

29 477                    Geneesmiddelenbeleid

Nr. 650                    Brief van de minister voor Medische Zorg

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 25 maart 2020

Met deze brief informeer ik u over de behandelingen met geneesmiddelen die op basis van de Horizonscan Geneesmiddelen van het Zorginstituut Nederland (Zorginstituut) 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 2020. 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 een hoge prijs of groot financieel risico worden dan in de sluis geplaatst. Een geneesmiddel komt in aanmerking voor de pakketsluis indien:

- met de verstrekking van het geneesmiddel voor 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 kosten van verstrekking van het geneesmiddel voor de behandeling van een nieuwe indicatie per patiënt per jaar € 50.000 of meer bedragen en het verwachte macrokostenbeslag van die verstrekkingen € 10 miljoen of meer per jaar bedraagt. In dit geval wordt alleen de desbetreffende indicatie in de sluis geplaatst.

#### *Sluis kandidaten tweede helft 2020*

Op basis van de meest recente publicatie van de Horizonscan Geneesmiddelen (10 december 2019) van het Zorginstituut noem ik acht geneesmiddelen waarvan registratie mogelijk is in de periode tot en met december 2020 en 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 tweede helft 2020 (bron Horizonscan Zorginstituut)

Geneesmiddel	Registratie verwacht in	Nieuwe indicatie(s)
Luspatercept	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Juli 2020</li> <li>• Juli 2020</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Erfelijke bloedziekte waarbij geen of te weinig hemoglobine wordt aangemaakt (beta-thalassemie)</li> <li>• Beenmergziekte waarbij de productie van bloedcellen ernstig is verstoord (myelodysplastisch syndroom)</li> </ul>
OTL-200	Augustus 2020	Behandeling van een stofwisselingsziekte in de hersenen (metachromatische leukodystrofie)
Crizanlizumab	September 2020	Preventie van afsluiting van bloedvaten bij sikkelcelanemie
Valoctogene roxaparvovec	September 2020	Behandeling van ernstige hemofilie A
Olaparib	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Eerste helft 2020</li> <li>• Oktober 2020</li> <li>• Oktober 2020</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Onderhoudsbehandeling pancreaskanker</li> <li>• Vervolgbehandeling prostaatkanker</li> <li>• Onderhoudsbehandeling eierstokkanker</li> </ul>
KTE-X19	December 2020	Vervolgbehandeling van een vorm van lymfklierkanker (mantelcellymfoom)
Niraparib	Tweede helft 2020	Onderhoudsbehandeling eierstokkanker
Belantamab mafodotin	Tweede helft 2020	Behandeling van ziekte van Kahler (multiple myeloom)

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 een beoordeling door het Zorginstituut.

Het is mogelijk dat nieuwe informatie beschikbaar komt waardoor een geneesmiddel in de sluis wordt geplaatst dat niet vooraf als sluiskandidaat is aangemerkt of waardoor een sluiskandidaat toch niet in de sluis geplaatst wordt. Indien dit het geval is, informeer ik u daarover in het najaar van 2020 in de volgende kamerbrief over sluiskandidaten.

#### Terugblik

Op 11 oktober 2019 heb ik u geïnformeerd over vijf sluiskandidaten voor de eerste helft van 2020 (Kamerstuk 29 477, nr. 618). Tabel 2 geeft een overzicht van de status van deze vijf middelen en de status van vier sluiskandidaten waarover ik u in eerdere brieven heb geïnformeerd (Kamerstuk 29 477, nr. 561; Kamerstuk 29 477, nr. 521).

Tabel 2. Status aangekondigde sluis kandidaten

<b>Geneesmiddel</b>	<b>Indicatie(s)</b>	<b>In de sluis geplaatst</b>	<b>Overige informatie</b>
Onasemnogene abeparovoc (Zolgensma)	Erfelijke spierziekte waarbij de spieren steeds zwakker worden (SMA - spinale musculaire atrofie)	Nee, verwacht in het tweede kwartaal 2020	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan.
Avelumab (Bavencio)	Nierkanker	Ja	Geregistreerd. In beoordeling bij het Zorginstituut.
Polatuzumab vedotin (Polivy)	Lymfeklierkanker	Ja	Geregistreerd. Nog geen beoordelingsdossier aangeleverd bij het Zorginstituut.
ATIR101	Aanvullende behandeling bij stamceltransplantaties bij patiënten met bloedkanker	Afgevallen als sluis kandidaat	De leverancier heeft het registratiedossier teruggetrokken bij EMA.
Selinexor (XPOVIO)	Multiple myeloom (ziekte van Kahler)	Nee, verwacht in het eerste kwartaal van 2020	
Imlifidase (IdeS)	Preventie van orgaanafstoting na een niertransplantatie	Nee, verwacht in het tweede kwartaal van 2020	
Entrectinib (Rozlytrek)	Tumoren met een fusie van het TRK-gen Longkanker met ROS1-mutatie	Nee, verwacht in het derde kwartaal van 2020	
Encorafenib (Braftovi)	Darmkanker met BRAF-V600E-mutatie	Nee, verwacht in 2020	
Binimetinib (Mektovi)	Darmkanker met BRAF-V600E-mutatie	Nee, verwacht in 2020	

Daarnaast zijn recent nog twee middelen in de sluis geplaatst die later in de Horizonscan naar voren zijn gekomen (tabel 3).

