

Eekholt 4
1112 XH Diemen

Postbus 320
1110 AH Diemen

(020) 797 85 55
(020) 797 85 00

info@cvz.nl
www.cvz.nl

Aan de minister van Volksgezondheid,
Welzijn en Sport
Postbus 20350
2500 EJ 's Gravenhage

Uw brief van	Uw kenmerk	Datum
		29 november 2012
Ons kenmerk ZA/2012134239	Behandeld door hr. dr. M. van der Graaff	Doorkiesnummer (020) 797 88 92
Onderwerp Advies alglucosidase alfa (Myozyme®) bij α -glucosidase deficiëntie (ziekte van Pompe)		

Geachte mevrouw Schippers,

Het CVZ heeft een advies opgesteld over het al dan niet blijvend vergoeden via het basispakket van het medicijn alglucosidase alfa (Myozyme®) voor patiënten met de ziekte van Pompe.

Wij adviseren u naar aanleiding van onze beoordeling:

- de vergoeding van het geneesmiddel vooralsnog voort te zetten via het basispakket;
- een aparte financieringsvorm in te stellen voor dure (wees)geneesmiddelen;
- de vergoeding van het genoemde geneesmiddel te zijner tijd over te hevelen naar de aparte financieringsvorm;
- met de fabrikanten te onderhandelen over kostenreductie van het geneesmiddel;
- met de behandelaren te bespreken hoe zij de kosten per QALY (voor kwaliteit van leven gecorrigeerd gewonnen levensjaar) kunnen verlagen door bv de dosering aan te passen;
- van belanghebbende partijen te eisen dat ze (Europees) onderzoek opzetten naar voorspellende factoren en start- en stopcriteria en dat ze een transparanter systeem organiseren voor het toepassen van start- en stopcriteria;
- te overwegen bij alle dure behandelingen een onafhankelijke commissie op te zetten die behandelende artsen adviseert bij het starten en het stoppen van de behandeling.

De beoordeling bestond uit een toetsing aan de vier pakketcriteria. Daarbij zijn wij geadviseerd door de Commissie Farmaceutische Hulp (CFH) en de Advies Commissie Pakket (ACP). Onze bevindingen waren als volgt:

- **Noodzakelijkheid.** De grote ernst van de ziekte van Pompe en de hoge kosten per patiënt rechtvaardigt in beginsel behoud van het geneesmiddel in het basispakket.
- **Effectiviteit.** Enzymtherapie heeft een therapeutische meerwaarde boven best ondersteunende zorg.
- **Kosteneffectiviteit.** Bij patiënten met de klassieke vorm ligt de gemiddelde incrementele kosteneffectiviteitsratio tussen €0,3 en €0,9 miljoen per QALY afhankelijk van de dosering. Bij patiënten met de niet-klassieke vorm ligt de gemiddelde incrementele

kosteneffectiviteitsratio rond €15 miljoen per QALY. Dit wordt vooral bepaald door de hoge kosten van de geneesmiddelen en het relatief beperkte effect.

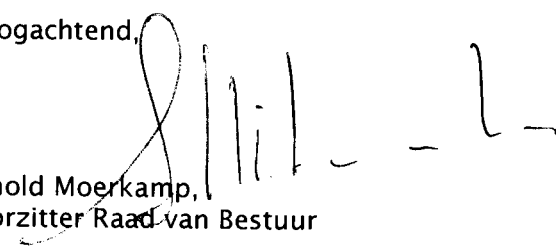
- *Uitvoerbaarheid*. De totale kosten bedragen circa €44 miljoen per jaar (gegevens 2010).

Belanghebbende partijen (o.a. patiënten, behandelend artsen, fabrikanten en zorgverzekeraars) meenden dat kosteneffectiviteit in dit geval geen argument zou kunnen en mogen zijn om de middelen uit te sluiten van het basispakket. Dit is afgelopen zomer in de nieuwsmedia uitvoerig aan de orde geweest. Verder vonden belanghebbende partijen dat er een gesprek nodig is over het beoordelingskader en over de prijsbepaling.

De Advies Commissie Pakket (ACP) ondersteunde het voorstel van het CVZ voor een bijzondere (financiële) regeling die een doeltreffende en doelmatige behandeling bevordert en ook een juiste selectie van patiënten. Tevens vindt de ACP dat er aanvullend onderzoek moet komen, evenals een bundeling/focus van expertise teneinde meer rendement uit de patiëntenregistraties te halen. De commissie bepleitte daarnaast gericht beleid op de ontwikkeling, de levering en de prijsstelling van weesgeneesmiddelen.

Wij beschouwen kosteneffectiviteit als een essentieel pakketcriterium om het op solidariteit gebaseerde zorgstelsel te handhaven. In deze specifieke situatie zien we onvoldoende reden om de ongunstige kosteneffectiviteit acceptabel te vinden. Tegelijkertijd zien wij dat collectieve financiering de enige mogelijkheid is om deze weesgeneesmiddelen beschikbaar te houden voor de betreffende patiënten. Daarom adviseren wij om, zoals boven vermeld, de behandeling onder voorwaarden te blijven bekostigen uit de collectieve middelen. Het volledige advies en de onderliggende stukken vindt u in de bijlagen.

Hoogachtend,


Arnold Moerkamp,
voorzitter Raad van Bestuur

Bijlagen:

- Advies alglucosidase alfa (Myozyme®) bij de indicatie 'ziekte van Fabry' met daarbij de volgende bijlagen:
 - Reacties van geconsulteerde partijen en spontane reacties
 - Farmacotherapeutisch herbeoordelingsrapport alglucosidase alfa (Myozyme®)
 - Feitelijk kostenbeslag alglucosidase alfa (Myozyme®)
 - Rapport uitkomstenonderzoek alglucosidase alfa (Myozyme®)