

Zorginstituut Nederland

Zorg

Willem Dudokhof 1
1112 ZA Diemen
Postbus 320
1110 AH Diemen
www.zorginstituutnederland.nl
info@zinl.nl

T +31 (0)20 797 85 55

Datum

8 maart 2024

Onze referentie

2024010885

verslag

115

Adviescommissie Pakket

Omschrijving	Adviescommissie Pakket
Vergaderdatum	8 maart 2024, 10.15 uur
Vergaderplaats	vergaderzaal Venus/Kentaurus
Aanwezig	Wija Oortwijn Cor Oosterwijk Jan van Busschbach Marcel Verweij Hans Gelderblom Pieter van Baal Carla Hollak Jos Schols Stephanie Klein Nagelvoort Jacqueline Zwaap (secretaris, verslag) Angèl Link (plv. secretaris, verslag)
Afwezig	Ilse van Beusekom (ZIN)

1 Opening en mededelingen

De voorzitter opent de vergadering.

- Carla Hollak meldt een conflicterend belang bij agendapunt 6 (het sluisgeneesmiddel) omdat zij voorzitter is van commissie Wees van de FMS die over de middelen voor de ziekte van Pompe heeft gesproken. Zij zal bij de bespreking van dit punt op de tribune plaatsnemen;
- Er heeft zich een inspreker (KNMP) gemeld voor punt 4 van de agenda (pakketadvies codeïne) en vier sprekers (expertisecentrum, Sanofi, Zorgverzekeraars Nederland en patiëntenorganisatie SN) voor agendapunt 5 (sluisgeneesmiddel avalglucosidase alfa);
- Besloten is de agendapunten 4 en 5 op de agenda om te draaien zodat de discussie over het sluisgeneesmiddel niet onder druk van nog een agendapunt hoeft plaats te vinden.
- Helaas blijken de microfoons vandaag niet te werken. Dat is heel vervelend. Excuses daarvoor.

2 Verslag van de vergadering van 9 februari 2024 (114)

Er zijn geen opmerkingen bij het verslag. Deze wordt ongewijzigd vastgesteld.

3 Stukken ter kennisneming (ACP 115-3)

Een lid geeft aan het stuk over evergreening met plezier te hebben gelezen.

Daarnaast valt hem op dat in de pakketadviezen altijd wordt gesproken over de

kosten. Dat klinkt alsof het een gegeven is. Maar het zijn vraagprijzen. Hij stelt voor deze term voortaan te gaan gebruiken.

Zorginstituut Nederland
Zorg

4 Pakketadvies codeïne (ACP 115-4)

Een medewerker van het Zorginstituut leidt het onderwerp in aan de hand van een presentatie (bijlage 1).

Datum
8 maart 2024

Onze referentie
2024010885

De leden hebben de volgende vragen gesteld:

- Waarom wordt er niet volgens de richtlijn voorgeschreven? Antwoord: we zien alleen dat het middel wordt voorgeschreven, maar niet waarvoor.
- Is er een risico dat tabletten vrij verkrijgbaar worden bij de drogist? Antwoord: nee het middel heeft een UR-status; daar verandert dit advies niets aan. Het lid voegt toe er aan te hechten in het advies het risico te benoemen van het eventueel vrij beschikbaar komen. In een aantal landen, waar codeïne vrij verkrijgbaar is, is codeïneverslaving een probleem onder jongeren.
- Is er bij grootgebruikers in Nederland sprake van verslaving? Antwoord: dat weten we niet.
- Is er evidence voor het gebruik van codeïne bij chronische diarree en wat zijn de kosten? Antwoord: ja, er is onderzoek naar gedaan waar dat uit blijkt. De kosten voor de patiënt zijn in dat geval substantieel. Op basis van de benodigde dosering kom je al gauw uit op zo'n 2000 euro per patiënt per jaar. Die kunnen dus niet voor eigen rekening komen.

De voorzitter nodigt de heer Noordermeer van de KNMP uit om in te spreken (inspreektekst bijgevoegd als bijlage 2). Hij geeft aan geen conflicterende belangen te hebben. Naar aanleiding van de inspraak zijn er enkele vragen:

- Bij de inspraak gaat het veel over het afwegingskader, maar dat staat niet op de agenda. Wat vindt de KNMP over dit advies? Antwoord: de KNMP vindt het niet goed dat in 86% niet volgens de richtlijn wordt voorgeschreven;
- Welk probleem ziet de inspreker bij de bijlage 2 voorwaarden? Antwoord: het leidt tot administratieve lasten en gedoe aan de balie. De huisarts zet de indicatie niet op het recept, vanwege privacy. Het is daarom lastig voor een apotheker om de indicatie te controleren, daarvoor moet de arts gebeld worden.

De voorzitter bedankt de heer Noordermeer voor zijn inspraak. Naar aanleiding van de inspraak is er nog een vraag voor de medewerker van het Zorginstituut over de werking van bijlage 2. Zij legt uit dat het een wettelijk instrument is waar de zorgverzekeraars uitvoering aan geven. Zorgverzekeraars verdelen de middelen op bijlage 2 in een vijftal groepen. Hoe hoger de groep, des te meer controle plaatsvindt. Het Zorginstituut kan niet opleggen in welke groep een voorwaarde belandt. De inspreker namens de KNMP is van mening dat het Zorginstituut zorgverzekeraars hierover wel zou kunnen adviseren. Een lid oppert dat er wellicht sprake is van een overgangssituatie omdat mogelijk alleen de oudere generatie voorschrijvers codeïne regelmatig voorschrijft.

De voorzitter opent de discussie. De vraag ligt voor of codeïne gedeeltelijk kan uitstromen. Zij gaat daarvoor niet alle argumenten herhalen. Voor chronische diarree zou het middel vergoed blijven. Wat vindt de commissie? Missen er nog overwegingen? Gaat de commissie mee in het advies?

In de discussie komen de volgende argumenten naar voren:

- Misschien is dit middel niet het beste middel om aan het afwegingskader noodzakelijk te verzekeren te toetsen omdat het middel niet effectief is. Dat argument gaat in feite hieraan vooraf. Dat is ook een belangrijke boodschap aan de beroepsgroep in het kader van passende zorg;
- Eens met het advies; geen volledige uitstroom. Want voor chronische diarree is het goed onderbouwd en zijn de kosten niet voor eigen rekening te nemen;
- Eens met het advies. Belangrijk om te overleggen met de KNMP of er sprake is van een overgangssituatie. Belangrijk ook te benadrukken dat het middel niet vrij verkrijgbaar mag worden;
- Het advies leidt tot de vraag hoe dit middel in het pakket is gekomen. Dat is in de jaren 80 geweest; de motivatie is niet meer na te gaan;

De voorzitter zegt dat zij tot nu toe bijval heeft gehoord voor het advies, met twee aanscherpingen:

- Goed kijken naar de uitvoeringsmogelijkheden van bijlage 2 voorwaarden;
- Benoemen dat dit geen vrij verkrijgbare zelfzorgproduct mag worden vanwege maatschappelijke effecten.

Naar aanleiding van deze formulering is er nog even discussie.

Uitvoeringsaspecten vormen standaard een onderdeel van de adviezen. Ook is het belangrijk goed de argumentatie te benoemen. Zoals het systematisch benoemen van risico's bij mogelijk uitsluiting. Het ontbreken van effectiviteit speelt hier ook een belangrijke rol. Een lid merkt tot slot op dat er overigens vrij verkrijgbare producten zijn die nog veel gevaarlijker zijn zoals sint Jans kruid.

De voorzitter sluit dit agendapunt af.

5 Cesuur verblijf Wlz (ACP 115- 6)

Een medewerker van het Zorginstituut leidt het onderwerp in aan de hand van een presentatie (bijlage 3).

Een lid dat betrokken is geweest bij de totstandkoming van het conceptadvies geeft een korte toelichting op de problematiek. Het conceptadvies ligt ter consultatie bij partijen. Naar zijn mening is het enige antwoord aan VWS dat mogelijk is: "wij kijken naar al deze factoren en daar objectieve criteria van maken is onmogelijk". Wat betreft het uitbreiden van beschutte woonvormplekken speelt het woningprobleem. De categorie VV4 hoort niet in een verpleeghuis; die ging vroeger naar een verzorgingshuis. Dat is een helder criterium. Wellicht moet een ander criterium zijn dat het thuis te duur wordt. De laatste 4 jaar wordt VPT op grote schaal toegepast, maar hoe bestendig is dat? Wordt daarmee opname uitgesteld? Dat weten we allemaal niet; dat is het eerlijke antwoord.

In de discussie die volgt, komen de volgende vragen en opmerkingen naar voren:

- Is het na het doen van onderzoek wel mogelijk om objectieve criteria te formuleren of dan ook nog niet? Antwoord ZIN: zelfs al je onderzoek zou kunnen doen, zal het nog steeds niet mogelijk zijn een lijstje te maken waar je een optelsom van maakt;
- VWS ziet zich geconfronteerd met een gapend gat tussen het verpleeghuis en thuis door het wegvallen van het verzorgingstehuis. Dat gat kun je niet vullen door de regelgeving aan te passen;
- Hoe verhoudt hetgeen zich in het NZa rapport staat over het scheiden van wonen en zorg en de voorstellen, zoals het beter definiëren van

clientkenmerken, die daar worden gedaan tot dit advies? In het conceptrapport van het Zorginstituut lijken vooral de planbaarheid van de zorg en de aanwezigheid van een mantelzorger belangrijke indicatoren. Antwoord ZIN: Het rapport van de NZa gaat over het scheiden van wonen en zorg in de bekostiging. Dat is een andere vraag. Het uitgangspunt is integrale zorg waarbij de zorgbehoefte van de cliënt bepalend is, maar ook de context. In het rapport zal verduidelijkt worden hoe het NZa advies zich verhoudt tot dit advies;

- Het mede bepalend laten zijn van context gebruiken kan een brug zijn naar een harde cesuur.

