

Vergaderjaar 2020–2021

**29 477**

**Geneesmiddelenbeleid**

**Nr. 698**

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

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 18 maart 2021

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 pakket-sluis. Het gaat in deze brief om behandelingen met geneesmiddelen waarvan de registraties voor Europese markttoelating verwacht worden in het derde en vierde kwartaal van 2021. Tevens informeer ik u over de stand van zaken van eerder aangekondigde sluis kandidaten.

### *Inzet van de pakketsluis*

De pakketsluis heeft als doel om nieuwe, dure geneesmiddelen die in het ziekenhuis gebruikt worden (intramurale geneesmiddelen) op betaalbare wijze toegankelijk te maken en te houden binnen het basispakket. De open instroom van dure intramurale geneesmiddelen in het basispakket wordt met de sluis beperkt. Terwijl het geneesmiddel in de sluis is geplaatst, kan eventuele opname in het basispakket worden beoordeeld door het Zorginstituut. Daardoor is het mogelijk om eerst te bezien of er voldoende waarborgen zijn voor een verantwoorde introductie van het betreffende geneesmiddel in de medische praktijk, zodat de toegankelijkheid voor patiënten en de betaalbaarheid van de zorg ook voor de lange termijn gewaarborgd wordt. Sinds 1 juli 2018 zijn de criteria voor de inzet van de sluis wettelijk verankerd door een wijziging van het Besluit zorgverzekering. 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.

## Sluiskandidaten tweede helft 2021

Op basis van de meest recente publicatie van de Horizonscan Geneesmiddelen van het Zorginstituut (8 december 2020) noem ik twaalf geneesmiddelen waarvan registratie mogelijk is in de periode tot en met december 2021 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 tot en met tweede helft 2021**

Geneesmiddel (merknaam)	Registratie verwacht in	Nieuwe indicatie(s)
Cabozantinib (Cabometyx)	Mei 2021	Nierkanker
Azacitidine (Onureg)	Juni 2021	Acute myeloïde leukemie (AML, leukemie)
Tafasitamab	Juni 2021	• Diffuus grootcellig B-cellymfoom (DLBCL, lymfeklierkanker)
Cemiplimab (Libtayo)	Juli 2021	• Longkanker • Huidkanker (basaalcelcarcinoom)
Isatuximab (Sarclisa)	Juli 2021	Ziekte van Kahler (multipel myeloom)
Zanubrutinib	Juli 2021	Ziekte van Waldenström (lymfeklierkanker)
Vosoritide	September 2021	Achondroplasie (dwerggroei)
Aducanumab	Oktober 2021	Alzheimer-dementie
Autoloog tumorcel lysaat (Sitoiganap)	Oktober 2021	Hersenkanker
Avalglucosidase alfa	Oktober 2021	Ziekte van Pompe (stofwisselingsziekte)
Pegcetacoplan	Oktober 2021	Paroxismale nachtelijke hemoglobiurie (zeldzame bloedziekte)
Lenadogene nolparovovec (Lumevoq)	December 2021	Ziekte van Leber (zeldzame oogaandoening)

Deze twaalf geneesmiddelen komen op basis van de nu beschikbare informatie in aanmerking voor een sluisprocedure. De definitieve beslissing over het in de sluis plaatsen van deze geneesmiddelen neem ik nadat de Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) van het Europees Geneesmiddelenagentschap (EMA) een positieve opinie heeft uitgebracht. Dat is doorgaans één à twee maanden voordat de Europese Commissie beslist over de markttoelating («registratie»). Als een middel in de sluis wordt geplaatst, volgt een beoordeling op pakketwaardigheid door het Zorginstituut. De fabrikant wordt daarbij gevraagd een dossier in te dienen bij het Zorginstituut zodat deze beoordeling kan plaatsvinden.

Het is mogelijk dat nieuwe informatie beschikbaar komt waardoor een geneesmiddel in de sluis wordt geplaatst dat niet vooraf als sluis kandidaat is aangemerkt of waardoor een aangekondigde sluis kandidaat toch niet in de sluis geplaatst wordt. Indien dit het geval is, informeer ik u daarover in het najaar van 2021 in de volgende kamerbrief over sluis kandidaten.

