

Advies Commissie Pakket

ANALYSE

3 mei 2024

Deze analyse is bedoeld als korte indruk en geeft geen volledig beeld van het overleg. De vergaderstukken staan op de [website van ZIN](#). ACP en AO analyses worden als extra service gedeeld met opdrachtgevers. Vragen over een abonnement, reacties op de analyse of suggesties zijn van harte welkom op info@lysiac.nl

Voor de 2 gentherapieën op de agenda is er een redelijk gevulde zaal, zijn er vele online luisteraars (ook uit België vanwege een BeneluxA proces voor het 2^e agendapunt) en een groot aantal sprekers. Gelderblom is online aanwezig, Klein Nagelvoort-Schuit is afwezig. Michael Rutgers (voorm. dir. Longfonds) wordt geïntroduceerd als nieuw ACP lid. (Red: Hij vervangt Cor Oosterwijk, die 8 jaar lid is geweest van de ACP.)

Belangrijke inspraak voor CAR-T beoordeling

De Vries van ZINL geeft een korte inleiding over de behandeling van lymfeklier kanker, meer specifiek 2L r/r ≤ 12 mnd DLBCL/HGBL, een indicatie uitbreiding voor de CAR-T axi-cel (Yescarta®). Voor deze indicatie ziet de WAR voldoende bewijs voor de behandeling van fitte patiënten, voor niet-fitte patiënten (nog) onvoldoende. De verwachte BI is, als je besparing door minder stamceltransplantatie (HSCT) meerekent, 15 M€. De Vries noemt o.a. het vertrouwen van ZINL in de strikte criteria die de Tumor-Board gebruikt bij de toepassing van dit soort middelen.

Kersten (AUMC), namens de artsen, geeft een presentatie met slides en gedetailleerde input over hoe de beroepsgroep de behandeling ziet. Ook hier wordt de degelijke borging van de behandeling en selectie van de juiste patiëntengroep door de Tumor-Board genoemd. Kersten geeft daarbij aan dat het 'niet fit' criterium van belang is bij HSCT, maar dat de strikte definitie hiervan niet van toepassing is voor CAR-T.

Dit punt wordt gesteund door de sprekers vanuit de patiënten (Mol, Hematon en Evers, NFK). De sprekers pleiten dus ook voor toegang voor de 'niet-fitte' groep zonder SWP, mogelijk via de VT. De boodschap dat er verschil in inzicht is tussen de WAR enerzijds en artsen en patiënten anderzijds wat betreft de toepassing van axi-cel voor niet fitte patiënten komt duidelijk over, maar de ACP realiseert zich dat een oplossing hiervoor niet bij de ACP ligt. De fabrikant (de Ruiter, Gilead) pleit voor samenwerking met alle partijen om zo snel mogelijk toegang mogelijk te maken.

Discussie over % korting en conclusie

De meeste leden willen ZIN volgen en 20% korting adviseren op basis van de referentiewaarde van 50k€, maar een lid wil een hoger percentage korting adviseren, waarop een flinke discussie volgt. Daarbij wordt vooral het bestaan van een veel goedkoper Spaans product genoemd als uitgangspunt. Uiteindelijk breekt een spreker vanuit het publiek in om aan te geven dat het hier om een onvergelijkbaar product gaat. Een ander lid geeft aan dat de ACP alleen concrete percentages adviseert als daar argumentatie voor is.

Geconcludeerd wordt dat het advies luidt: nee, tenzij er minimaal 20% korting onderhandeld wordt op de prijs. De Tumor-Board wordt gezien als een uitstekende basis voor gepast gebruik. Daarnaast zou toegang voor ouderen (niet fit) ook mogelijk moeten zijn, mogelijk via een VT-traject.