De voorzitter komt tot een eerste conclusie. De commissie deelt dat dit is wat we op het moment hebben. Wat betreft de specifieke vraag over een systeemwijziging: veel bouwstenen daarvoor hebben we nog niet. De medewerker van ZIN benadrukt waar de vraag van VWS vandaan komt. We zien een crisis in het wachten op een plaats in het verpleeghuis en onrechtvaardigheid in de toewijzing. Dat zijn niet (altijd) de mensen die het het meest nodig hebben. Hier ligt dus een rechtvaardigheidsvraag voor die de ACP in bredere context kan zien. Het is dus niet mogelijk een antwoord te geven aan VWS over harde criteria, maar welke overwegingen kunnen een rol spelen? De commissie noemt nog enkele overwegingen:

- Communicatie is belangrijk over waar men recht op denkt te hebben. Er moet meer maatschappelijke bewustzijn komen;
- VPT groeit, met allerlei aanvullende zorg leidt dit ertoe dat thuis niet altijd goedkoper is;
- Risico op vallen thuis. Hierop is de reactie dat dit in het verpleeghuis net zo goed kan gebeuren;
- Harde criteria zijn niet mogelijk, maar wel een rechtvaardige procedure waarin alle relevante overwegingen aan bod komen;
- Er is veel verkeerde bed problematiek als gevolg van problematiek thuis; vanuit het verpleeghuis komen patiënten veel minder vaak;
- Beschutte woonvormen zijn belangrijk om vereenzaming tegen te gaan. Thuis blijven kan ook tot eenzaamheid leiden;

Dit is een voorbeeld van verdringing. Verzorgingshuizen zijn wegbezuinigd, maar dit leidt nu tot een gat tussen thuis en het verpleeghuis.

De voorzitter sluit het agendapunt af met de conclusie dat de commissie zich in Het conceptadvies kan vinden, met een paar aandachtspunten:

- In het rapport meer ingaan op de relatie tot het NZa rapport;
- Het belang van een rechtvaardige procedure (procedurele rechtvaardigheid), juist wanneer objectieve criteria er niet zijn;
- Een criterium zou moeten zijn, dat thuis wonen niet duurder mag zijn dan in een verpleeghuis.

De voorzitter sluit het agendapunt af en schorst de vergadering voor 10 minuten.

6 Sluisgeneesmiddel avalglucosidase alfa (Nexviadyme®) voor de behandeling van de ziekte van Pompe (ACP 115-5)

Carla Hollak neemt vanwege een conflicterend belang plaats op de tribune. Zij neemt niet deel aan de discussie.

De medewerkster leidt het agendapunt in aan de hand van een presentatie (bijlage 4).

Zorginstituut Nederland
Zorg

Datum
8 maart 2024

Onze referentie
2024010885

De commissie stelt de volgende vragen aan de medewerkster:

- Er loopt onderzoek naar genterapie, is er al zicht op wanneer dat verwacht kan worden? Antwoord: Er lopen fase 1 studies, het is moeilijk in te schatten, als het werkt, wanneer dat op de markt gaat komen.
- Zijn er biosimilars te verwachten? Antwoord: Er zijn enkele ontwikkelingen geweest, maar die zijn gestopt. Ook hiervoor geldt dat niet duidelijk is of die gaan komen en zo ja wanneer.
- Hoe beïnvloedt evergreening de markt van biosimilars? Antwoord: Als er inmiddels een voorkeur is voor het nieuwe product, is er geen markt meer voor de biosimilar.

Zorginstituut Nederland
Zorg

Datum
8 maart 2024

Onze referentie
2024010885

De voorzitter nodigt de eerste inspreker uit aan tafel. Normaal gesproken spreekt de patiëntenorganisaties als eerste, maar die heeft gevraagd of zij als laatste mag inspreken. Om die reden start de inspraak met het expertisecentrum.

Mevrouw Van der Beek en Van der Ploeg, beide behandelaars in het expertisecentrum spreken in (bijlage 5). Op een vraag van de voorzitter naar conflicterende belangen geven zij aan betrokken te zijn bij klinische trials, maar hier geen persoonlijk financieel belang bij te hebben. De commissie stelt hen de vragen:

- Het nieuwe product is vergelijkbaar qua effectiviteit met het product dat er al is. Waarom zou je dan voor het nieuwe middel kiezen? Antwoord: insprekers zeggen de op basis van hun beperkte ervaring de indruk te hebben dat avaglucosidase alfa bij sommige patiënten beter werkt. Zij willen dit graag nader onderzoeken;
- Bij wie zou de beroepsgroep het nieuwe middel willen gaan inzetten? Antwoord: Bij patiënten die nieuw gediagnosticeerd worden en bij patiënten die weliswaar reageren op alglucosidase alfa, maar daar bijwerkingen van ervaren. De insprekers verwachten niet dat het wel effect gaat hebben bij patiënten die geen effect van alglucosidase alfa ervaren. Bij die patiënten zullen ze het nieuwe middel dus niet gaan inzetten.
- Is er al data beschikbaar over patiënten die overstappen? Antwoord: In het centrum is nu bij een paar patiënten ervaring opgedaan, maar daar is nog geen data over beschikbaar.
- Waarom spreekt de beroepsgroep van een nieuwe generatie? Welke druk ervaart zij vanuit patiënten en de fabrikant? Antwoord: De insprekers geven aan dat er meer innovatie nodig is om de ziekte de wereld uit te krijgen, bijvoorbeeld genterapie. Superioriteit van avaglucosidase alfa is nog niet aangetoond, het is een taak voor het expertisecentrum om dat nader te onderzoeken. Rotterdam is op het gebied van Pompe het wereld expertisecentrum, onderzoek is daarom een belangrijke taak. Al in 2004 is het expertisecentrum begonnen met het verzamelen van data over het natuurlijk beloop. Het expertisecentrum voelt zich verantwoordelijk en weet dat het veel vraagt van de maatschappij.
- Het expertisecentrum heeft inderdaad een belangrijke en verantwoordelijke taak. Het betreft het duurste weesgeneesmiddel dat er is. Als het nieuwe middel geen aantoonbare meerwaarde heeft, maar wel potentieel de markt verstoort, kan dat ook miljoenen kosten. Hoe kijkt het expertisecentrum daar tegenaan? Antwoord: Dat is een ongelooflijk ingewikkelde discussie. Natuurlijk moet het centrum oog hebben voor de kosten, maar het staat ook voor de belangen van zijn patiënten. Die kunnen er niets aan doen dat ze een ziekte hebben waarvan de behandeling zo duur is. Onderhandeling over de prijs is van belang. Waar het kan neemt het centrum zijn maatschappelijke

verantwoordelijkheid. Behandelaren willen graag meer middelen beschikbaar hebben om in het individuele geval te kunnen kijken welke het beste is.

- Leidt het behandelen met een enzymtherapie tot een normaal leven? Antwoord: In 1999 is de eerste patiënt behandeld. Je hoopt dat deze patiënt 80 wordt, maar dat weten we nog niet. Er is altijd nog ruimte voor verbetering. Daarom blijven we zelf ook ontwikkelen. Voor de komst van alglucosidase alfa gingen patiënten binnen het eerste jaar dood, dat zien we niet meer. Ze leren lopen, rennen en gaan naar school. Maar we verliezen ook weer de strijd bij de kleine kinderen.

Er zijn geen verdere vragen. De voorzitter nodigt de fabrikant Sanofi uit om in te spreken. De heer Wormhoudt geeft aan geen conflicterende belangen te hebben anders dan dat hij werkzaam is voor de fabrikant. Zijn inspreektekst is opgenomen in bijlage 6. Naar aanleiding van zijn inspraak stelt de commissie de volgende vragen:

- Wat maakt het uit om 1 kilo of 1100 gram van dit middel te produceren? Het is één van de duurste middelen, zijn hiervoor de productiekosten leidend bij de bepaling van de prijs of de winst? Antwoord: De inspreker licht toe dat het macrogezien weliswaar het duurste weesgeneesmiddel is, maar dat komt doordat Nederland relatief een grote populatie Pompe patiënten kent. Wat betreft de productie, het valt niet te onderschatten wat daarin wordt geïnvesteerd. De productie vindt plaats in België, waar recent 1 miljard is geïnvesteerd in de productie.
- We hebben het hier over evergreening, de meerwaarde van het nieuwe middel is niet aangetoond, maar het is wel een manier om langer de hoofdprijs te kunnen vragen. Hoe kijkt u hier tegenaan? Antwoord: De inspreker licht toe dat indien er sprake is van gelijke waarde er niet altijd sprake is van evergreening, daarin zitten veel nuances. Mogelijk is er sprake van meerwaarde, het is niet voor niets dat het expertisecentrum aanvullend onderzoek wil doen.
- Is het denkbaar dat Sanofi aangeeft wanneer zij voorziet uit de kosten te zijn en dan de prijs te kunnen verlagen? Antwoord: De inspreker geeft aan dat dat misschien een optie zou kunnen zijn, maar het gaat niet alleen om het terugverdienen van de kosten van dat ene middel. Als fabrikant beschik je over een hele portefeuille aan middelen. Je moet blijven investeren. Dat is moeilijk te voorspellen naar de toekomst.

Er zijn geen verdere vragen. De voorzitter nodigt de heer Loof uit om namens Zorgverzekeraars Nederland in te spreken. De heer Loof geeft aan geen conflicterende belangen te hebben. Zijn inspraaktekst is bijgevoegd als bijlage 7. De volgende vraag is gesteld:

- Er is geen nieuw financieel arrangement gekomen voor alglucosidase alfa. Door openbare prijsverlaging was de lijstprijs lager dan de onderhandelde prijs. Was het juridisch gezien mogelijk geweest voor de minister om een nieuw prijsarrangement af te sluiten? Antwoord: de inspreker denkt wel dat dat een mogelijkheid was geweest.

Er zijn geen verdere vragen. De voorzitter nodigt mevrouw Horemans van de patiëntenorganisatie Vereniging Spierziekten Nederland uit aan tafel. Zij geeft aan geen conflicterende belangen te hebben. Er wordt een videofragment van een patiënt getoond. De tekst van het videofragment is bijgevoegd als bijlage 7. Er zijn geen vragen.