## Terugblik

Op 8 oktober 2020 heb ik u geïnformeerd over negen sluis kandidaten voor de eerste helft van 2021 (Kamerstuk 29 477, nr. 664). Tabel 2 geeft een overzicht van de status van deze negen middelen en de status van zes sluis kandidaten waarover ik u in eerdere brieven heb geïnformeerd (Kamerstuk 29 477, nrs. 650, 618 en 561).

**Tabel 2. Status aangekondigde sluis kandidaten**

Geneesmiddel (merknaam)	Indicatie(s)	In de sluis geplaatst	Overige informatie
Carfilzomib (Kyprolis)	Multipel myeloom	Ja	Geregistreerd. Het Zorginstituut heeft advies uitgebracht.
Idecabtagene vicleucel	Multipel myeloom	Nee, verwacht in het tweede kwartaal van 2021	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan.
Pertuzumab/trastuzumab (Phesgo)	HER2-positieve borstkanker	Ja	Geregistreerd. In behandeling bij het Zorginstituut.
Selpercatinib (Retevmo)	Longkanker en schildklierkanker met een RET-fusie	Nee	Op basis van de beschikbare gegevens voldoet het geneesmiddel niet meer aan de sluis criteria.
Tucatinib (Tukysa)	HER2-positieve borstkanker	Ja	Geregistreerd. Nog geen dossier aangeleverd bij het Zorginstituut.
Selumetinib (Koselugo)	Neurofibromatose in adolescenten	Nee, verwacht in het tweede kwartaal van 2021	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan.
Lisocabtagene maraleucel (Breyanzi)	Verschillende typen lymfeklierkanker	Nee, verwacht in het tweede kwartaal van 2021	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan.
Risdiplam (Evrysdi)	Spinale musculaire atrofie (SMA)	Nee, verwacht in het eerste kwartaal van 2021	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan.
Pralsetinib (Gavreto)	Longkanker met een RET-fusie	Nee, verwacht in het tweede kwartaal van 2021	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan.
Selinexor (Nexpovio)	Multipel myeloom	Nee	Op basis van de beschikbare gegevens voldoet het geneesmiddel niet meer aan de sluis criteria.
OTL-200 (Libmeldy)	Metachromatische leukodystrofie (een zeldzame stofwisselingsziekte)	Ja	Geregistreerd. Nog geen dossier aangeleverd bij het Zorginstituut.
Valoctocogene roxaparvovec (Roctavian)	Behandeling van hemofilie A	Nee, verwachte registratiedatum onbekend.	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan.
Olaparib (Lynparza)	Vervolgbehandeling bij prostaatkanker en onderhoudsbehandeling bij eierstokkanker	Nee	Op basis van de beschikbare gegevens voldoet het geneesmiddel niet meer aan de sluis criteria.

Geneesmiddel (merknaam)	Indicatie(s)	In de sluis geplaatst	Overige informatie
Brexucabtagene autoleucel, voorheen: KTE-X19 (Tecartus)	Vervolgbehandeling van een vorm van lymfklierkanker (mantelcellilymfoom)	Ja	Geregistreerd. Nog geen dossier aangeleverd bij het Zorginstituut.
Niraparib (Zejula)	Onderhoudsbehandeling bij eierstokkanker	Ja	Geregistreerd. In behandeling bij het Zorginstituut.

Daarnaast is er recent één geneesmiddel in de sluis geplaatst die na de brief van 8 oktober 2020 in de Horizonscan naar voren is gekomen en daarom niet eerder is aangekondigd in een Kamerbrief over sluis kandidaten (tabel 3).

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

Geneesmiddel (merknaam)	Geregistreerd	Indicatie (uitbreiding)
Trastuzumab deruxtecan (Enhertu)	December 2020	HER2-positieve borstkanker

Ik zal u uiterlijk in het najaar van 2021 informeren over de sluis kandidaten die naar verwachting in de eerste helft van 2022 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,  
T. van Ark

**Korte toelichting sluis kandidaten*****Cabozantinib (Cabometyx)***

De indicatie voor cabozantinib in combinatie met nivolumab zal naar verwachting in mei 2021 uitgebreid worden als startbehandeling van gevorderde en gemetastaseerde nierkanker. Naar schatting van het Zorginstituut komen er jaarlijks maximaal 416 patiënten in aanmerking voor deze behandeling. De behandelduur zal naar verwachting minimaal 14 maanden bedragen. Een behandeling met cabozantinib kost ongeveer € 68.000 per patiënt per jaar.

