

Vergaderjaar 2018–2019

**29 477**

**Geneesmiddelenbeleid**

**Nr. 561**

## **BRIEF VAN DE MINISTER VOOR MEDISCHE ZORG**

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 11 maart 2019

Met deze brief informeer ik u over de behandelingen met geneesmiddelen die op basis van de Horizonscan Geneesmiddelen van het Zorginstituut Nederland aangemerkt zijn als kandidaat voor de pakketsluis. Het gaat in deze brief om behandelingen met geneesmiddelen waarvan de registraties voor markttoelating verwacht worden in het derde en vierde kwartaal van 2019. Daarnaast zijn voor het eerste en tweede kwartaal van 2019, waarover ik u op 4 oktober 2018 heb geïnformeerd (Kamerstuk 29 477, nr. 521) nog vier aanvullende sluis kandidaten geïdentificeerd. Tevens informeer ik u over de stand van zaken van eerder aangekondigde sluis kandidaten.

### *Inzet van de pakketsluis*

Sinds 1 juli 2018 zijn de criteria voor de inzet van de sluis wettelijk verankerd door een wijziging van het Besluit zorgverzekering. Alleen geneesmiddelen met hoge prijs of groot financieel risico worden dan in de sluis geplaatst. Een geneesmiddel komt in aanmerking voor de pakketsluis indien:

- met de behandeling van één nieuwe indicatie of meerdere nieuwe indicaties het verwachte macrokostenbeslag € 40 miljoen of meer per jaar bedraagt. In dit geval worden alle nieuwe indicaties in de sluis geplaatst;
- de grens van € 40 miljoen niet gehaald wordt maar de kosten van een nieuwe behandeling met een geneesmiddel per patiënt per jaar € 50.000 of meer bedragen en het verwachte macrokostenbeslag van die nieuwe behandeling € 10 miljoen of meer per jaar bedraagt. In dit geval wordt alleen de desbetreffende indicatie(s) in de sluis geplaatst.

### *Sluis kandidaten tweede helft 2019*

Op basis van de meest recente publicatie van de Horizonscan geneesmiddelen (13 december 2018) van het Zorginstituut Nederland en na consultatie van beroepsgroepen verwacht ik in de periode tot en met

december 2019 de registratie van acht geneesmiddelen die in aanmerking kunnen komen voor plaatsing in de sluis (tabel 1). In bijlage 1 is per geneesmiddel een korte toelichting gegeven.

**Tabel 1. Sluiskandidaten derde en vierde kwartaal 2019 (bron Horizonscan Zorginstituut)**

Middel	Verwachte markttoelating	Indicatie (uitbreiding)
Autologous CD34+ cell enriched population that contains hematopoietic stem cells transduced with lentiglobin bb305 lentiviral vector encoding the beta-a-t87q-globin gene <sup>1</sup> (gentherapie)	Juni 2019	Erfelijke bloedziekte waarbij geen of te weinig hemoglobine wordt aangemaakt (beta-thalassemie)
Ravulizumab <sup>1</sup>	Juni 2019	Bloedziekte waarbij rode bloedcellen te snel worden afgebroken (PNH – paroxysmale nachtelijke hemoglobinurie)
Olaparib <sup>1</sup>	1. Maart 2019 2. Juni 2019	1. Borstkanker 2. Onderhoudsbehandeling voor baarmoederkanker
Edaravone	Juli 2019	Spierziekte waarbij de spieren steeds zwakker worden (ALS – amyotrofische laterale sclerose)
Larotrectinib	Juli 2019	Tumoren met een TRK-mutatie
Onasemnogene abeparvovec (gentherapie)	Augustus 2019	Erfelijke spierziekte waarbij de spieren steeds zwakker worden (SMA – spinale musculaire atrofie)
Avelumab	November 2019	Nierkanker
Polatuzumab vedotin	November 2019	Lymfeklierkanker

<sup>1</sup> De markttoelating van deze middelen zal naar verwachting in de eerste helft van 2019 plaatsvinden. Deze zijn niet opgemerkt tijdens de selectie van de sluiskandidaten voor de eerste helft van 2019 omdat ze toen nog niet op de gepubliceerde Horizonscan Geneesmiddelen stonden of in het geval van olaparib nog geen duidelijk beeld was van het financiële risico.