Zorginstituut Nederland
Zorg

Datum
8 maart 2024

Onze referentie
2024010885

De voorzitter opent de discussie met een samenvatting van een aantal punten als vertrekpunt voor de gedachtevorming in de commissie:

- Het betreft een sluisgeneesmiddel, voor een zeldzame, erfelijke en heterogene aandoening met een hoge ziektelast.
- Het middel voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk, maar heeft geen aantoonbare meerwaarde t.o.v. het huidige medicijn (alglucosidase alfa)
- De kosten van de behandeling zijn zeer hoog.
- De vraagprijs van alglucosidase alfa en avagluco­sidase alfa is gelijk.
- Op dit moment is er geen financieel arrangement meer voor alglucosidase alfa. Het patent van alglucosidase alfa is reeds verlopen. Sinds 2012 is de openbare prijs van alglucosidase alfa met 23% gedaald.
- De kosteneffectiviteit van beide middelen is zeer ongunstig. Nederlandse studies over de kosteneffectiviteit van alglucosidase alfa rapporteren een ICER van rond de 1-3 miljoen per QALY¹ ten opzichte van best ondersteunende zorg. Verwacht wordt dat dit ook van toepassing is op avagluco­sidase alfa.
- Beide middelen zijn van dezelfde fabrikant. De EMA heeft het nieuwe middel geen weesgeneesmiddel status gegeven, omdat de EMA avagluco­sidase alfa niet als een nieuwe actieve substantie ziet. Daarmee ziet het Zorginstituut dit als een vorm van evergreening. De introductie van avagluco­sidase alfa kan de intrede van biosimilars van alglucosidase alfa verstoren.
- Er is recent een derde middel op de markt gekomen voor volwassenen met Late-Onset-Pompe-Disease (LOPD) genaamd cipagluco­sidase alfa (Pombiliti®). Dit is een geneesmiddel van een andere fabrikant, namelijk Amicus Therapeutics. De beoordeling van dit derde middel gaat binnenkort starten. Afhankelijk van de uitkomst van de beoordeling, zal dit de concurrentie kunnen bevorderen en de onderhandelingsmogelijkheden verbeteren.

De voorzitter vraagt de commissie welke argumenten er voor en tegen opname in de basisverzekering zijn en hoe deze te wegen vanuit het maatschappelijke perspectief. De leden noemen de volgende overwegingen:

- Er is begrip voor dat behandelaren graag willen kunnen kiezen uit verschillende middelen voor de behandeling van de ziekte van Pompe, maar dat dit kan alleen onder de voorwaarde van een maatschappelijk aanvaardbare prijs.
- Het is goed om te horen dat het met een deel van de Pompe-patiënten beter gaat sinds de behandeling met alglucosidase alfa beschikbaar is gekomen. Echter, vanuit maatschappelijk perspectief is het niet te verantwoorden om zoveel geld uit te geven aan één middel. Een lid wijst daarbij op een punt dat vandaag ook op de agenda stond: de problemen in de ouderenzorg. Voor 1-3 miljoen euro waarmee je met de behandeling van de ziekte van Pompe één levensjaar in goede gezondheid (QALY) wint, zou je jaarlijks ongeveer 20-60¹ verpleegkundigen kunnen inhuren om ouderen te verzorgen.
- Een optie kan zijn om te adviseren dit middel niet op te nemen in de basisverzekering. Het middel heeft immers geen toegevoegde waarde ten opzichte van het middel dat reeds vergoed wordt. Echter, opname van avagluco­sidase alfa in de basisverzekering zou artsen en patiënten de mogelijkheid geven om in het individuele geval te kijken welk middel het beste werkt en de minste bijwerkingen geeft. Daar staat echter tegen over dat

¹ Deze aantallen en bedragen zijn naar beneden bijgesteld, omdat in de presentatie het verkeerde bedrag per QALY was overgenomen uit de daarvoor gebruikte publicaties.

het tot nu toe nog onduidelijk is of de patiënten die ernstige bijwerkingen ervaren bij behandeling met alglucosidase alfa, wel geholpen zouden zijn met avaglucosidase alfa.

- De commissie kan zich niet aan de indruk onttrekken dat er in dit geval sprake is van 'evergreening'. Opname van dergelijke middelen in de basisverzekering heeft in zijn algemeenheid tot gevolg dat het minder interessant wordt voor andere fabrikanten om goedkopere alternatieven (biosimilars) op de markt te brengen. Uit het verleden is gebleken dat wanneer patiënten reeds op het nieuwe middel zijn gezet, het vrijwel onmogelijk is om patiënten over te zetten naar een goedkoper alternatief van het oude middel. Wanneer de markt voor de biosimilar zo teniet wordt gedaan, wordt concurrentie vermeden en heeft de fabrikant geen reden om de prijs te verlagen. De commissie vindt daarom dat het belonen van evergreening een signaal geeft, dat invloed heeft op de aantrekkelijkheid van het ontwikkelen van biosimilars en daarmee ook op toekomstige pakketadviezen.
- Er komt op zeer korte termijn een concurrerend middel beschikbaar. Dat biedt mogelijkheden, ook al is de commissie zich ervan bewust dat, zeker bij weesgeneesmiddelen, een concurrerend product niet automatisch een veel lagere vraagprijs betekent. Er ontstaat wel een betere onderhandelingspositie voor VWS dan wel zorgverzekeraars. De commissie neemt daarom het voorstel van Zorgverzekeraars Nederland over om te wachten op duidelijkheid over de effectiviteit en prijs van het derde middel. Dit heeft dan wel weer tot gevolg dat het middel langer in de sluis blijft. Dat is doorgaans iets waar bij partijen onvrede over bestaat. Aan de andere kant is er nu een behandeling beschikbaar voor deze patiëntengroep, welk vergelijkbare effecten heeft als avaglucosidase alfa.
- De commissie vindt dat er zowel over de prijs van avaglucosidase alfa als alglucosidase alfa onderhandeld dient te worden.
- Er is tot slot gediscussieerd over de hoogte van een prijsreductie die kan worden meegegeven voor de onderhandelingen. Daarvoor is van belang welke referentiewaarde het uitgangspunt vormt. Hoewel de commissie het in sommige gevallen verdedigbaar vindt om een vraagprijs boven de referentiewaarde te accepteren acht zij dat in dit geval niet valide. De reden daarvoor is dat alglucosidase alfa een effectief middel is dat uit patent is en waarvan de ontwikkelkosten al (grotendeels) terugverdiend zijn én dat het nieuwe middel een vergelijkbare effectiviteit kent. De commissie komt daarom tot de conclusie dat de maximale referentiewaarde van 80.000 euro per QALY ook nu van toepassing is.
- In geval van alglucosidase alfa telt ook mee dat dat middel met publiek geld is ontwikkeld. Er zit geen patent meer op alglucosidase alfa en omdat de ontwikkelkosten als waarschijnlijk grotendeels zijn terugverdiend, vindt een lid dat een kostprijsbenadering, kostprijs plus redelijke winst, goed verdedigbaar zou zijn.
- Er wordt nog gesproken over de mogelijkheid van een herbeoordeling van alglucosidase alfa. De vraag is in welke mate dat toegevoegde waarde heeft. Een medewerker geeft aan dat de onderhandelingspositie beperkt is, want alle patiënten worden reeds behandeld.
- Het middel heeft geen weesgeneesmiddelenstatus gekregen van de EMA. Het betreft nog steeds een middel voor een zeldzame aandoening. Het heeft alleen niet dit stempel gekregen waardoor het geen periode van marktexclusiviteit heeft.

Zorginstituut Nederland
Zorg

Datum
8 maart 2024

Onze referentie
2024010885

De voorzitter vat op basis van bovenstaande overwegingen het advies van de commissie als volgt samen en vraagt het secretariaat om het advies op schrift uit te werken en voor te leggen aan de commissie.

Zorginstituut Nederland
Zorg

Datum
8 maart 2024

Onze referentie
2024010885

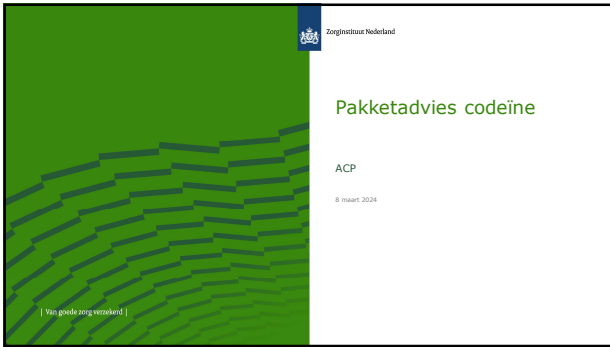
“Alles afwegende luidt het advies om avagluco­sidase alfa niet op te nemen in het basispakket, tenzij een prijs­onderhandeling resulteert in een gunstige kosteneffectiviteit op basis van de maximale referentiewaarde van 80.000 euro per QALY. De commissie adviseert de prijs­onderhandeling over avagluco­sidase alfa in het licht te zien van de twee anderen middelen: cipagluco­sidase alfa en algluco­sidase alfa”.

De voorzitter dankt de insprekers voor hun bijdrage en sluit dit agendapunt af.

7 Rondvraag

Een lid heeft de volgende mededeling. In een van de komende vergaderingen zal een geneesmiddel tegen obesitas op de agenda staan. Dit is ook vanuit maatschappelijk en ethisch perspectief een interessante casus. Het Centrum voor Ethiek en Gezondheid werkt aan een argumentenkader. Zij probeert dit in april/mei te publiceren om zo bij te dragen aan de maatschappelijke discussie rond dit vraagstuk.

De voorzitter bedankt alle aanwezigen en de insprekers en sluit de vergadering.



Aanleiding

- 2016. Pakketadvies: Horen vitamines, mineralen en paracetamol 1000 mg (nog) thuis in het te verzekeren pakket?
- 2022. Aanvullend pakketadvies vitamine D.

Het gaat om GVS-geneesmiddelen, waarvoor een (nagenoeg) vergelijkbaar alternatief beschikbaar is in de vrije verkoop, en waarvoor de kosten voor eigen rekening kunnen komen.