***Azacitidine (Onureg)***

Onureg is een nieuwe orale toedieningsvorm van het reeds geregistreerde intraveneuze geneesmiddel azacitidine. Dit geneesmiddel zal naar verwachting in juni 2021 op de markt komen als onderhoudsbehandeling voor volwassen patiënten met een bepaald type leukemie, acute myeloïde leukemie (AML), bij wie er geen leukemiecellen meer in het bloed of beenmerg te zien zijn na behandeling met intensieve chemotherapie. Het Zorginstituut schat dat jaarlijks 58 patiënten in aanmerking komen voor deze behandeling. De behandelduur zal naar verwachting minimaal 12 maanden bedragen. De Nederlandse prijs is nog onbekend. Uitgaande van de Amerikaanse prijs zal een behandeling met Onureg ongeveer € 220.000 per patiënt bedragen.

***Tafasitamab***

Tafasitamab is een immunotherapie die naar verwachting in juni 2021 op de markt zal komen als combinatietherapie met lenalidomide van volwassen 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. Het Zorginstituut schat dat er jaarlijks maximaal 250 patiënten in aanmerking komen voor behandeling met tafasitamab. Uitgaande van een behandelduur van circa 9 maanden en de Amerikaanse prijs zal de behandeling ongeveer € 136.000 per patiënt bedragen.

***Cemiplimab (Libtayo)***

De indicatie voor cemiplimab zal naar verwachting in juli 2021 uitgebreid worden als startbehandeling van gevorderde of gemetastaseerde longkanker met PD-L1 expressie in meer dan 50% van de tumorcellen. Ook wordt dan een indicatie uitbreiding verwacht als vervolgbehandeling voor patiënten met een bepaald type huidkanker (gevoerd basaalcelcarcinoom). Het Zorginstituut schat dat er respectievelijk maximaal 1.150 en 10 patiënten in aanmerking komen voor behandeling van bovenstaande indicaties. Een jaar behandelen met cemiplimab kost ongeveer € 92.000. De behandelduur voor beide indicaties is nog onbekend.

***Isatuximab (Sarclisa)***

De indicatie voor isatuximab zal naar verwachting in juli 2021 uitgebreid worden als combinatiebehandeling met carfilzomib en dexamethason voor de vervolgbehandeling van de ziekte van Kahler (multipel myeloom). Naar schatting van het Zorginstituut komen er ongeveer 129 patiënten per jaar in aanmerking voor deze behandeling. De behandeling duurt gemiddeld langer dan een jaar en kost ongeveer € 99.000 per patiënt per jaar.

### **Zanubrutinib**

Zanubrutinib zal naar verwachting in juli 2021 op de markt komen als vervolgbehandeling voor patiënten met een bepaald type lymfeklierkanker (ziekte van Waldenström) en als startbehandeling voor patiënten met deze ziekte die niet in aanmerking komen voor chemo-immunotherapie. Naar schatting van het Zorginstituut komen er jaarlijks maximaal 214 patiënten in aanmerking voor deze behandeling. In 2022 zal de indicatie voor zanubrutinib naar verwachting uitgebreid worden als combinatiebehandeling met rituximab voor de startbehandeling van patiënten met een ander type lymfeklierkanker (mantelcellymfoom). Naar schatting van het Zorginstituut komen er jaarlijks maximaal 30 patiënten met mantelcellymfoom in aanmerking voor deze behandeling. De behandelduur en de Nederlandse prijs van zanubrutinib zijn onbekend. Gebaseerd op de Amerikaanse prijs kost een jaar behandeling ongeveer € 136.000 per patiënt.