Voor deze acht geneesmiddelen geldt dat zij op basis van de nu beschikbare informatie in aanmerking komen voor een sluisprocedure. De definitieve beslissing over het in de sluis plaatsen van deze geneesmiddelen neem ik zodra de Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) van het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) een positieve opinie heeft uitgebracht. Dat is doorgaans één á twee maanden voordat de Europese Commissie een handelsvergunning afgeeft («geregistreerd»). Als het middel in de sluis wordt geplaatst volgt hierna de beoordelingsfase bij het Zorginstituut.

## Terugblik

Op 4 oktober 2018 heb ik u geïnformeerd over één nieuwe sluis kandidaat voor 2018 en zes sluis kandidaten voor 2019 (Kamerstuk 29 477, nr. 521). Tabel 2 geeft een overzicht van de status van deze zeven middelen.

**Tabel 2. Status aangekondigde sluis kandidaten**

Middel	Indicatie (uitbreiding)	Status sluis	Overige informatie
Emicizumab (Hemlibra)	Profylaxe van bloedingen bij patiënten met hemofilie A	Verwacht in maart 2019	De CHMP heeft een positieve uitspraak gedaan over de indicatie uitbreiding profylaxe van bloedingen bij patiënten met hemofilie A.
Enzalutamide (Xtandi)	Prostaat kanker	Afgevallen als sluis kandidaat	Het patiëntenaantal is omlaag bijgesteld waardoor het middel niet meer voldoet aan de sluis criteria.
Apalutamide (Erleada)	Prostaat kanker	Afgevallen als sluis kandidaat	Het patiëntenaantal is omlaag bijgesteld waardoor het middel niet meer voldoet aan de sluis criteria.
ATIR101	Aanvullende behandeling bij stamceltransplantaties bij patiënten met bloedkanker	Verwacht in juni 2019	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan.
Lenalidomide (Revlimid)	Bloedkanker	Verwacht in augustus 2019	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan over de indicatie uitbreiding bloedkanker.
Cemiplimab (Libtayo)	Huidkanker	Verwacht in mei 2019	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan over de indicatie huidkanker.
Pomalidomide (Imnovid)	Bloedkanker	Verwacht in april 2019	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan over de indicatie uitbreiding bloedkanker.

Ik zal u uiterlijk dit najaar informeren over de sluis kandidaten die naar verwachting in het eerste en tweede kwartaal van 2020 geregistreerd worden. Ik zal dan ook weer een status overzicht geven van de al eerder aangekondigde sluis kandidaten.

