voor Longziekten en Tuberculose (NVALT) sectie Pulmonale Vaten, en de fabrikant MSD ingesproken. Hieronder volgt een samenvatting van wat de insprekers hebben ingebracht en wat de belangrijkste vragen aan hen waren van de commissie. De volledige inspreekteksten en het volledige verslag van de vragen en de antwoorden zijn opgenomen in het verslag van de vergadering.

Patiëntenorganisatie Stichting Pulmonale Hypertensie

Omdat de inspreester, die zelf ook PAH heeft, niet aanwezig kan zijn, leest de secretaris van de ACP de inspraaktekst voor die door hen is toegestuurd. Daarin wordt benadrukt wat de realiteit is van de ziekte en wat deze nieuwe behandeling voor volwassen patiënten met PAH betekent. Drie verhalen van verschillende patiënten die hebben deelgenomen aan een trial met sotatercept laten zien hoe de ziekte het leven van patiënten en hun naasten beperkt en dat zij door de behandeling met sotatercept weer kunnen deelnemen aan het leven. De inspreester vraagt de commissie om in de maatschappelijke weging niet alleen te kijken naar de gezondheidswinst die in cijfers kan worden uitgedrukt, maar ook naar de levenswinst die daarachter zit.

Beroepsgroep NVALT

De insprekers geven aan dat sotatercept een nieuwe toevoeging aan het behandellandschap van PAH is en dat een juiste patiëntselectie belangrijk is. Zij benoemen dat 30% van de patiënten in de studies een laag risicoprofiel heeft en in de Nederlandse praktijk niet in aanmerking zou komen voor sotatercept. Ook willen zij nuanceren dat in de toekomst monotherapie niet meer zal voorkomen. Dat zal zeker wel het geval blijven voor oudere patiënten met comorbiditeit. Deze nuanceringen maken dat de insprekers denken dat het aantal patiënten dat in aanmerking zal komen voor sotatercept lager zal liggen dan het Zorginstituut heeft ingeschat. Ook het toepassen van de behandeling in de zes expertisecentra maakt dat sprake is van gecontroleerde inzet, en de effecten en bijwerkingen worden geregistreerd en landelijk besproken. Op verzoek van de commissie beantwoordt de beroepsgroep vragen over de inzet van sotatercept ten opzichte van respectievelijk selexipag en de prostacycline infuuspomp, over mogelijkheden om de effecten van sotatercept ook in

kwaliteit van leven tot uiting te laten komen, over de discrepantie tussen de grote mobiliteitsverbeteringen van de drie casussen en de zeer beperkte winst in de trials op de 6 minuten looptest en de mogelijkheid om onderzoek te doen naar arbeidsparticipatie en dosisoptimalisatie.

Fabrikant MSD

De inspreker wil graag onder de aandacht brengen dat dit geneesmiddel een grote maatschappelijke waarde vertegenwoordigt. Het is het eerste geneesmiddel dat ingrijpt op de oorzaak van PAH, een hele ernstige ziekte. Dat het Zorginstituut tot het oordeel komt dat sotatercept voldoet aan de stand van wetenschap en praktijk brengt de beschikbaarheid van het geneesmiddel een stap dichterbij voor patiënten. Dat geldt volgens de inspreker echter niet voor de farmaco-economische beoordeling door het Zorginstituut, die de grote maatschappelijke waarde van het geneesmiddel onvoldoende reflecteert omdat vergelijking met selexipag buiten beschouwing wordt gelaten. Daardoor komt het Zorginstituut tot een kortingspercentage dat maakt dat de fabrikant in de onderhandeling een slechte uitgangspositie zal hebben. Bovendien betekent een korting van 75% op de vraagprijs van sotatercept dat de prijs lager uitkomt dan de lijstprijs van selexipag, terwijl sotatercept meerwaarde heeft ten opzichte van selexipag. De inspreker vraagt de commissie om met deze aspecten rekening mee te houden in haar maatschappelijke weging. De inspreker beantwoordt op verzoek van de commissie vragen over de gemaakte investeringskosten en eventuele bereidheid om onderzoek naar dosisoptimalisatie te financieren.