Naar aanleiding van de gedachtenvorming in de commissie (verslag 8 april 2022 over vitamine D) heeft zij twee aanvullende algemenere adviezen aan het Zorginstituut geformuleerd:

- Onderzoek hoe het voorschrijfgedrag meer in lijn gebracht kan worden met de pakketbeginselen.
- Houdt, in het kader van consistentie, het basispakket tegen het licht wat betreft middelen met een zelfzorgvariant.

➤ Verzoek van de minister

8 maart 2024 2

Afwegingskader 'noodzakelijk te verzekeren zorg'

- Ziektebelasting
- Voorzienbaarheid
- Gebruikbaarheid
- Kosten van de zorg, mogelijke substitutie
- Therapietrouw en hiermee vervolgshade
- Gezondheidsverschillen
- Aanwezigheid van vangnetconstructie
- Systeemeffecten

18 april 2024 3

Casus codeïne

- Codeinetablet (UR) is geïndiceerd voor volwassenen en kinderen ouder dan 12 jaar voor:
 - Behandeling van **acute matige pijn** die niet kan worden verlicht door andere pijnstillers zoals (alleen) paracetamol of ibuprofen, of
 - Symptomatische verlichting van **niet productieve hoest**, of
 - Symptomatische verlichting van **diarree** na onvoldoende resultaat met loperamide

GIP-tijfers 2022 codeinetabletten (kosten exclusief apothekerkosten en btw)	
Aantal gebruikers	590.620 mensen
Totale vergoeding	€ 9.160.900
gemiddeld	€ 15,24 pppj
mediaan	€ 6,07 pppj

- Natterman Bronchicum Extra Sterk stroop (JAD): Ter verlichting van droge hoestklachten.
 - Fles met 100 ml (€ 10) of 200 ml (€ 14).

8 maart 2024 4

Afwegingskader noodzakelijk te verzekeren zorg: uitkomsten beoordeling codeïne (I)

Afwegingen	Beoordeling codeïne
Ziektebelasting	Acute hoest: <0,015 (zeer laag) Acute matige pijn: rond 0,05 (zeer laag) Milde diarree: 0,074 (zeer laag) Chronische ernstige diarree: >0,247 (laag)
Voorzienbaarheid	Ja: hoest, matige pijn en acute diarree (kortdurend, veel voorkomend) Nee: chronische ernstige diarree.
Gebruikbaarheid	Ja: symptoomverlichting bij hoest (toning, hoestdrank zoals Natterman), matige pijn (paracetamol/NSAID) en acute diarree (loperamide) zijn algemeen gebruikelijke zorg. Nee: codeinetabletten (UR) zijn niet algemeen gebruikelijk.

8 maart 2024 5

Afwegingskader noodzakelijk te verzekeren zorg: uitkomsten beoordeling (II)

Afwegingen	Beoordeling codeïne
Kosten van de zorg en mogelijke substitutie	Landelijk Vergoeding codeinetabletten in 2022: € 9.160.900 inclusief apothekerkosten en btw: € 20.774.900
Indicaties	Kortdurende behandeling inclusief apothekerkosten en btw: minder dan € 22 pppj Klein subgroep met hoge kosten: enkele honderden tot duizenden euro's pppj
	* Eigen risico
	* Mogelijke substitutie bij pijn: bijv. tramadol

8 maart 2024 6

Afwegingskader noodzakelijk te verzekeren zorg: uitkomsten beoordeling (III)

Afwegingen	Beoordeling codeïne
Therapieertra en vervolgchade	Gebruik van codeïne bij hoest, pijn en acute diarree is niet aangeraden door richtlijnen.
Gezondheidsverschillen	
Aanwezigheid van niet-constructie	
Systemeffecten	Daarom is therapietrouw niet van belang en ook geen vervolgchade te verwachten. Er zijn geen duidelijke aanwijzingen dat bepaalde groepen kwetsbare burgers onevenredig worden getroffen als kortdurend gebruik van codeïne niet meer wordt vergoed. Een vangnetconstructie voor deze groep is dan ook niet nodig. Voor langdurig gebruik bij ernstige diarree is dat anders. Niet (therapie)trouw behandelen kan hoogstwaarschijnlijk wel leiden tot vervolgchade. Bij totale uitstroom: minder receptregelvergoeding voor openbare apotheken (bijna €10 miljoen voor NL in 2022); gemiddeld € 5000 per apotheek per jaar. Ruimte voor stimuleren van passende zorg (staken met niet passende zorg).

8 maart 2024

7

Pakketadvies (concept)

Codeïne kan op bijlage 2 van de Regeling zorgverzekering worden geplaatst met de volgende voorwaarden:

Codeïne

Uitsluitend voor een verzekerde met chronische diarree die niet kan uitkomen met loperamide omdat loperamide onvoldoende effectief is gebleken of omdat loperamide door contra-indicatie of intolerantie niet ingezet kan worden.

Vraag aan de commissie:

Kan de commissie zich vinden in de redenering en het conceptadvies?

8 maart 2024

8

Memo

Van KNMP, Aad Noordermeer
Aan Adviescommissie Pakket Zorginstituut Nederland
Datum 8 maart 2024
Betreft Inspreektekst bij agendapunt 4 Pakketadvies codeïne

Na de eerdere vaststelling van het afwegingskader NTVZ ligt nu een toepassing van dit kader voor. Zoals in uw vergaderstuk beschreven “wil het Zorginstituut op basis van de ervaringen die we hiermee opdoen, later de andere (groepen van) geneesmiddelen gaan beoordelen.”

Kanttekeningen vooraf

Tegen die achtergrond willen we beginnen met enkele kanttekeningen vooraf bij het proces. Zo wordt in de stukken niet of nauwelijks toegelicht waarom voor deze eerste toepassing van het afwegingskader de keuze op codeïne is gevallen. Het stuk geeft aan dat het gaat om één medicijn met een beperkt aantal gebruikers. Maakt dat juist dit middel geschikt om ervaring op te doen met het toepassen van het NTVZ? Het is ons uit de stukken niet helder. Ook niet waarom dit middel hiervoor bij uitstek geschikt wordt geacht, terwijl bij het recente advies over Emesafene¹ toetsing aan het afwegingskader niet relevant werd geacht.

Algemene reactie op de pakketbeoordeling als zodanig

Los daarvan, als we de pakketbeoordeling als zodanig beoordelen, dan is die op zichzelf nuttig. 86% van het gebruik is incidenteel, kortdurend en in lage dosering en lijkt niet gepast volgens vigerende richtlijnen. Dit zou via een bijlage 2-voorwaarde uit het pakket kunnen worden geschrapt², zo kunnen we het advies samenvatten.

Wel is de vraag relevant of dit tot een ook voor apothekers goed uitvoerbare bijlage-2-voorwaarde leidt. Die vraag lijkt nu door het Zorginstituut niet te worden meegenomen bij de afwegingen rond bijlage 2. Wij vinden dit wel noodzakelijk, teneinde voor patiënten de complexiteit van het systeem te beperken en teneinde voor apothekers de administratieve lasten en het negatief effect op werkplezier te beperken.

¹ Advies om “meclozine/pyridoxine voor de behandeling van misselijkheid en braken tijdens de zwangerschap niet meer aan te wijzen als een te verzekeren prestatie en Emesafene voor die indicatie niet langer op te nemen in het GVS.” Zie aanbiedingsbrief bij [GVS-advies doxylaminesuccinaat-pyridoxinehydrochloride \(Xonvea®\) bij misselijkheid en braken tijdens de zwangerschap | Advies | Zorginstituut Nederland](#)

² In 2022 hebben 590.620 mensen een vergoeding ontvangen voor codeïnetabletten. De totale vergoeding bedroeg € 9.160.900 exclusief apotheekkosten en btw, en € 20.774.900 inclusief apotheekkosten en btw. 86% van de mensen die een vergoeding hebben gekregen van codeïnetabletten gebruikt dit middel incidenteel, kortdurend en in lage dosering (een of twee voorschriften per jaar met in totaal 8 Defined Daily Doses of minder). Als deze groep, conform de aanbevelingen in de richtlijn, zal stoppen met het gebruik van codeïne voor hoest, pijn of acute diarree, dan zal dit leiden tot een kostenbesparing voor de zorgverzekering van € 2.889.275 exclusief en € 10.731.050 inclusief apotheekkosten en btw.

Als opname in groep 1 van de bijlage 2-middelen niet mogelijk is, moet hier niet te makkelijk over worden gedacht³.

Ervaring met toepassing afwegingskader NTVZ

Na onze kanttekeningen vooraf en onze algemene reactie op de pakketbeoordeling als zodanig, kunnen we naar de ervaring met de toepassing van het afwegingskader op codeïne. Bij die toepassing vallen ons 3 dingen op, waarbij we u in overweging geven om het consultatiedocument op deze 3 punten bij te stellen voordat u het in consultatie geeft:

Allereerst valt op dat (terecht) wordt gesignaleerd dat het kan voorkomen dat volgens vigerende richtlijnen een ander, duurder middel is aangewezen in plaats van het middel dat beoordeeld wordt. In het geval van codeïne wordt in het stuk gewezen op de situatie bij pijn, waarbij in plaats van codeïne tramadol zal worden ingezet⁴. **Wij pleiten ervoor financiële plussen en minnen op gelijke wijze in beeld te brengen. Ook als de plussen de kosten zijn van betere kwaliteit c.q. beter passende zorg. Zoals in dit geval de vervanging van codeïne door tramadol.** Wij zouden het consultatiedocument op dit punt graag aangevuld zien.