Tabel 3. Recent geïdentificeerde middelen die in de sluis geplaatst zijn

<b>Geneesmiddel</b>	<b>Geregistreerd</b>	<b>Indicatie (uitbreiding)</b>
Givosiran (Givlaari)	Maart 2020	Behandeling van een stofwisselingsziekte (acute hepatische porfyrie)
Trastuzumab emtansine (Kadcyla)	December 2019	Behandeling bovenop de standaardbehandeling voor HER2 positieve borstkanker
Esketamine (Spravato)	December 2019	Therapie resistente depressie

Ik zal u uiterlijk in het najaar van 2020 informeren over de sluis kandidaten die naar verwachting in de eerste helft van 2021 geregistreerd worden. Ik zal dan ook weer een overzicht geven van de stand van zaken van de eerder aangekondigde sluis kandidaten.

De minister voor Medische Zorg,  
M.J. van Rijn

## **Bijlage 1: Korte toelichting sluis kandidaten**

- luspatercept

Luspatercept zal op markt komen om het aantal bloedtransfusies te verminderen bij een erfelijke bloedziekte waarbij geen of weinig hemoglobine wordt aangemaakt (beta-thalassemie) en een beenmergziekte waarbij de productie van bloedcellen ernstig is verstoord (myelodysplastisch syndroom). Het Zorginstituut Nederland schat in dat er ongeveer 75 patiënten met beta thalassemie zijn in Nederland. Hier komen per jaar 2-5 nieuwe patiënten bij. Het Zorginstituut Nederland schat in dat het myelodysplastisch syndroom elk jaar bij 40 tot 50 nieuwe patiënten wordt vastgesteld. De behandeling met luspatercept is chronisch zolang er effect is en kost, gebaseerd op de Amerikaanse prijs, ongeveer € 175.000 per jaar per patiënt. De behandelkosten zijn afhankelijk van de dosering en het gewicht van de patiënt.

- OTL-200

De gentherapie OTL-200 zal op de markt komen voor de behandeling van een stofwisselingsziekte in de hersenen, metachromatische leukodystrofie (MLD). Het Zorginstituut Nederland schat in dat er in Nederland per jaar 4-5 pasgeborenen worden gediagnosticeerd met MLD. De prijs van OTL-200 is nog onbekend, maar zal gezien het een gentherapie betreft aanzienlijk zijn.

- crizanlizumab

Crizanlizumab zal voor de preventie van afsluiting van bloedvaten bij volwassenen met sikkelcelanemie op de markt komen. Naar schatting van het Zorginstituut Nederland komen er maximaal 225 patiënten in aanmerking voor behandeling met crizanlizumab. Gebaseerd op de Amerikaanse prijs zal, afhankelijk van het gewicht van de patiënt, een jaar behandeling met crizanlizumab tussen de € 71.000 en € 101.000 kosten.

- valoctocogene roxaparvovec

De gentherapie valoctocogene roxaparvovec komt op de markt voor patiënten met een matige/ernstige ziektestaat van de bloedstollingsziekte hemofilie A. Alleen volwassen patiënten die nog geen remmende antistoffen tegen stollingsfactor VIII of tegen de vector AAV-5 hebben en niet besmet zijn met hepatitis B of C komen in aanmerking voor behandeling met valoctocogene roxaparvovec. Op basis van de Horizonscan zijn dit 70-110 patiënten. De prijs van het middel zal mogelijk tussen de € 1.8 miljoen en 2.7 miljoen per behandeling bedragen.

- olaparib

Er worden in 2020 diverse indicatie uitbreidingen verwacht voor olaparib, namelijk onderhoudsbehandeling van pancreaskanker, vervolgbehandeling van prostaatkanker en onderhoudsbehandeling van eierstokkanker. De onderhoudsbehandeling van eierstokkanker is de grootste indicatie uitbreiding. Hiervoor zal olaparib, na behandeling met platinum bevattende chemotherapie, in combinatie met bevacizumab worden gebruikt. Het ZIN schat in dat er maximaal 625 patiënten in aanmerking komen voor deze tweejarige onderhoudsbehandeling. Een jaar behandeling met olaparib kost € 65.000 voor deze indicatie.

- KTE-X19

De CAR-T-celtherapie KTE-X19 komt op de markt als vervolgbehandeling voor patiënten met een vorm van lymfklierkanker (mantelcellymfoom). Het Zorginstituut Nederland schat in dat er 150-200 patiënten in aanmerking komen voor behandeling met KTE-X19. De kosten van KTE-X19 zullen € 327.000 euro bedragen voor een eenmalige infusie. Het middel bevat hetzelfde gen-construct als de CAR-T-celtherapie axicabtagene ciloleucel (Yescarta), wegens een extra stap in het productieproces wordt dit middel als een nieuw medicijn beoordeeld.

- niraparib

Niraparib zal in de tweede helft van 2020 op de markt komen voor de onderhoudsbehandeling van eierstokkanker na platinum bevattende chemotherapie. Er worden nog diverse indicatie uitbreidingen verwacht voor andere soorten kanker. Niraparib is nu al op de markt voor baarmoederkanker die is teruggekeerd na platinum bevattende chemotherapie. Het Zorginstituut Nederland schat in dat er maximaal 625 patiënten in aanmerking komen voor deze onderhoudsbehandeling. Een jaar behandeling met niraparib kost € 80.000 tot € 120.000.

- belantamab mafodotin

Belantamab mafodotin zal op de markt komen voor patiënten met multipel myeloom (de ziekte van Kahler) die al minimaal drie eerdere behandelingen gehad hebben. Het Zorginstituut Nederland schat in dat er elk jaar ongeveer 125-165 patiënten in aanmerking komen voor behandeling met dit middel. De gemiddelde behandelduur en de prijs is nog onbekend. Gebaseerd op de Amerikaanse prijs van een middel dat in dezelfde behandellijn wordt toegepast (selinexor) zal een jaar behandeling € 236.000 kosten.