De Minister voor Medische Zorg,  
B.J. Bruins

**Korte toelichting sluis kandidaten.**

- Autologous CD34+ cell enriched population that contains hematopoietic stem cells transduced with lentiglobin bb305 lentiviral vector encoding the beta-a-t87q-globin gene.  
Deze gentherapie zal op de markt komen als eenmalige behandeling voor patiënten met een erfelijke ziekte van het bloed (beta-thalassemie). Patiënten met een ernstige vorm worden behandeld met bloedtransfusies. Er is nog geen Nederlandse prijs bekend. In Amerika wordt een prijs van maximaal \$ 2,1 miljoen genoemd. Elk jaar worden in Nederland ongeveer drie kinderen geboren met de ernstigste vorm van deze ziekte. Daarnaast is er een groep bestaande patiënten die in aanmerking komt voor behandeling.
- Ravulizumab  
Ravulizumab zal op de markt komen voor twee verschillende bloedziekten waarbij rode bloedcellen te snel worden afgebroken; eerst voor PNH (paroxysmale nachtelijke hemoglobinurie) en daarna voor aHUS (atypisch hemolytisch uremisch syndroom). De huidige behandeling kost tussen € 360.000 en € 400.000 per patiënt per jaar en hiervoor zijn prijsafspraken gemaakt. De verwachting is dat de prijs van ravulizumab ongeveer gelijk zal zijn. Er zijn ongeveer 10 nieuwe patiënten met PNH en 20 nieuwe patiënten met aHUS per jaar. Daarnaast zijn er ongeveer 70 bestaande patiënten met PNH en ongeveer 70 bestaande patiënten met aHUS.
- Olaparib  
Olaparib zal in 2019 op de markt komen voor gemetastaseerde borstkanker en onderhoudsbehandeling van baarmoederkanker na platinum bevattende chemotherapie. Er worden nog diverse indicatie uitbreidingen verwacht voor andere soorten kanker. Olaparib is nu al op de markt voor baarmoederkanker die is teruggekeerd na platinum bevattende chemotherapie. Het aantal patiënten met gemetastaseerde borstkanker dat in aanmerking komt voor olaparib is naar verwachting beperkt. Er zijn naar verwachting maximaal 400 patiënten per jaar met baarmoederkanker die voor onderhoudsbehandeling van twee jaar in aanmerking komen. Het aantal patiënten dat daadwerkelijk in aanmerking komt hangt ervan af of alleen patiënten met een specifieke mutatie in aanmerking komen, of dat olaparib bij alle patiënten ingezet gaat worden zoals het geval is bij de reeds bestaande indicatie. Een jaar behandeling met olaparib kost € 65.000.
- Edaravone  
Edaravone zal op de markt komen voor de behandeling van het vroege stadium van amyotrofische laterale sclerose (ALS), een spier- en zenuwziekte. In Nederland leven gemiddeld 1.500 mensen met ALS en jaarlijks komen er ongeveer 500 patiënten bij. Mogelijk komt 7% van de totale populatie in aanmerking voor deze behandeling. Dit betekent dat er elk jaar 35 nieuwe patiënten voor behandeling in aanmerking komen. Daarnaast is er nog een groep van 70 bestaande patiënten die in aanmerking komt voor deze behandeling. De geschatte prijs voor deze behandeling is € 120.000 per jaar, gebaseerd op de Amerikaanse prijs.
- Larotrectinib  
Larotrectinib zal als behandeling voor tumoren met een specifieke genetische mutatie (NTRK) op de markt komen. Larotrectinib zal ingezet worden nadat eerdere standaard therapie is geprobeerd of indien er geen andere adequate therapie beschikbaar is. Gebaseerd op het voorkomen van de genetische mutatie is de verwachting dat er

maximaal 100 patiënten in aanmerking zullen komen voor behandeling met larotrectinib. De geschatte prijs voor deze behandeling is € 350.000 per jaar, gebaseerd op de Amerikaanse prijs.

- Onasemnogene abeparvovec  
Onasemnogene abeparvovec zal op de markt komen als eenmalige behandeling voor patiënten met de erfelijke spierziekte, spinale musculaire atrofie type 1 (SMA type 1). Er zullen ongeveer tussen de 10 en 20 patiënten in aanmerking komen voor behandeling met deze gentherapie. De geschatte prijs voor deze eenmalige behandeling ligt tussen de € 3 miljoen en € 4 miljoen en is gebaseerd op de Amerikaanse prijs.
- Avelumab  
Avelumab is een immunotherapie (PD-L1 blokker) die in combinatie met axitinib op de markt komt voor de behandeling van gevorderde nierkanker. Avelumab is nu al beschikbaar als monotherapie voor de behandeling van gemetastaseerde merkelcelkanker. In 2020 wordt een indicatie uitbreiding verwacht voor maagkanker. Maximaal zullen er 644 patiënten met nierkanker en 823 patiënten met maagkanker voor behandeling met avelumab in aanmerking komen. Een jaar behandeling met avelumab kost ongeveer € 84.000.
- Polatuzumab vedotin  
Polatuzumab vedotin zal op de markt komen voor patiënten met een bepaald type lymfeklierkanker, diffuus grootcellig B-cellymfoom (DLBCL), die niet gereageerd hebben op eerdere behandeling en niet in aanmerking komen voor een beenmergtransplantatie. Maximaal zullen er 250 patiënten in aanmerking komen voor behandeling met polatuzumab vedotin. De prijs is nog onbekend, maar zal naar verwachting meer dan € 50.000 per behandeling zijn, gezien de prijzen van soortgelijke middelen.