In de tweede plaats valt op dat bij het onderdeel ‘kosten van de zorg en mogelijke substitutie’ niet gerekend wordt met de werkelijke effecten op de kosten van het betrokken geneesmiddel, maar met lijstprijzen⁵. Zoals wij eerder al hebben ingebracht, zou de toepassing van het toetsingskader aan kracht winnen als met dit verschil bij afwegingen op basis van het afwegingskader rekening gehouden wordt. Als een middel uitstroomt, betekent dit dat de besparing voor de premiebetaler fors minder is dan nu wordt gesuggereerd⁶. Voor meer inzicht hierin, zou het Zorginstituut informatie kunnen inwinnen bij de NZa en/of kunnen putten uit het op 11 maart 1998 gepubliceerde RVZ-advies Farmaceutische zorg⁷ door arts en apotheker dat op hoofdlijn nog steeds een goede beschrijving geeft. **Wij dringen er nogmaals op aan dat bij toepassing van het afwegingskader zoveel mogelijk wordt uitgegaan van de echte werkelijkheid en niet van ficties die geen inzicht geven in de werkelijk te maken publieke afwegingen.**

³ <https://www.zn.nl/app/uploads/2024/02/Tabel-Bijlage-2-bijgewerkt-per-1-mrt-2024.pdf> en [Advies actualisatie bijlage 2-voorwaarden \(2023\) | Advies | Zorginstituut Nederland](#)

⁴ “Het achterwege laten van codeïnetabletten bij pijn zal mogelijk leiden tot meerkosten door inzet van andere pijnstillers, bijvoorbeeld tramadol. De omvang hiervan is echter niet bekend. Deze verandering van therapie conform de behandelrichtlijnen is juist gewenst.”

⁵ De vergoeding voor extramurale farmacie op deze website zijn de kosten die apotheken in rekening brengen exclusief BTW. De feitelijke vergoeding komt tot stand op basis van afspraken tussen verzekeraars en apotheken en kan dus per apotheek verschillen. Bovendien is de vergoeding exclusief het aflevertarief van de apotheek.

⁶ Bij verzekeraars zal de premie minder kunnen dalen en dat geldt ook voor de bekostiging van apotheken. Bij verzekeraars vervallen de opbrengsten van het preferentiebeleid. In de bekostiging van apotheken wordt in het systeem rekening gehouden met inkomsten uit een beperkte marge op middelen. Als die verval, zal in de contract-onderhandelingen tussen verzekeraars en apothekers moeten blijken of daarvoor compensatie noodzakelijk wordt geacht om de bekostiging van de zorg door apothekers op peil te houden.

⁷ <https://www.raadrvs.nl/documenten/publicaties/1998/03/11/farmaceutische-zorg-door-arts-en-apotheker>

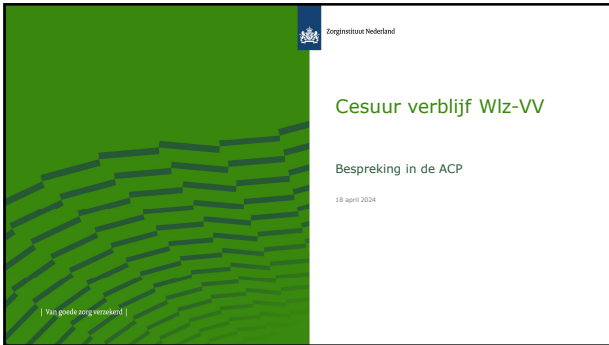
In de derde plaats vragen wij aandacht voor een betere toepassing van het onderdeel systeemeffecten uit het afwegingskader. Hierbij speelt het hierboven benoemde punt van de uitvoerbaarheid van bijlage-2-voorwaarden, maar ook de veel gehanteerde veronderstelling dat de receptregelvergoeding bij uitstroom uit het pakket als bezuiniging kan worden ingeboekt. In het systeem van vrije prijzen en contracteervrijheid zoals dat geldt voor de openbare farmacie, zal bij de contractering bezien worden of het gewenst is dat een apotheek gecontracteerd blijft en welke vergoeding dan nodig is om goede zorg te kunnen blijven leveren. In dat kader wordt geacht besluitvorming plaats te vinden over de noodzakelijke hoogte van de receptregelvergoeding. Het is in die systematiek niet aan het Zorginstituut, noch aan de ministeries om op voorhand het financieel kader neerwaarts bij te stellen. Gebeurt dat wel, dan nemen zorgverzekeraars dat als gegeven en wordt de basis om zorg te verlenen voor apotheekteams op voorhand uitgehouden. Verder is voor apothekers en patiënten van belang dat niet alleen per middel gekeken wordt, maar ook naar het totaaleffect van het afwegingskader op geneesmiddelen. Immers, als het kader op enkele middelen is toegepast, zal er met een beroep op consistentie verder gegaan worden. Als we middel voor middel langslopen en daarbij niet ook de stapeling van effecten meenemen, doen we het afwegingskader volgens ons geen recht. Hier speelt ook bij dat bij een groter gebruik van zelfzorgmiddelen buiten zicht van de apotheek, ongewenst gebruik van zelfzorgmiddelen gemakkelijk uit het zicht kan raken⁸. **Hoe wil de ACP, hoe wil het Zorginstituut hiermee omgaan? En we zijn ook benieuwd of het afwegingskader breder toegepast gaat worden dan op geneesmiddelen.**

Tenslotte nog een tip. In het advies wordt voor het aantal apotheken verwezen naar cijfers van de Stichting Farmaceutische Kengetallen (SFK), maar voor de gemiddelde omzet naar een publicatie van de Rabobank die inmiddels is verwijderd van een onveilige website en niet naar de cijfers over de gemiddelde apotheek van SFK. Zou toch niet beter ook hier verwezen kunnen worden naar gegevens van SFK⁹ en/of Vektis?

We zijn benieuwd naar uw reactie.

⁸ Denk aan de situatie waarin iemand bij hoestklachten vanwege een ACE-remmer Natterman Bronchicum Extra Sterk stroop koopt bij een drogist in plaats van zijn klachten te bespreken met arts en apotheker en de ACE-remmer te laten vervangen door een ATC2-remmer.

⁹ <https://www.sfk.nl/publicaties/data-en-feiten/data-en-feiten-2023>



The slide features a green background with a pattern of white lines on the left side. The text is white and positioned on the right side. At the top right, there is a small logo for 'Zorginstans Nederland'. The main title is 'Cesuur verblijf Wlz-VV', followed by 'Bespreking in de ACP' and the date '18 april 2024'. At the bottom left, there is a small tagline: '| Van goede zorg verzekerd |'.

Zorginstans Nederland

Cesuur verblijf Wlz-VV

Bespreking in de ACP

18 april 2024

| Van goede zorg verzekerd |

Aanleiding

- Uitvraag van VWS n.a.v. programma WOZO (Wonen, ondersteuning en zorg voor ouderen) dat inzet op aanpassen van ondersteuning en zorg naar voorkeur van ouderen. Belangrijk vraagstuk: welke ouderen zijn aangewezen op integrale zorg met verblijf?
- Huidige trends en toekomstige uitdagingen binnen de Wlz:
 - Crisissituaties krijgen voorrang op mensen met Wlz-indicatie op wachtlijst
 - Niet alle cliënten zijn aangewezen op zorg die alleen in verpleeghuis wordt geboden
 - Snelle stijging van VPT (volledig pakket thuis)
 - Arbeidskrachtentekort

18 april 2024 2

Concept advies

- Cesuur o.b.v. objectieve criteria is niet mogelijk, wel een afweging tussen wie wel/niet in aanmerking komt voor integrale zorg met verblijf in verpleeghuis. Dit kan o.b.v. onderscheid in beschermd vs. beschut wonen voor VV04, 05 en 06 (uitgezonderd de leveringsvorm verblijf met behandeling).
- Onvoldoende kennis over welke factoren afzonderlijk en tezamen van invloed zijn op de noodzaak om te gaan verblijven in een bepaalde setting.
 - > afwachten onderzoek VU naar effect van factoren in sociale context op Wlz-indicatie.
 - > onderzoek naar voorwaarden passende zorg thuis / beschutte woonvorm en gevolgen

18 april 2024 3

Vragen aan commissie

- Kan de commissie zich vinden in de conclusies, en aanbevelingen uit het conceptadvies?
- Heeft de commissie nog suggesties voor de verdere uitwerking van deze problematiek?
- Wat is er voor nodig om ons advies goed te laten landen?

18 april 2024 4

Zorginstituut Nederland

Avalglucosidase alfa (Nexviadyme®) voor de ziekte van Pompe

Sluisgeneesmiddel

Marijke de Vries (Secretaris WAR-CG)
Noraly Stam (Farmacotherapie)
Mohamed El Allili (Farmaco-economie)

8 maart 2024

Van goede zorg verzekerd

Te bespreken indicatie

Avalglucosidase alfa (AVA: Nexviadyme®) is geregistreerd als langdurige enzymvervangings therapie bij de behandeling van patiënten met de **ziekte van Pompe**.

- Erfelijke aandoening
- Genmutatie van het alfa-glucosidase (GAA) gen
- Tekort aan enzym alfa-glucosidase
- 145 patiënten in Nederland

Ziekte van Pompe

Infantile-onset Pompe disease (IOPD) – klassieke vorm (19 patiënten in NL)

- Betreft 1/6 van alle patiënten met Pompe
- Symptomen ontstaan binnen 1^o levensjaar
- Mediane diagnose bij 4 maanden
- Zonder behandeling vaak overlijden <1 jaar aan hart- en ademhalingsproblemen

Late-onset Pompe disease (LOPD) – atypische vorm (126 patiënten in NL)

- Langzaam progressieve spierzwakte – achteruitgang skelet- en ademhalingspijnen
- Mediane diagnose bij 38 jaar
- Verloop is variabel en niet voorspelbaar
- Zonder behandeling is de mediane leeftijd van overlijden 55 jaar (range 23-77)

18 april 2024 3

Behandeling ziekte van Pompe

Enzymvervangende therapie (ERT)

- Kunstmatige vorm van missende enzym
- Volgens Europese start- stopcriteria & indicatiecommissie
- Sinds 2006 wordt behandeld met **alglucosidase alfa (ALG, Myozyme®)**

Dosering

- Bij LOPD: 20 mg/kg om de 2 weken
- Bij IOPD: 40 mg/kg elke week (2x zo veel als in SmPC)

- Nu wordt vergoeding gevraagd voor **avalglucosidase alfa (AVA, Nexviadyme®) - >Verschil**
- In mei 2023 geregistreerd voor volwassen LOPD patiënten: **cipaglucosidase alfa (Pombiliti®)** i.c.m. enzymstabilisator **miglustat (Optolda®)**. **ZIN is reeds begonnen met de beoordeling en verwacht hierover vrij snel te kunnen adviseren.**

Registratiehouder Sanofi claimt een gelijke waarde van AVA t.o.v. ALG

18 april 2024 4

Gunstige effecten enzymvervangende therapie

Bij IOPD patiënten

- Verlengt de overleving
- Verbeterd het cardiorespiratoir & motorisch functioneren

Bij LOPD patiënten

- Verbeterd/stabiliseert de skeletspiersterkte en functioneren van de spieren
- Verbeterd/stabiliseert het respiratoir functioneren
- Verbeterd de overleving
- Kanttekening: grootte van effect verschilt per persoon

18 april 2024 5

Ongunstige effecten

- **Zeer vaak voorkomende bijwerkingen:** jeuk, huiduitslag, hoofdpijn, urticaria, vermoeidheid, misselijkheid en koude rillingen.
- Ook overgevoeligheidsreacties (43,5%), anafylaxie (1,4%) en infusiegerelateerde reacties (26,1%).
- Het aantal ernstige ongunstige interventiegerelateerde effecten en het aantal stakers vanwege interventiegerelateerde ongunstige effecten is zeer laag

18 april 2024 6

De ICER's uit sheet 10 zijn naar beneden bijgesteld, omdat in de gegeven presentatie het verkeerde bedrag per QALY was overgenomen uit de daarvoor gebruikte publicaties.

