



WAR CG notulen avalglucosidase alfa (Nexviadyme®)

avalglucosidase alfa (Nexviadyme®) voor de behandeling van de ziekte van Pompe, eerste bespreking

14 augustus 2023

Context

De secretaris ligt de context van deze beoordeling toe. O.a. het feit dat de EMA heeft geoordeeld dat avalglucosidase alfa (AVA) geen nieuwe actieve substantie betreft, dat dit middel toch in de sluis is geplaatst en beoordeling behoeft, dat er sinds het patent verloop van alglucosidase alfa (ALG) nog geen generieken op de markt zijn gekomen en dat de uitgaven aan ALG al tientallen jaren erg hoog zijn.

FT rapport

De beoordelaar licht het FT-rapport toe en stelt de vragen zoals deze zijn vermeld op de voorlegger.

Reactie van de WAR

De referenten kunnen zich vinden in de gelijke waarde van AVA ten opzichte van ALG. Er wordt opgemerkt dat de studie is gepowerd op 80% en dat de *non-inferiority margin* werd bepaald aan de hand van de ondergrens van het 80% betrouwbaarheidsinterval, en niet het 95% betrouwbaarheidsinterval, van het effect van ALG ten opzichte van placebo op de FVC% (LOTS studie). De WAR-leden benadrukken daarnaast de onzekerheden van de effecten van AVA en ALG bij LOPD patiënten op de lange termijn. Het zou waardevol zijn om meer informatie te krijgen over de (inzet van) stop-criteria van enzymvervangende therapieën en het natuurlijk beloop van de aandoening.

Conclusie

AVA heeft een gelijke waarde vergeleken met ALG bij de ziekte van Pompe (IOPD en LOPD). Bij zowel AVA als ALG bestaan onzekerheden over het effect op de lange termijn.

BIA rapport

De beoordelaar licht kort de BIA toe en stelt de vragen zoals die vermeld zijn op de voorlegger.

Reactie van de WAR

De referenten kunnen zich vinden in de berekeningen en de conclusie van de BIA. De referenten geven een aantal correcties door voor in de tabellen en de tekst. Daarnaast kunnen zij zich vinden in het scenario waarin een prijskorting is berekend bij het hypothetisch beschikbaar komen van een generiek voor ALG. Een extra scenarioanalyse op basis van de werkelijke uitgaven is optioneel. Verder gaven andere WAR-leden aan om naar alternatieven te zoeken om toch iets op te kunnen nemen over de kosteneffectiviteit van AVA ten opzichte van standaard zorg.

Conclusie

De referenten kunnen zich vinden in de BIA en onderschrijven de unieke situatie waarin het Zorginstituut zich nu bevindt. Hierover is overeenstemming bereikt tussen de WAR-leden dat er in scenario's kan worden afgeweken van de

standaard BIA-methodiek en dat er zal moeten worden uitgeweken naar andere alternatieve manieren om de kosteneffectiviteit van AVA ten opzichte van standaard zorg in kaart te brengen ondanks een gelijke waarde tussen AVA en ALG.

Zorginstituut Nederland