### **Vosoritide**

Vosoritide zal naar verwachting in september 2021 op de markt komen voor kinderen (vanaf 2 jaar) met de groeistoornis achondroplasia (dwerggroei). Het Zorginstituut schat in dat er jaarlijks 7 nieuwe patiënten in aanmerking komen voor behandeling met vosoritide. Daarnaast komen er mogelijk 50 tot 135 reeds gediagnostiseerde patiënten in aanmerking. De behandeling dient voortgezet te worden totdat de groeischijven gesloten zijn. De behandelduur zal ongeveer 14 jaar bedragen. De Nederlandse prijs is nog niet bekend. Gebaseerd op de verwachte Amerikaanse prijs zal een behandeling met vosoritide jaarlijks ongeveer € 200.000 per patiënt bedragen.

### **Aducanumab**

Aducanumab zal naar verwachting in oktober 2021 op de markt komen voor patiënten met Alzheimer-dementie. De exacte indicatiestelling is nog onduidelijk, maar het patiëntenaantal zal naar verwachting hoog zijn. Volgens het Zorginstituut zijn er in Nederland 160.000 tot 190.000 patiënten met Alzheimer, waarvan 30.000 op dit moment medicatie gebruiken. De behandelduur met aducanumab is chronisch. De Nederlandse prijs is nog onbekend. Gebaseerd op de verwachte Amerikaanse prijs zal een jaar behandeling met aducanumab ongeveer € 40.000 per patiënt bedragen.

### **Autoloog tumorcel lysaat (Sitoiganap)**

Autoloog tumorcel lysaat is een geavanceerde immunotherapie die naar verwachting in oktober 2021 op de markt zal komen voor patiënten met een terugkerende hersentumor (glioom). Bij deze therapie worden de door middel van chirurgie verkregen tumorcellen van de patiënt bewerkt om vervolgens geïnjecteerd te worden in de hersentumor. Het Zorginstituut schat dat er jaarlijks maximaal 750 patiënten in aanmerking komen voor deze behandeling. De behandeling bestaat uit meerdere injecties die over een periode van ongeveer 12 maanden worden toegediend. De prijs is nog niet bekend, maar de therapie zal naar verwachting minimaal zo duur zijn als andere therapieën waarbij eigen cellen van de patiënt worden bewerkt. De kosten daarvan bedragen ongeveer € 323.500 per behandeling.

### ***Avalglucosidase alfa***

Avalglucosidase alfa zal naar verwachting in oktober 2021 op de markt komen voor patiënten met de ziekte van Pompe (zeldzame stofwisselingsziekte). Patiënten met deze ziekte worden nu behandeld met alglucosidase alfa. Het Zorginstituut verwacht dat alle patiënten die nu alglucosidase alfa krijgen zullen overstappen op avalglucosidase alfa. In 2019 werden er 136 patiënten behandeld met alglucosidase alfa. Een jaar behandelen met alglucosidase alfa kost ongeveer € 467.000 en behandeling is chronisch. De verwachting is dat de prijs en behandelduur van avalglucosidase alfa in dezelfde orde van grootte zullen liggen.

### ***Pegcetacoplan***

Pegcetacoplan zal naar verwachting in oktober 2021 op de markt komen voor patiënten met de zeldzame bloedziekte paroxismale nachtelijke hemoglobinurie. Volgens het Zorginstituut zullen er maximaal 80 patiënten met pegcetacoplan behandeld worden. Het betreft een chronische behandeling. De prijs van pegcetacoplan is nog onbekend maar de behandeling zal naar verwachting circa € 340.000 tot € 400.000 per patiënt per jaar bedragen, overeenkomstig met de reeds beschikbare behandeloptie voor deze ziekte. Naar verwachting zal pegcetacoplan ook voor de behandeling van de spierziekte amyotrofische laterale sclerose (ALS) op de markt komen, hierdoor zal het patiëntenaantal nog toenemen.

### ***Lenadogene nolparvovec (Lumevoq)***

Lenadogene nolparvovec is een gentherapie die naar verwachting in december 2021 op de markt zal komen voor patiënten met de zeldzame oogaandoening opticusneuropathie van Leber. Naar verwachting van de beroepsgroep zullen er 2 tot 5 reeds gediagnosticeerde patiënten in aanmerking komen voor behandeling en daarnaast per jaar 5 tot 10 nieuwe patiënten. De behandeling betreft een eenmalige toediening. De prijs is nog onbekend, maar de prijs van de behandeling zal naar verwachting minimaal zo duur zijn als een andere gentherapie voor een zeldzame oogaandoening, namelijk € 690.000 per patiënt.