Stand van wetenschap en praktijk

- Claim Sanofi: Gelijke waarde
- Uit de resultaten blijkt dat **AVA (Nexviadyme®)** een **gelijke waarde** heeft vergeleken met **ALG (Myozyme®)**.
- Daarmee voldoet **ALG** aan de stand van de wetenschap en praktijk.
- Deze conclusie komt overeen met de visie van de EMA die concludeerde dat er onvoldoende bewijs voor significante verschillen tussen **AVA** en **ALG** met betrekking tot de veiligheid en/of effectiviteit.

LOPD (n=100) uit COMET trial, 49wk	Baseline	ALG tov AVA	MCID	Toets non-inferioriteit (Gelijke waarde)
Longfunctie (FVC%)	62%	+2,43% (-0,13% tot +4,99%)	2%	Niet statistisch superior, tenminste gelijkwaardig
Historische functie (6MWT)	~400m (138-630)	+30,1m (+1,33 tot +58,69m)	30m	Geen statistisch significant verschil, tenminste gelijkwaardig
Kwaliteit van leven	36 49	PCS: 0,77 (95% BI: -2,13 tot +3,67) NCS: 2,12 (95% BI: -1,46 tot +5,69)		Niet statistisch significant verschillend

18 april 2024 2

Volume en VERWACHTTE kosten (op basis van de vraagprijs) AVA (Nexviadyme®) (1)

3 ^e jaar na opname in verzekerde pakket	IOPD* (40 mg/kg)	LOPD* (20 mg/kg)	Totaal ziekte van Pompe
Totaal aantal patiënten die voor behandeling in aanmerking komt	18	58	76 (50% van totaal aantal patiënten in NL)
Kosten per patiënt per jaar	€ 804.417	€ 335.174	€ 397.521*
Macrokostenbeslag (uitgaven aan AVA)	€ 12 miljoen	€ 15 miljoen	€ 27 miljoen
Totale meerkosten (ten opzichte van huidige situatie)	€ 0	€ 0	€ 0

*IOPD patiënten wegen gemiddeld 45 kg en worden behandeld met een dosering van 40 mg/kg per dag, LOPD patiënten wegen gemiddeld 75 kg en worden behandeld met een dosering van 20 mg/kg per dag.
*Gewogen gemiddelde kosten per patiënt per jaar.

18 april 2024 8

Volume en kosten AVA (Naxviadyme®) (2)

- Er worden 12 patiënten behandeld in studieverband. Wanneer deze patiënten meegenomen worden valt het macrokostenbeslag **€ 4,8 miljoen** hoger uit.
- Patent van ALG (Myozyme®) is reeds verlopen (2021). Wanneer er een biosimilaar beschikbaar zou komen, zouden de meerkosten van AVA ongeveer tussen de **€ 5 miljoen en € 22 miljoen** liggen in het derde jaar na opname (pv €0).
- Gemiddelde vergoeding per patiënt op de GIP databank in 2022 was **€ 411.354**, hoger dan waarmee in de BIA is gerekend (**€ 397.521 = gewogen gemiddelde**).

Uitgaven ALG (Myozyme®)

- Uitgaven 2022 aan ALG (Myozyme®): €59,7 miljoen (exclusief evt. prijskorting)
- Uitgaven 2012-2023 aan ALG: €633 miljoen (exclusief evt. prijskorting)
- Monitor Weesgeneesmiddelen in de praktijk 2021: ALG duurste weesgeneesmiddel in Nederland

18 april 2024 9

Kosteneffectiviteit

- Gezien gelijke waarde geen KE-analyse AVA (Nexviadyme®) vs. ALG (Myozyme®)
- De kosteneffectiviteit (KE) van de vergelijkende behandeling (ALG) is in het verleden beoordeeld door het Zorginstituut (2012):
 - Bij IOPD was de ICER € 700.000 per QALY t.o.v. best ondersteunende zorg
 - Bij LOPD was de ICER € 15 miljoen per QALY t.o.v. best ondersteunende zorg
- Nederlandse KE-studies over KE van ALG uit 2014¹ en 2017² rapporteren:
 - Bij IOPD een ICER van € 1 miljoen per QALY t.o.v. best ondersteunende zorg
 - Bij LOPD een ICER van € 3,2 miljoen per QALY t.o.v. best ondersteunende zorg
- AVA is gelijkwaardig aan ALG → AVA is daarom hoogstwaarschijnlijk ook niet kosteneffectief t.o.v. best ondersteunende zorg bij alle referentiewaarden

1. Bredius, R. A., van den Berg, A. T., van der Pijl, A. M., van der Wal, A. C., van der Wal, A. C., van der Wal, A. C., et al. (2014). Cost-effectiveness of enzyme replacement therapy with miglustat in Fabry disease. *Orphanet journal of rare diseases*, 9, 170. <https://doi.org/10.1186/s13023-014-0170-0>
2. Bredius, R. A., van den Berg, A. T., van der Pijl, A. M., van der Wal, A. C., van der Wal, A. C., van der Wal, A. C., et al. (2017). Cost-effectiveness of enzyme replacement therapy with miglustat in Fabry disease. *Orphanet journal of rare diseases*, 12(1), 170. <https://doi.org/10.1186/s13023-017-0170-0>

18 april 2024 10

Conclusie wetenschappelijke weging

- Uit de resultaten blijkt dat **AVA** aan gelijke waarde heeft vergeleken met **ALG**. Daarmee voldoet **AVA** aan de stand van de wetenschap en praktijk.
- Door gelijke prijsstelling van **AVA** en **ALG** is er een kostenneutrale budgetimpact
- Zeer ongunstige kosteneffectiviteit van **AVA** en **ALG**

18 april 2024 11

Overige overwegingen maatschappelijke weging

- Uitgaven 2022 aan ALG (Myozyme®): €59,7 miljoen (exclusief evt. prijskorting)
- Uitgaven 2012-2023 aan ALG: €633 miljoen (exclusief evt. prijskorting)
- Sinds eind 2023 is er geen financieel arrangement meer voor ALG en wordt de lijstprijs betaald (lijstprijs anno 2024 is 23% lager dan in 2012).
- De wereldwijde omzet van ALG was in 2022 €985 miljoen en in 2023 €783 miljoen per jaar.
- Mogelijke vorm van evergreening: intrede biosimilars wordt mogelijk verstoord
- De omzet van AVA (Nexviadyme®) in Europa was in 2023 reeds €100 miljoen. De wereldwijde omzet van AVA was €196 miljoen in 2022 en is meer dan verdubbeld naar €425 miljoen in 2023.
- De registratiehouder zegt ongeveer 1 miljard te hebben geïnvesteerd in productiefaciliteiten voor ALG en AVA.
- Het Zorginstituut is reeds begonnen met de beoordeling van derde enzymvervangende therapie van fabrikant Amicus: cipaglucosidase alfa (Pombiliti®) i.c.m. miglustat (Opfolda®) → mogelijke concurrentie.

18 april 2024 12

De ICER's uit sheet 10 zijn naar beneden bijgesteld, omdat in de gegeven presentatie het verkeerde bedrag per QALY was overgenomen uit de daarvoor gebruikte publicaties.

ACP tabel

- AVA is reeds vergoed in: Canada, Engeland, Schotland, België, Duitsland, Oostenrijk, Denemarken, Finland, Zweden, Hongarije, Luxemburg, Polen, Tsjechië, de Verenigde Staten, Japan en Brazilië.
- De registratiehouder heeft geen onderbouwing van de prijs aangeleverd.
- In bijna alle Landen wordt AVA aangeboden aan dezelfde prijs als ALG. Echter:
 - Canada: alleen vergoed wanneer de prijs van AVA lager is dan ALG.
 - Engeland & Schotland: financieel arrangement.

18 april 2024

13

De ICER's uit sheet 10 zijn naar beneden bijgesteld, omdat in de gegeven presentatie het verkeerde bedrag per QALY was overgenomen uit de daarvoor gebruikte publicaties.