Vertrekpunten voor de gedachtevorming in de commissie¹:

- PAH is een zeldzame, progressieve, dodelijke ziekte met een hoge ziektelast (0,89).
- Bij PAH stelt men de diagnose meestal na het 40e jaar (41-60 jaar: 41%; 61-80 jaar: 36%). Volgens de beroepsgroep zijn er grofweg twee groepen: jongere vrouwen en oudere patiënten met comorbiditeit.
- Het doel van de behandeling is om een laag risico op sterfte te bereiken.
- Sotatercept is het eerste geneesmiddel dat ingrijpt op de oorzaak van de ziekte.
- Sotatercept voldoet aan SWP: dit oordeel is voornamelijk gebaseerd op het feit dat er sprake is van fors minder ziekenhuisopnames;
- Voor het bepalen van de kosteneffectiviteit zijn verschillende scenario's gepresenteerd voor twee PICO's: PICO B (vergelijking met selexipag) is te onzeker voor besluitvorming; daarom is uitgegaan van PICO A (vergelijking met beste ondersteunende behandeling). Het Zorginstituut komt in het meest realistische scenario uit op een ICER van €261.806 per gewonnen QALY. Er is een kortingspercentage van ten minste 75% op de vraagprijs nodig om te kunnen spreken van kosteneffectieve zorg.
- De doelmatigheid van de vergelijkende behandelingen is onbekend.
- De gemiddelde levenslange maatschappelijke kosten per patiënt bedroegen €2.105.200 bij inzet van sotatercept en €634.203 bij inzet van best-ondersteunende zorg.
- De budgetimpact is hoog, €54,0 miljoen. Deze is gebaseerd op de inschatting dat 404 patiënten in aanmerking komen voor dit geneesmiddel, maar wellicht is het aantal patiënten lager, geeft de beroepsgroep aan.
- Er lopen nog verscheidende studies naar de inzet van sotatercept bij andere indicaties.
- Volgens de Horizonscan Geneesmiddelen worden in de toekomst naar verwachting een aantal nieuwe geneesmiddelen geregistreerd voor de behandeling van PAH.

Overwegingen van de commissie:

De commissie is ervan overtuigd dat sotatercept een aanwinst is voor de behandeling van PAH en snel beschikbaar moet komen voor volwassen patiënten met deze ernstige ziekte. Omdat de commissie het belangrijk vindt dat opname in het basispakket niet ten koste gaat van verdringing van andere zorg, kan dit alleen tegen een maatschappelijk aanvaardbare prijs. De commissie heeft overwogen of de maatschappelijk aanvaardbare prijs een andere zou moeten

¹ De commissie baseert haar adviezen op basis van het vastgestelde farmacotherapeutisch rapport, de budgetimpactanalyse en het farmaco-economisch rapport van Zorginstituut Nederland.

zijn dan de kosteneffectieve prijs (die bereikt wordt met een kortingspercentage van 75% op de vraagprijs).

Overwegingen voor een hogere prijs zijn dat het gaat om het eerste geneesmiddel dat aangrijpt op de onderliggende oorzaak van de ziekte en dat de behandeling bestemd is voor een relatief kleine patiëntenpopulatie, met name de groep die uit jonge vrouwen bestaat. Om gepast gebruik te bevorderen heeft de beroepsgroep een landelijk indicatiecommissie waarin kritisch gekeken wordt naar de meerwaarde van sotatercept, met name voor de oudere groep patiënten met comorbiditeit.

Er zijn ook argumenten voor een lagere prijs. Acceptatie van een hogere prijs zou ertoe leiden dat ondoelmatige zorg in stand blijft. Het gaat om hoge gemiddelde levenslange maatschappelijke kosten per patiënt en een hoge budgetimpact, ook wanneer het aantal patiënten dat in aanmerking komt lager is dan nu wordt ingeschat. Ook weegt de commissie mee dat er nog geen aanwijzingen zijn dat sotatercept resulteert in een klinisch relevant effect op kwaliteit van leven vergeleken met best ondersteunende zorg. Bovendien is op dit moment nog niet bekend in hoeverre sotatercept het gebruik van de prostacycline infuuspomp kan voorkomen of verminderen, als ook longtransplantaties kan voorkomen. Gezien de studies die nog lopen en het dynamische behandellandschap adviseert de commissie om een kort financieel arrangement af te spreken.

Advies

De commissie vindt belangrijk dat sotatercept op korte termijn beschikbaar komt voor de behandeling van volwassen patiënten met deze indicatie, maar alleen voor een maatschappelijk aanvaardbare prijs.

Alles afwegende komt de commissie tot het advies om sotatercept voor deze indicatie niet op te nemen in de basisverzekering, tenzij prijsonderhandeling leidt tot een daling van de vraagprijs met ten minste 75% die nodig is om te kunnen spreken van een behandeling met een gunstige kosteneffectiviteit. De commissie adviseert daarbij een kort financieel arrangement af te spreken.

De commissie is verheugd dat de beroepsgroep aangegeven heeft haar verantwoordelijkheid te nemen bij zorgvuldige patiëntselectie, werkt aan gepast gebruik afspraken en dat het een register bijhoudt. De commissie stimuleert dat daarin ook gegevens worden verzameld over kwaliteit van leven, arbeidsparticipatie, lange termijn effecten, uitstel of vervangen van de infuuspomp en optimale dosering.