

Verslag Paneldiscussie bij de TWEDE PATIENTENINFORMATIE MIDDAG op 30 juni 2021. o.l.v. Mariette Driessens, (VSOP) m.m.v. Lonneke Timmers, (Zorginstituut), Floris Logman (Menzis), Hanka Dekker (Patiëntenvereniging Volwassenen, Kinderen en Stofwisselingsziekten) en Gerard Wagemaker (NVCCT)

<https://www.nvgct.nl/patienteninformatiedag-gentherapie/>

Wat is er nodig om gentherapie bij de patiënt te krijgen?

Als eerste spreekt Lonneke Timmers van het Zorginstituut (ZIN) over de vergoeding van ATMPs (geavanceerde therapieën) met een handelsvergunning van de EMA uit het verzekerde pakket. In het afgelopen jaar heeft het ZIN ervaring opgedaan met producten Luxturna, Zolgensma en Zynteglo, allen behandelingen die in de sluis zijn gekomen. De beoordeling van deze producten op effectiviteit, kosteneffectiviteit is gedaan in BeneluxA verband.

Over het algemeen heeft het ZIN tot een positief advies kunnen komen over de therapeutische waarde van deze producten, maar er blijven nog een aantal onzekerheden wat betreft lange termijneffecten. Ook de prijs van de producten is hoog. Maar misschien is dat voor een eenmalige behandeling wel op te brengen als het product maar lang genoeg werkt. Samen met het prijsbureau van VWS richt ZIN nu prijsarrangementen in met gespreide betaling over een aantal jaren, waar bijvoorbeeld alleen betaald wordt als het product nog werkt. Bij deze zogenoemde Pay4Performance afspraken komen inhoud en prijs samen. Nu leren we van het toepasen van deze afspraken.

Floris Logman, adviserend apotheker bij Menzis, spreekt over de voorbereidingen die de zorgverzekeraars hebben getroffen voor gentherapie behandelingen die de decentrale route voor vergoeding zullen volgen. Als een product de financiële grens voor de sluis, het kostenbeslag van 10 miljoen euro, niet haalt dan komt het niet in de sluis. De bekostiging van het product gaat via het ziekenhuisbudget, de intramurale farmacie, en is geregeld via een zogenoemde add on bij de DBC. De commissie beoordeling add on geneesmiddelen (cie BAG) van Zorgverzekeraars Nederland duidt de stand van de wetenschap en praktijk, en besluit bij positief oordeel tot vergoeding uit het basispakket.

Voor het duiden van de stand van de wetenschap maken de zorgverzekeraars gebruik van publieke informatie zoals bijvoorbeeld klinische rapportage van het Europese EUnetHTA project of van de UK pakketbeheerder NICE. Het is niet zo dat de fabrikant een dossier indient zoals bij beoordeling door het ZIN.

Ook de betaalbaarheid komt aan de orde. Het clean team geformeerd vanuit de cie BAG, onderhandelt met farmaceuten, net zoals het bureau financieel arrangementen van het ministerie van VWS dat doet. De zorgverzekeraars maken afspraken met de beroepsgroep net zoals dat geldt voor een weesgeneesmiddelarrangement (beschreven in het pakketbeheer weesgeneesmiddelen van ZIN). Aan de voorschrijvers vraagt men om vast te leggen hoe men deze therapie wil inzetten, wat zijn de start criteria, wat is behandelingsucces en in welke ziekenhuizen de artsen het beschikbaar willen maken.

Een vraag uit het publiek gaat over de beoordeling vanuit maatschappelijk perspectief: Wordt er bijvoorbeeld ook gekeken naar het effect van een gentherapie op deelname aan het arbeidsproces? Ja in Nederland nemen we dit soort positieve effecten op andere sectoren dan de ziektekosten ook mee.

