

Advies van de ACP aan de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over de 'Monitor weesgeneesmiddelen in de praktijk 2018'

De Adviescommissie Pakket (ACP) adviseert de Raad van Bestuur van het Zorginstituut over in- of uitstroom van interventies in de zorgverzekering, vanuit een maatschappelijk perspectief. Op het moment dat een dergelijk advies moet worden gegeven, is er nog slechts beperkte kennis over het gebruik van het middel in de praktijk. Daarom is het van groot belang om deze middelen in de praktijk te volgen om inzicht te krijgen in de (kosten)effectiviteit van een interventie in de praktijk. Een monitor geeft inzicht hoe een pakketadvies in de praktijk heeft uitgepakt en is daarom een belangrijke informatiebron voor de commissie met het oog op toekomstige adviezen.

De commissie heeft in haar vergadering van 5 oktober 2018 gesproken over de belangrijkste bevindingen van de 'Monitor weesgeneesmiddelen in de praktijk 2018'.

Eén van de bevindingen in deze monitor was dat expertisecentra problemen ervaren met het opstarten van registers, het verkrijgen van data van andere ziekenhuizen en permanente financiering van het onderhouden van registers. Hoewel er goede ervaringen zijn met de inzet van indicatiecommissies, is het voor expertisecentra niet altijd te achterhalen of alle patiënten daadwerkelijk worden besproken in de indicatiecommissie en of het advies van deze commissie in de praktijk altijd wordt opgevolgd. Dit geldt met name als behandeling in meerdere centra plaatsvindt. Mede op basis van het advies van de ACP, heeft het Zorginstituut in geval van vergoeding van eculizumab bij de indicatie aHUS, om wettelijke verankering van de afspraken over het register en de indicatiecommissie gevraagd. Het ministerie heeft er echter niet voor gekozen deze afspraken in de regelgeving vast te leggen. De commissie concludeert nu op basis van de eerste ervaringen met arrangementen, dat zonder verplichtend karakter de afspraken van een arrangement toch te vrijblijvend zijn.

Om die reden is de commissie van mening dat vergoeding van een duur weesgeneesmiddel alleen aangewezen kan zijn op basis van een weesgeneesmiddelen-arrangement, waarbij ook wettelijk verankerd wordt dat vergoeding van het betreffende weesgeneesmiddel wordt gekoppeld aan een positief advies van de indicatiecommissie en dat ook dataverzameling in het register daadwerkelijk plaatsvindt.

De commissie heeft de vraag of het wel ethisch is dat patiënten de dupe kunnen worden van arrangementsafspraken waarop zij zelf niet tot nauwelijks invloed hebben, meegewogen. De commissie vindt echter dat dit argument haar advies niet verandert. Vanwege de vaak zeer hoge kosten voor de samenleving is de verplichting tot meewerken aan het weesgeneesmiddelen-arrangement goed te verdedigen.

In de monitor wordt ook aandacht besteed aan de dure weesgeneesmiddelen voor de indicaties MPS I, II en VI (respectievelijk laronidase, idursulfase en galsulfase). Dit zijn zeer dure weesgeneesmiddelen (tussen de 300.000 en 600.000 euro per patiënt per jaar) voor zeer zeldzame aandoeningen (ongeveer 15-20 patiënten per indicatie).

Na het aflopen van de periode van marktexclusiviteit zijn de prijzen van deze middelen niet gedaald. De vraag die nu voorligt, is of het afsluiten van een weesgeneesmiddelen-arrangement, een financieel-arrangement of herbeoordeling (of een combinatie) bij deze dergelijke middelen is aangewezen.

De commissie concludeert dat zowel de effectiviteit als de kosteneffectiviteit van deze middelen ter discussie staat en dat om die reden herbeoordeling noodzakelijk zou zijn. Het gaat overigens wel om patiënten die al jaar en dag met deze middelen behandeld worden en het starten van een herbeoordeling kan derhalve tot onrust onder deze patiënten leiden. De

commissie is echter van mening dat dit geen argument is om beoordeling van deze middelen niet opnieuw te agenderen, maar vindt wel dat dit argument een rol kan spelen bij de uiteindelijke advisering over het wel of niet blijven vergoeden van deze middelen.

Tot slot heeft de commissie gediscussieerd over mogelijke onderwerpen die voor de volgende monitor geagendeerd zouden kunnen worden. De commissie concludeert dat de monitor aandacht zou moeten besteden aan:

- die middelen waarbij de 10-jaars marktexclusiviteit is verstreken, maar die niet in prijs dalen;
- de hele dure 'oudere' weesgeneesmiddelen, waarvoor in het verleden geen beoordeling volgens de huidige inzichten heeft plaatsgevonden;
- het volgen van de weesgeneesmiddelen-arrangementen.

Ook kan de commissie zich vinden in de reeds door het Zorginstituut geagendeerde onderwerpen namelijk: het agenderen van de drie middelen voor de ziekte van Gaucher en het verkrijgen van inzicht of weesgeneesmiddelen, daadwerkelijk aangeboden worden aan alle Nederlandse patiënten die daarvoor geïndiceerd zijn.