Zorginstituut Nederland
t.a.v. Advies Commissie Pakket (ACP)
Postbus 320
1110 AH Diemen

Doorkiesnummer 010-704 0 704

Faxnummer 010-703 72 78

Intern postadres Sb-1770

E-mail: a.vanderploeg@erasmusmc.nl

Ons kenmerk

Datum: 8 maart 2024

Betreft: Inspraak behandelaars m.b.t. advies aangaande Avalglucosidase alfa (Nexviadyme®)
Rotterdam, 8 maart 2024

Postadres

Postbus 2060
3000 CB Rotterdam

Bezoekadres

Wytemaweg 80
3015 CN Rotterdam

Parkeergarage

Westzeedijk 361
3015 CN Rotterdam

**Centrum voor Lysosomale en
Metabole Ziekten**

Prof. Dr. A.T. van der Ploeg, hoofd

Kindergeneeskunde:

Dr. H.H. Huidekoper
Dr. E. Oussoren
Dr. J.M.P. van den Hout
Drs. D.Y. van Haaften

Interne geneeskunde:

Dr. J.G. Langendonk
Dr. M.A.E.M. Wagenmakers
Dr. N.C. Peltenburg
Dr. M. Wijnen

Neurologie:

Prof. Dr. P.A. van Doorn
Dr. N.A.M.E. van der Beek
Dr. E. Brusse

Research laboratorium:

Dr. W.W.M. Pijnappel
Dr. G.J. Schaaf
Dr. A.J. Bergsma

Diagnostisch laboratorium:

Dr. G.J.G. Ruijter
Dr. E. Jacobs

metaboolcentrum@erasmusmc.nl

Geachte leden van de Adviescommissie Pakket,

Wij zijn hier namens de behandelaars en onderzoekers van het Pompe expertisecentrum van het Erasmus MC Universitair Medisch Centrum te Rotterdam. Mijn naam is Nadine van der Beek, neuroloog, en ik ben hier samen met prof.dr. Ans van der Ploeg, kinderarts metabole ziekten en hoofd van ons Centrum.

We hebben als internationaal expertisecentrum een missie om de toekomst van onze patiënten met deze ernstige, progressieve, erfelijke spierziekte voortdurend te verbeteren. En vandaag zijn we hier omdat er voor het eerst een nieuwe-generatie therapie voor de ziekte van Pompe ter beoordeling ligt. Ons doel is vandaag tweeledig, namelijk: 1] wij willen deze gelegenheid ter harte nemen om nog een keer te duiden wat er in de afgelopen jaren al allemaal is bereikt voor onze patiënten, en 2] wij willen een vooruitblik geven naar de toekomst.

Vijfentwintig jaar geleden, in 1999, waren wij het eerste centrum ter wereld dat enzymvervangings therapie (ERT) toepaste. Dat was een zeer bijzonder moment. Op dat moment was de ziekte van Pompe namelijk een "dodelijk progressieve" spierziekte voor alle patiënten. Baby's met de meest ernstige vorm van de ziekte van Pompe, de klassiek infantiele vorm (IOPD), overleden zonder uitzondering voor de leeftijd van 1 jaar en verloren zo snel alle spierkracht dat zij niet leerden omrollen of zitten. Het was dan ook een uniek moment toen in onze eerste pilot trial één van de vier kinderen leerde lopen. Geleidelijk aan hebben steeds meer kinderen deze mijlpaal bereikt. Nu, met het huidige Nederlandse beleid, leren bijna alle baby's waarbij we besluiten enzymtherapie te starten, lopen. De oudste kinderen zijn inmiddels zelfs volwassen geworden.

Voor de meeste peuters, kleuters, pubers en volwassenen met de late-onset vorm van de ziekte van Pompe (LOPD) was het vooruitzicht dat zij door progressieve spierzwakte vrijwel zeker in een rolstoel zouden belanden en afhankelijk zouden worden van ademhalingsondersteuning. Sinds de introductie van enzymtherapie is dit beeld in ieder geval veranderd. We hebben tot nu toe bijvoorbeeld niet meer gezien dat kinderen met ernstige fenotypes, bij wie je dat wel zou verwachten, afhankelijk zijn geworden van deze hulpmiddelen. Sommige van deze kinderen hebben inmiddels zélf kinderen gekregen. Ook hebben we gezien dat de levensverwachting van patiënten die op volwassen leeftijd werden gediagnostiseerd is gestegen van gemiddeld 55 jaar naar 65 jaar. Opvallend genoeg overlijden veel patiënten nu niet meer aan de gevolgen van de ziekte van Pompe, maar aan andere aandoeningen. Hiermee vervaagt geleidelijk het verschil tussen de verschillende vormen van de ziekte van Pompe, en daarmee ook de verschillen in uiting van de ziekte bij kinderen en volwassenen.

Natuurlijk is het niet allemaal rozengeur en maneschijn en is er ruimte voor verbetering. We zien namelijk dat niet alle patiënten even goed reageren op de behandeling en bij sommige patiënten met deze ernstig progressieve spierziekte neemt het positieve effect van de behandeling na verloop van jaren weer langzaam af. Het is dus van groot belang dat er een nieuwe-generatie therapieën beschikbaar komt voor onze patiënten. Innovatie is namelijk de enige manier waarop we de toekomst van onze patiënten – nog –verder kunnen verbeteren. Deze nieuwe behandelingen worden reeds toegepast in de landen om ons heen.

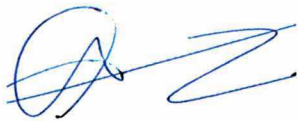
Wij zijn ons terdege bewust van de kostenimpact van deze weesgeneesmiddelen en onze maatschappelijke verantwoordelijkheid hierin. Door 'gepast gebruik' doen wij er als Centrum alles aan om deze kosten te beperken. Dit doen wij door enerzijds een zorgvuldige afweging te maken welke patiënten in aanmerking komen voor start van behandeling met enzymtherapie, en anderzijds te kijken of de therapie bij patiënten die reeds behandeld worden nog wel voldoende effectief is. Om deze zorgvuldige afweging mogelijk te maken hebben wij reeds sinds 2006 hiervoor een indicatiecommissie ingesteld, geleid door een externe onafhankelijke voorzitter. Hierin worden 5 keer per jaar patiënten met deze ziekte besproken en wordt op grond van de geldende (Europese) start- en stop criteria een besluit genomen of behandeling met enzymtherapie geïndiceerd is, of voortgezet moet worden. Deze criteria worden periodiek tegen het licht gehouden en waar nodig in samenwerking met onze Europese collega's aangescherpt. Dezelfde kritische benadering zullen wij ook hanteren voor nieuwe behandelingen.

Als wereldexpertisecentrum onderzoeken wij al jaren op basis van 'real-world' data de effectiviteit van Myozyme®, de huidige enzymvervangende therapie. Alle patiënten in ons centrum worden geïncorporeerd in een gestandaardiseerd follow-up programma. Wij zien hier dan ook voor ons een belangrijke taak om onze kennis en expertise in te zetten om verder uit te zoeken hoe we nieuwe therapieën zo effectief en doelmatig mogelijk kunnen inzetten voor een optimale behandeling van onze patiënten.

Met vriendelijke groet,



Dr. N.A.M.E. van der Beek
Neuroloog
Centrum voor Lysosomale en Metabole Ziekten
Erasmus MC



Prof. Dr. A.T. van der Ploeg
Kinderarts metabole ziekten
Centrum voor Lysosomale en Metabole Ziekten
Erasmus MC

Geachte leden van de ACP,

Graag ga ik aan het begin van deze inspraak eerst in op de visie vanuit Sanofi op de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen. Vervolgens zal ik specifiek ingaan op een aantal aspecten rondom de behandeling van de ziekte van Pompe met avalglucosidase alfa, oftewel Nexviadyme, waarover de ACP zich in deze vergadering zal beraden. Ik zal afsluiten met toe te lichten welke rol wij voor onszelf zien in het verdere verloop van de procedure om Nexviadyme vanuit het basispakket zo spoedig mogelijk beschikbaar te maken voor patiënten met de ziekte van Pompe.

Wij kennen vanuit Sanofi een lange historie als het gaat om de ontwikkeling van behandelingen voor zeldzame ziekten. We vinden het belangrijk dat patiënten met zeldzame ziekten een gelijkwaardige toegang hebben tot een behandeling als patiënten met vaker voorkomende ziekten en dat zulke behandelingen ook in de toekomst ontwikkeld blijven worden. Wij zijn er trots op dat wij hieraan kunnen bijdragen door te investeren in de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen.

Patiënten met de ziekte van Pompe worden momenteel behandeld met Myozyme wat heeft geleid tot grote gezondheidswinst door klinisch relevante afremming van de ziekteprogressie en verbeterde overleving. In de beoordelingsrapporten concludeert het Zorginstituut dat Nexviadyme een gelijke therapeutische waarde heeft ten opzichte van Myozyme en dat de introductie van Nexviadyme budgetneutraal is. De beoordeling van gelijke therapeutische waarde is een valide basis voor het voldoen aan Stand Wetenschap en Praktijk en een plaats van Nexviadyme in het verzekerde pakket. Het feit dat Nexviadyme op individuele basis betere uitkomsten geeft – ik zal dat zo verder toelichten – illustreert het belang van deze additionele behandelingsoptie om de zorg voor Pompe patiënten verder te verbeteren. Daarbij is er in de loop van de tijd door het zorginstituut en het expertisecentrum gewerkt aan een weesgeneesmiddelarrangement voor Myozyme waarin start- en stop-criteria worden beschreven die bijdragen aan gepast gebruik waardoor alleen de patiënten worden behandeld die daadwerkelijk baat hebben bij de behandeling.

Bij gerandomiseerde klinische studies met weesgeneesmiddelen versus een standaardbehandeling is het bijzonder lastig om aantallen patiënten te includeren op basis waarvan met voldoende betrouwbaarheid meerwaarde kan worden aangetoond. Mede hierdoor kan binnen het beoordelingskader van het Zorginstituut alleen gesproken worden over gelijkwaarde van Nexviadyme ten opzichte van Myozyme. Op basis van de studiedata zoals die in het Nexviadyme vergoedingsdossier staan beschreven en sindsdien verschillende gepubliceerde additionele analyses, hebben wij echter inzichtelijk kunnen maken dat de meeste patiënten meer profijt hebben van een behandeling met Nexviadyme in vergelijking met Myozyme. Dit blijkt uit de verbeteringen in de voor patiënten belangrijke

klinische uitkomstmaten als longfunctie en spierkracht, die in een, na de WAR beoordeling gepubliceerde studie van het ErasmusMC, zijn aangemerkt als klinisch relevant. Illustratief voor de waarde van Nexviadyme is ook het feit dat, op basis van verzoeken vanuit het expertisecentrum inmiddels twaalf patiënten, die anders met Myozyme behandeld zouden worden, op kosten van Sanofi met Nexviadyme behandeld worden.