De fabrikant gebruikt allerlei Farmaco-economische modellen, met best-case en worst-case scenario's. Het exact voorspellen van de kosteneffectiviteit van gentherapie blijft moeilijk. Het gaat bij de vergoeding ook om voldoende vertrouwen in het effect en daarnaast de mogelijkheid om risico te spreiden zodat het risico niet alleen bij de maatschappij terecht komt.

Op de vraag of er extra instrumenten nodig zijn voor vergoeding wordt toch een register voor de opvolging genoemd.

Als extra aandachtspunt worden ook de bijkomende extra kosten voor de zorg genoemd die in de DBC opgenomen moeten worden. Een stamceltransplantatie is een intensief traject. Patiënten en hun naasten moeten soms dichtbij de kliniek kunnen verblijven. Hotel kosten komen hier ook bij. De Nederlandse Zorg Autoriteit houdt zich hiermee bezig. Het zou goed zien als dit ook eerder geregeld wordt in de toekomst.

Ook de risicovereniging moet aangepast worden voor deze nieuwe behandelingen.

De discussie spitst zich vervolgens toe op de vraag of ziekenhuizen niet dit soort behandelingen kunnen uitvoeren als Standard Medical treatment. Een hematopoietische stamceltransplantatie wordt ook door de ziekenhuizen uitgevoerd, dus in een niet commerciële setting. Diverse genterapieën zijn ontwikkeld met publiek geld en pas in een laat stadium van de ontwikkeling is er een farmaceut aan te pas gekomen. Kunnen we deze producten niet veel goedkoper in de academie ontwikkelen?

Ook wordt de vraag gesteld of we voor ieder product een aparte beoordeling gaan uitvoeren of dat dat toch beter per groep van producten gedaan kan worden. Dit gebeurt al voor lentivirale producten dat er 1 bepaalde vector gebruikt worden met insertie van diverse verschillende genen. Platform technologie wordt dit genoemd. Voor ultra-zeldzame ziekten heb je ook niet heel veel productie capaciteit nodig, het is iedere keer weer maatwerk. Dus zou de academie dit niet kunnen doen?

Binnen de huidige wet en regelgeving is een andere benadering nog niet mogelijk. Het is wel goed om een lange termijn visie te ontwikkelen voor de therapieën die steeds meer gepersonaliseerd worden toegepast. Dat je bijvoorbeeld gekwalificeerde centra voor platform technologie inricht die de producten maken op maat voor de patiënt als met CRISPR/CAS en hematopoietische stamceltransplantatie? Deze centra moeten dan ook aan hoge kwaliteitseisen voldoen.

Ook wordt er gesproken over hoeveel bewijs van effectiviteit er eigenlijk nodig is om een therapie toe te kunnen passen. Stel dat je bewezen hebt dat het werkt voor de ernstige vorm van een aandoening dan is ook wel logisch om te veronderstellen dat het ook werkt voor matige ernstige vormen of milde vorm. Waarom richten we het systeem niet zo in dat deze mensen ook behandeld kunnen worden en dat we hen gaan volgen om zo het bewijs te verzamelen? Het duurt nu te lang voordat patiënten behandeld kunnen worden.

Om dit te kunnen doen moeten de kosten wel omlaag want als de therapieën zo duur zijn zullen we hier niet aan kunnen beginnen. Hiervoor is een meer laagdrempelige toegang nodig.

Het huidige systeem van wel of niet vergoeden is inderdaad erg zwart wit. Of te rood/groen. Het is vaak ja of nee. We zijn nu met diverse partijen op zoek naar de oranje route. Bijvoorbeeld de regeling voor voorwaardelijke toelating (via VWS) is een voorbeeld van een oranje route. Ook de ronde tafel weesgeneesmiddelen bij het ZIN werkt hieraan.

Het is tijd om af te ronden. Op maandag 8 november 2021 is de derde patiënteninformatie middag. Dan spreken we over de moleculaire pleister, een genetische RNA therapie voor zeer zeldzame ziekten.

Meer informatie bij Mariette Driessens (m.driessens@vsop.nl)