Gentherapie met voorstel P4P en gespreide betaling (OBA)

De Vries en Geuzinge van ZIN lichten de casus over Hemgenix® bij hemofilie B toe. De claim is gelijkwaarde met de bestaande hemofilie-B behandeling: Factor IX stollingsfactoren (FIX). Met de gentherapie maakt de patiënt zelf FIX, zodat geen infusies met FIX meer nodig zijn. Er zijn nu data voor 4-5 jaar aanhoudend verhoogde FIX-spiegels. De gelijkwaarde claim komt met een voorstel voor gelijke kosten (per jaar).

voorzitter



Dr. J. Oortwijn (Wijl)
Health evidence Radboud UMC

leden



Prof. dr. J.M.G.A. (Josi) Schols
ouderegeneeskunde Maastricht



Prof. dr. M. (Marcel) Verweij
filosofie en ethiek, U Utrecht



Prof. dr. J.J. van Ruzsbach (Jan)
Health Related QoL, Erasmus UR



Prof. dr. C.E.M. (Carla) Hollak
Metabole ziekten, A-UMC



Prof. dr. A.J. (Hans) Gelderblom
Oncologie LUMC



Prof. dr. P.H.M. (Pieter) van Baal
Public Health Economics, EUR



prof. dr. S.C.E. (Stephanie) Klein
Nagelvoort-Schuit, RVB UMCG



Michael Rutgers, M.Sc.
ADI organisatie advies

Op basis hiervan en van de ingeschatte netto FIX kosten, komt ZIN op een voorgestelde prijs van ongeveer €750K voor de gentherapie, wat een stuk lager ligt dan het voorstel van de fabrikant (€2,8M voor 10 jaar met P4P).

De patiënten (Kruis, Breederveld, NVHP) geven aan dat gentherapie grote voordelen heeft: het verschil met 100 infusen per jaar is groot. Deze patiënt heeft al 8 jaar geen bloedingen meer dankzij de gentherapie. Dat betekent een normaal leven, niet meer bang voor ziekte, of voor een plotseling tekort aan FIX producten. De patiënten steunen het idee van een OBA.

Namens de artsen (Leebeek, EMC) wordt aangegeven dat minder FIX infusen ook relevant is voor het ziekenhuis: het scheelt inzet van personeel. Hoewel het effect van gentherapie op de bloedspiegels bij sommige patiënten wat vermindert in de loop van de tijd, blijft het klinische ruim voldoende en wordt geen structurele daling gezien. De arts ziet minimaal 8 jaar goede werking in de praktijk, er zijn al 12 patiënten in Nederland (in onderzoek) behandeld.

Namens de fabrikant (Devriese, Jansen, CSLB) is er uitleg over de prijsopbouw en het voorstel P4P met gespreide betaling (OBA voor 10 jaar, waarin de patiënt gevolgd wordt). Hiermee zou onzekerheid over (duur van) de werking weggewonnen kunnen worden. De inzichten over de prijsopbouw worden geëvalueerd. De manier waarop naar de kosten per jaar van FIX wordt gekeken, is onderwerp van discussie.

Lastige situatie door niet/onbekende KE van standaardtherapie

Er komt ter sprake dat het jammer is dat het ZIN-rapport niet ingaat op de optie van 10 jaar gespreide betaling en P4P. Een deel van de ACP geeft aan dat door niet/onbekende KE van FIX infusies een gelijke prijs voor de nieuwe behandeling (eigenlijk) niet acceptabel is. Dit is een discussie die vaker is opkomt in de ACP. Anderen geven aan dat de ACP nu, voor de specifieke casus, niks met dat gegeven kan en dat in dit soort gevallen geaccepteerd moet worden dat de situatie niet ideaal is. Een lid probeert op basis van ingeschatte nettoprijs van FIX en de 80K/QALY referentiewaarde te beredeneren wat wel doelmatig zou zijn. (Red. Daarbij stelt het lid de nettoprijs van FIX zonder meer gelijk aan de ICER.) Na wederom een flinke en lange discussie, is er uiteindelijk overeenstemming dat bij dit soort vraagstukken de discussie in een andere setting thuishoort.

De conclusie: een prijs per jaar vergelijkbaar met huidige FIX therapie is mogelijk niet kosteneffectief, maar wel kostenbesparend ten opzichte van de huidige situatie. Daarom (al is het schoorvoetend voor een enkel lid) is zo'n prijs hier toch acceptabel. Er is brede steun bij de ACP voor een (max 10 jaar) OBA, waarbij het mogelijk moet zijn om de afspraken na 4 jaar te herzien in verband met aflopen van patent, verwachte andere (gen)therapieën en mogelijke prijsdalingen van FIX therapie.