

WAR CG notulen kaliumcitraat en kaliumwaterstofcarbonaat (Sibnayaal®)

kaliumcitraat en kaliumwaterstofcarbonaat (Sibnayaal®) Kaliumcitraat en kaliumwaterstofcarbonaat (Sibnayaal®) is bedoeld voor de behandeling van distale renale tubulaire acidose (dRTA), eerste bespreking

12 december 2022

FT-rapport

De beoordelaar licht het rapport toe en stelt de op de voorligger geformuleerde vragen.

Reactie van de WAR

Er wordt benoemd dat kaliumcitraat en kaliumwaterstofcarbonaat een alkilerend preparaat met verlegde afgifte betreft. Het middel dient nog steeds tweemaal daags ingenomen te worden. Er wordt een meerwaarde geclaimd door de fabrikant op basis van een studie met slechts 37 patiënten. De referent geeft aan dat de meerwaarde van KCHC op basis van deze studie niet kan worden aangetoond. Non-inferioriteit is het hoogst haalbare, waarbij er kanttekeningen te plaatsen zijn bij het studie-design. Het is lastig om bij deze indicatie te zeggen of een RCT wel of niet mogelijk is, maar de huidige studieopzet met een korte run-in periode van 5 dagen is niet ideaal.

Er wordt door de WAR-leden aangegeven dat het belangrijk is om te weten wat de plaatsbepaling van de beroepsgroep is. Het Zorginstituut geeft aan dat dit wordt meegenomen in de consultatieronde. Ook wordt benoemd dat een metabole (surrogaat) uitkomstmaat passend is bij deze metabole indicatie, mede omdat jarenlange follow-up van de patiënten nodig zou zijn om effectiviteit op harde eindpunten aan te kunnen tonen.

Reactie van de beoordelaar

Het Zorginstituut geeft aan dat de wetenschappelijke onderbouwing voor de relatie tussen de metabole surrogaat uitkomstmaten en harde patiënt-gerelateerde uitkomstmaten in het dossier van de registratiehouder ontbreekt.

Reactie van de WAR

Een van de WAR-leden geeft aan dat de slechte smaak van kaliumcitraat (een alkali-therapie) een bekend fenomeen in de apotheek is.

De WAR geeft aan dat er op dit moment, gezien het conceptadvies geen stand wetenschap en praktijk, niet wordt gediscussieerd over de kosten. Het Zorginstituut geeft aan dat indien de eindconclusie wijzigt naar aanleiding van de consultatie, de budgetimpactanalyse die is gemaakt in het kader van de farmaco-economische-vrijstelling zal worden besproken bij de tweede WAR-vergadering.

De WAR concludeert dat er op dit moment geen sprake is van stand van wetenschap en praktijk en dat er extra gegevens dienen te worden opgevraagd bij de registratiehouder en de beroepsgroep.

kaliumcitraat en kaliumwaterstofcarbonaat (Sibnaya®) Kaliumcitraat en kaliumwaterstofcarbonaat (Sibnaya®) is bedoeld voor de behandeling van distale renale tubulaire acidose (dRTA), eerste bespreking

Zorginstituut Nederland

17 april 2023

FT-rapport & antwoordbrieven.

De beoordelaar licht het rapport toe en stelt de vragen zoals geformuleerd op de voorlegger.

Reactie van de WAR

De WAR-leden kunnen zich vinden in de argumentatie van beroepsgroep dat plasma bicarbonaat een voldoende surrogaat uitkomstmaat is voor deze indicatie en ziet dit daarom als cruciale uitkomstmaat. De WAR-leden zijn het eens met de eindconclusie gelijke waarde. Het blijft ingewikkeld dat de controlebehandeling niet beter is gemeten. Er wordt nu aangenomen dat de alkali-therapie geoptimaliseerd was bij aanvang van de studie. De controlebehandeling had echter gestandaardiseerd kunnen worden omdat in een studiesetting de therapietrouw van de standaardbehandeling mogelijk ook verbetert. Ook vanwege de verschillen in controlebehandeling in de klinische praktijk blijft de vergelijking in dit rapport lastig.

Er wordt aangegeven dat kaliumcitraat en kaliumwaterstofcarbonaat (KCHC) mogelijk de therapietrouw verbetert, alleen kan dit niet worden hard gemaakt in de studie. Het prijsverschil met de magistrale bereidingen is niet gerechtvaardigd, dit wordt ook zo benoemd door de beroepsgroep en patiëntenvereniging. De beschikbaarheid kan mogelijk wel in het geding komen door de eindconclusie. Op basis van het FT-rapport is het WAR-lid wel eens met de eindconclusie dat KCHC voldoet aan de stand van wetenschap en praktijk, maar dat een meerwaarde niet is aangetoond.

Een ander WAR-lid benoemt dat in het beoordelingskader van het Zorginstituut gebruiksgemak niet wordt meegenomen tenzij verbeteringen in gebruiksgemak/compliance leiden tot een klinisch relevante verbetering in gunstige effecten. Het is plausibel dat gebruiksgemak leidt tot verbeteringen in therapietrouw, maar dit is niet hard gemaakt en kan daarom niet meewegen in het eindoordeel.

Conclusie

De WAR is het eens met de aanpassingen in het rapport en de gewijzigde eindconclusie.

BIA rapport

De beoordelaar licht de BIA toe en stelt de vraag zoals geformuleerd op de voorlegger.

Reactie van de WAR

De WAR leden stellen enkele vragen over de gebruikte bronnen met betrekking tot het gemiddelde gewicht van de KCHC populatie en de marktpenetratie. Daarnaast vragen de WAR leden om opheldering over de plaatsbepaling van KCHC. Zal KCHC alleen voorgeschreven worden na behandeling met alkali-therapie of ook als eerstelijnsbehandeling? Zoals volgt uit de indicatiestelling kan KCHC ook in plaats van een andere alkali-therapie voorgeschreven worden in de

eerste lijn.

Zorginstituut Nederland

Naar aanleiding van de eerdere discussie over het gebruiksgemak van KCHC vragen de WAR leden zich af of er ook kan worden overgestapt indien een patiënt wel adequate metabole controle bereikt op standaard alkali-therapie. Momenteel wordt aangenomen in de BIA dat alle kinderen over zullen stappen, ongeacht het behalen van metabole controle, maar volwassenen zullen alleen overstappen als ze geen metabole controle bereiken met de andere alkali-therapieën. De WAR leden stellen dat dit laatste niet overeenkomt met de indicatiestelling en ze de impact van volwassenen die overstappen graag terug zien in de BIA.

Conclusie

De WAR is het eens met de gemaakte aannames in het conceptrapport. De BIA zal aangepast worden om ook de impact van volwassenen die overstappen inzichtelijk te maken.