Van belang is ook om te benadrukken dat sinds 2016 de mogelijkheid bestaat voor introductie van andere nieuwe behandelingen voor de ziekte van Pompe of biosimilars van Myozyme. Er is een recent rapport aan de vergaderstukken toegevoegd met als onderwerp 'evergreening', echter, Nexviadyme is een innovatieve aanvulling op de bestaande behandeling voor de ziekte van Pompe met klinisch significante meerwaarde voor een deel van de patiënten.

Wij hebben bij recente introducties van nieuwe geneesmiddelen laten zien in samenwerking met verschillende partijen tot goede afspraken omtrent gepast gebruik en beheersing van de budgetimpact te komen. Specifiek met betrekking tot de ziekte van Pompe heeft de minister van VWS recent besloten het financieel arrangement voor Myozyme, gezien prijsverlagingen over de afgelopen jaren, niet te verlengen en laat de minister verdere ontwikkelingen aan veldpartijen. Wij zijn daarin ook pro-actief geweest met betrekking tot benaderen van verschillende partijen en hebben begin april een gesprek met Zorgverzekeraars Nederland. Hieruit spreekt wat ons betreft vertrouwen dat wij met de veldpartijen ook rondom de vergoeding en gepast gebruik van Myozyme tot blijvende afspraken kunnen komen. Dit biedt ook de mogelijkheid om hierin afspraken over Nexviadyme te betrekken met als doel beide producten onder gelijke voorwaarden beschikbaar te maken. Dit is wat ons betreft ook de meest effectieve wijze om tot goede afspraken voor beide producten te komen en dient het belang van de patiënten en betrokken partijen.

Afsluitend zien wij er naar uit om, in samenwerking met betrokken partijen, toegang tot Nexviadyme voor patiënten met de ziekte van Pompe in Nederland mogelijk te maken, waarbij behandelend artsen de beste behandeling voor hun patiënten kunnen kiezen zonder financiële consequenties. Wij zijn bereid om tot verdere afspraken te komen met als doel gepast gebruik en een beheersing van de budgetimpact. Wij zijn uiteraard bereid verdere vragen van uw kant te beantwoorden en wensen de commissie veel wijsheid toe bij het tot stand komen van haar advies, waarbij wij hopen dat dit de basis zal zijn voor een toekomstbestendige toegang tot Nexviadyme als additionele behandeling voor patiënten met de ziekte van Pompe.

Adviescommissie Pakket – Zorginstituut Nederland

Onderwerp Schriftelijke reactie ZN mbt avalglucosidase alfa (Nexviadyme®)
Datum 28 februari 2024
Uw kenmerk nvt
Ons kenmerk [Kenmerk]
Contactpersoon Maarten Loof

Sparrenheuvel 16
Postbus 520
3700 AM Zeist
030 698 8911
info@zn.nl
www.zn.nl

Beste leden van de ACP

Al zo'n 15 jaar vergoeden zorgverzekeraars de kosten van het geneesmiddel alglucosidase alfa (Myozyme®) van de fabrikant Sanofi. Voor patiënten die leiden aan de ziekte van Pompe is het heel belangrijk dat er een behandeling beschikbaar is en blijft. Er is immers geen alternatief.

Tot nu toe hebben zorgverzekeraars bijna 1 miljard uitgegeven aan dit geneesmiddel. Hoewel het patent van dit middel sinds 2021 is geëxpireerd, is de openbare prijs in die periode niet significant verlaagd. De maatschappelijke kosten zijn nog steeds erg hoog, zo'n 60 mln per jaar. Op basis van de kosteneffectiviteitsanalyses kan worden geconcludeerd dat de prijs met zo'n 97% omlaag moet voor patiënten met de niet klassieke vorm van de ziekte van Pompe om Myozyme® kosteneffectief te laten zijn. Er was een financieel arrangement afgesproken door VWS en liep tot en met 31 december 2023. Op dit moment zit er een gelijkwaardig geneesmiddel in de sluis, namelijk avalglucosidase alfa (Nexviadyme®). Ook dit middel is van Sanofi. Op basis van het farmacotherapeutisch rapport van het Zorginstituut is Nexviadyme® gelijkwaardig aan Myozyme®. Ondanks dat Nexviadyme® in de sluis zit en er normaliter dan prijsonderhandelingen worden gevoerd door de BFAG, twijfelt ZN of er met de fabrikant een afspraak kan worden gemaakt over een maatschappelijk aanvaardbare prijs. Er is immers al een vergelijkbaar geneesmiddel (Myozyme®) op de markt waarvoor momenteel geen arrangement loopt. Mocht voor dit middel wel een arrangement worden afgesproken, dan zal de prijs van Nexviadyme® naar alle waarschijnlijk op hetzelfde niveau als Myozyme® komen te liggen. Daarnaast is er weinig onderlinge concurrentie te verwachten omdat deze twee geneesmiddelen van één fabrikant zijn. Voor ZN is deze situatie onwenselijk.

Dit betekent echter niet dat er geen mogelijkheden zijn om de maatschappelijke uitgaven van deze geneesmiddelen te verlagen en de beschikbaarheid voor patiënten te borgen. Over een aantal maanden wordt er namelijk nog een nieuw gelijkwaardig product verwacht voor de behandeling van de ziekte van Pompe, dit geneesmiddel is cipaglusosidase alfa (Pombiliti®). Ook dit geneesmiddel kan volgens de laatste

informatie worden beschouwd als een gelijkwaardig alternatief van Myozyme® én Nexviadyme®. Dit geneesmiddel is van de fabrikant Amicus.

Wij vragen de ACP rekening te houden met deze informatie waarbij ZN adviseert om Nexviadyme® in de sluis te houden totdat Pombiliti® op de Nederlandse markt komt. Zodra de drie gelijkwaardige producten te weten Myozyme®, Nexviadyme® en Pombiliti® op de markt zijn, ontstaat er namelijk een nieuwe concurrentiepositie waarbij het mogelijk wordt voor marktpartijen zoals het Erasmus MC en de gezamenlijke zorgverzekeraars om hierover nieuwe prijsafspraken te maken. Mocht dit niet mogelijk zijn en wordt Nexviadyme® toegelaten tot het pakket, adviseren wij dringend om dan niet enkel de onderhandelingen te voeren over Nexviadyme®, maar hierin ook Myozyme® te betrekken in het kader van cyclisch pakketbeheer middels een herbeoordeling.

Met vriendelijk groet,



Maarten Loof
Programmamanager DGM

ACP –8 maart

Geachte toehoorders,

Vandaag spreekt u over de vergoeding van de enzymvervangings therapie Nexviadyme. Een medicijn dat levens kan veranderen. En ik kan het weten. Op het moment dat u deze video ziet, krijg ik namelijk mijn tweewekelijks infuus met Myozyme, ook een enzymvervangings therapie. Dat is ook de reden dat ik helaas niet live bij deze vergadering aanwezig kan zijn. Afgezien van de infusen, kan ik dankzij dit medicijn alles doen en laten wat ik wil. Als ik het niet vertel, zou zelfs niemand weten dat ik een zeldzame spierziekte heb. Daar geniet ik volop van en dat gun ik iedereen met de ziekte van Pompe.

Mijn naam is Nynke en ik ben 22 jaar oud. Ik zit op kamers in Arnhem en studeer daar Tuin- en Landschapsinrichting. Ik heb het daar erg naar mijn zin. Ik vind de studie zo leuk dat ik het afgelopen jaar in het bestuur van de studievereniging zat, waar ik de rol als penningmeester vervulde. Ik organiseerde daarvoor veel activiteiten voor onze studenten. Daarnaast dans ik al van jongs af aan. 14 jaar lang heb ik op ballet gezeten en ook op spitzen mogen dansen. Nu ben ik andere dansstijlen aan het uitproberen. Ook in de vakantie ben ik graag actief, door mooie wandelingen te maken in de bergen. Kortom: ik heb een doodnormaal studentleven.

En dit kan allemaal dankzij enzymvervangings therapie. Hoe anders had mijn leven eruit gezien als ik dat niet kreeg?

Toen ik 8 jaar was, kreeg ik de diagnose ziekte van Pompe. Tijdens de controle van de schoolarts in groep 2 bleek dat mijn gewichtscurve niet goed mee kwam met mijn lengte. Om de juiste diagnose te kunnen stellen zijn veel onderzoeken nodig geweest in verschillende ziekenhuizen. Niemand zat in het begin aan een spierziekte te denken. Ik was een vrolijk en beweeglijk kind. De diagnose was vooral voor mijn ouders schokkend. Als achtjarig kind zegt zo'n diagnose je niks. Het wordt pas duidelijk als je elke 2 weken infuus krijgt. Toch zie ik het als een geluk bij een ongeluk. Ja, ik heb een zeldzame spierziekte. Maar ik had het geluk dat er een medicijn was en dat ook werd vergoed.

In 2012 was het even heel spannend. Mijn medicijn zou uit het pakket worden gehaald. Men dacht dat het mogelijk alleen zou werken bij de infantiele variant. Ik zou er met mijn late-onset variant niet meer voor in aanmerking komen. Als tienjarig meisje kwam ik toen ook hier, bij de ACP. Het medicijn werkte voor mij namelijk wel! Gelukkig bleef Myozyme uiteindelijk beschikbaar. Ik reageer er erg goed op en heb ook geen last van bijwerkingen.

Helaas is dat niet voor iedereen het geval. Ik weet dat een andere patiënt, met wie ik infuus kreeg in het ziekenhuis toen ik acht jaar oud was, er minder goed voorstaat. Myozyme geeft bij haar bijwerkingen. Ze is nog jonger dan dat ik ben en ik gun het haar zo ontzettend dat ze minder bijwerkingen zou hebben. Nexviadyme is volgens de wetenschap nét zo effectief als Myozyme. Geef mensen als zij de kans dat middel te proberen en het medicijn te kiezen waar zij als individuen het beste op reageren. Geef hen de kans die ik ook heb gekregen: om net als ik volop te genieten van het leven.