

Darbepoëtine-a bij 'pure red cell aplasia'

Vraagstelling

Een ziektekostenverzekeraar vraagt een vrijwillig advies of darbepoëtine-a bij de niet geregistreerde indicatie 'pure red cell aplasia' beschouwd kan worden als rationele farmacotherapie.

Darbepoëtine of darbepoëtine-a (Aranesp®) is in Nederland niet geregistreerd voor de indicatie 'pure red cell anemia'. Het betreft dus een niet-geregistreerde toepassing van een geneesmiddel dat wel op de markt is.

Aan het gebruik van darbepoëtine-a zijn nadere voorwaarden gesteld:

Uitsluitend voor een verzekerde die:

voor het geneesmiddel een medische indicatie heeft waarvoor het geneesmiddel krachtens de Wet op de Geneesmiddelenvoorziening is geregistreerd,

óf voor dat geneesmiddel een niet-geregistreerde medische indicatie heeft en lijdt aan een ziekte die in Nederland niet vaker voorkomt dan bij 1 op de 150.000 inwoners, de werkzaamheid van dat geneesmiddel bij die indicatie wetenschappelijk is onderbouwd en in Nederland voor die aandoening geen behandeling mogelijk is met enig ander voor die aandoening geregistreerd geneesmiddel of rationele apotheekbereiding.

Betreffende de toepassing van darbepoëtine-a bij 'pure red cell aplasia' zijn, op basis van bovengenoemd punt b., dus drie vragen aan de orde:

1. Komt deze vorm van anemie in Nederland niet vaker voor dan bij 1 op de 150.000 inwoners?
2. Is de toepassing van darbepoëtine bij patiënten met 'pure red cell aplasia' een rationele farmacotherapie?
3. Is behandeling met enig ander voor die aandoening geregistreerd geneesmiddel of rationele apotheekbereiding mogelijk?

Na een korte beschrijving van de behandeling van patiënten met 'pure red cell aplasia' komen deze vragen achtereenvolgens aan de orde.

'Pure red cell aplasia'

'Pure red cell aplasia' is een vorm van bloedarmoede waarbij de aanmaak van uitsluitend de rode bloedcellen is afgenomen. Er komen verschillende vormen voor zoals onder andere een erfelijke vorm (syndroom van Diamond-Blackfan), een vorm veroorzaakt door infectie met het parvovirus B19, vormen samenhangend met maligniteiten (vooral thymoom) of auto-immuunziekten, vormen veroorzaakt door gebruik van bepaalde geneesmiddelen (fenytoïne, azathioprine, chlooramfenicol, procainamide, isoniazide) en een idiopathische vorm. Ook gebruik van epoëtine-a bleek aanleiding te kunnen geven tot deze vorm van anemie.

De diagnose wordt gesteld op grond van de anemie, afwezigheid van reticulocyten en afwezigheid of afgenomen hoeveelheid van voorlopercellen van de rode cellijn in het beenmerg.

Indien de oorzaak niet kan worden weggenomen of gevonden, bestaat de behandeling doorgaans uit toepassing van immunosuppressiva zoals glucocorticosteroiden, ciclosporine, antithymocytoglobuline, azathioprine of cyclofosfamide. Indien nodig worden bloedtransfusies gegeven (Young, 2001).

Komt 'pure red cell aplasia' in Nederland niet vaker voor dan bij 1 op de 150.000 inwoners?

Gelet op de adviesaanvraag is voor beantwoording van de incidentie van 'pure red cell aplasia' uitgegaan van de idiopathische vorm. Er zijn geen gegevens over de incidentie of prevalentie van deze vorm van 'pure red cell aplasia' beschikbaar. Een deskundige op

dit gebied in Nederland stelt dat het gaat om een ziekte die in Nederland minder vaak voorkomt dan bij 1 op de 150.000 inwoners.

Is de toepassing van darbepoetine bij patiënten met 'pure red cell aplasia' een rationele farmacotherapie?

Een literatuuronderzoek in Medline en Embase met als zoektermen 'pure red cell anemia' of 'pure red cell aplasia' en 'darbepoetin' leverde geen publicaties op betreffende de behandeling van idiopathische 'pure red cell aplasia' met darbepoetine-a.

Is behandeling met enig ander voor die aandoening geregistreerd geneesmiddel of rationele apothekbereiding mogelijk?

Er zijn voor zover bekend geen geneesmiddelen in Nederland geregistreerd voor de indicatie 'pure red cell aplasia'.

Conclusie

De idiopathische vorm van 'pure red cell aplasia' is een zeldzame aandoening die in Nederland waarschijnlijk niet vaker voorkomt dan bij 1 op de 150.000 inwoners. Er zijn geen harde gegevens beschikbaar over de behandeling van deze aandoening met darbepoetine- a. De toepassing van darbepoetine- a bij patiënten met 'pure red cell aplasia' kan daarom niet worden beschouwd als rationele farmacotherapie.

Literatuur

- Young NS. Aplastic anemia, myelodysplasia, and related bone marrow failure disorders. In: Braunwald E, Fauci AS, Hauser SL, Jameson JL, Kasper DL, Longo DL (eds.) Harrison's Principles of Internal Medicine, 15th Ed. New York: McGraw-Hill, 2001.