

29 - 8 - 23



Ministerie van Volksgezondheid,
Welzijn en Sport

TER BESLISSING

**Directoraat Generaal
Curatieve Zorg**
Directie Geneesmiddelen en
Medische Technologie

Aan

Minister VWS

Deadline: 31-8-23

nota

Voortgangsrapportage voorwaardelijke toelating
weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals

Opgesteld door

Datum
22 februari 2023

Kenmerk
3594901-1048056-GMT

Uw kenmerk

Zaaknummer
1048056

Bijlage(n)
2

1. Aanleiding

Op 1 maart heeft het Zorginstituut u de Voortgangsrapportage voorwaardelijke toelating (VT) weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals gestuurd (Bijlage 1). Via deze brief deelt u deze voortgangsrapportage met de Kamer. Daarnaast heeft het Zorginstituut gevraagd om een verlenging van de VT van ataluren (Translarna®). Verder heeft het Zorginstituut geadviseerd om de neurotrofe tyrosine receptor kinase (NTRK) remmers entrectinib en larotrectinib (Rozlytrek® en Vitrakvi®) vanuit de VT definitief in het basispakket op te nemen.

2. Geadviseerd besluit

U wordt geadviseerd akkoord te gaan met het volgende:

- de voortgangsrapportage delen met de Kamer
 - verlenging van de VT van ataluren
 - opname van entrectinib en larotrectinib in het basispakket.
- Aangezien er geen sprake lijkt te zijn van een falende markt, achten wij centrale onderhandelingen niet aangewezen. De indicaties voor beide middelen zijn nagenoeg uitwisselbaar en er is inmiddels ervaring opgedaan met beide geneesmiddelen. Daarom is het te verwachten dat veldpartijen in staat zullen zijn de uitgaven aan deze geneesmiddelen te beheersen. Voor deze twee vergelijkbare middelen hebben veldpartijen al in een eerder stadium laten zien doelmatigheidsinstrumenten in te kunnen zetten in de vorm van een terugbetalingsregeling indien patiënten binnen drie maanden na start van een behandeling komen te overlijden.

De bijbehorende wijzigingen van de Regeling zorgverzekering zijn tegelijkertijd aan u voorgelegd door directie Zorgverzekeringen. De deadline van deze stukken (31-8-2023) is een gevolg van beoogde inwerkingtreding van de gewijzigde Regeling zorgverzekering (vanuit directie Zorgverzekeringen).

3. Kernpunten

Voortgangsrapportage

Sinds oktober en november 2021 zijn de eerste drie VT-trajecten gestart voor vier geneesmiddelen:

- entrectinib (Rozlytrek®) en larotrectinib (Vitrakvi®)
- ataluren (Translarna®)
- Recombinant humaan parathyroïdhormoon 1-84 (rhPTH 1-84) (Natpar®).



Omdat deze trajecten nu allemaal minimaal één jaar lopen, brengt het Zorginstituut de eerste voortgangsrapportage uit. Het Zorginstituut adviseert om alle drie de VT-trajecten voort te zetten. Het VT-traject van rhPTH 1-84 (Natpar®) zal echter dit jaar voortijdig eindigen vanwege de naderende productiestop. Behandelaren gebruiken het jaar 2023 om hun patiënten over te zetten op een alternatief. Het Zorginstituut had ons hierover al op 2 november 2022 geïnformeerd.

Datum
22 februari 2023

Kenmerk
3594901-1048056-GMT

Verlenging VT ataluren

Het VT-traject van ataluren (Translarna®) zou 1 februari 2024 aflopen. In bijgevoegd advies (Bijlage 2) adviseert het Zorginstituut om de einddatum van het VT-traject van ataluren te wijzigen van 1 februari 2024 naar 1 oktober 2024, vanwege vertraging van het CHMP-advies en de benodigde farmaco-economische (FE)-evaluatie. Recent heeft het Zorginstituut besloten om de criteria voor een vrijstelling van een FE-analyse te wijzigen. Door wijziging van deze criteria dient er nu ook voor ataluren een FE-evaluatie aangeleverd te worden als onderdeel van het vergoedingsdossier.

Beëindiging VT NTRK remmers en opname in het basispakket

Het Zorginstituut heeft op 27 juli jl. geadviseerd om entrectinib en larotrectinib (Rozlytrek® en Vitrakvi®) vanuit de VT definitief in het basispakket op te nemen als monotherapie voor de behandeling van volwassenen en kinderen (entrectinib: van 12 jaar en ouder) met lokaal gevorderde of gemetastaseerde solide tumoren die een neurotrofe tyrosinereceptor-kinase (NTRK)-genfusie vertonen en die hebben gefaald op de standaardbehandeling(en) of waarbij geen standaardbehandeling bestaat of geïndiceerd is¹. De VT zal daarmee worden beëindigd, en larotrectinib zal vanuit de sluis in het basispakket worden geplaatst. Dit verloopt via de hierboven genoemde wijziging van de Regeling zorgverzekering vanuit directie Zorgverzekeringen. Entrectinib is niet in de sluis geplaatst en stroomt in via de open instroom.

De effectiviteit en veiligheid van larotrectinib en entrectinib bij patiënten met solide tumoren met NTRK-genfusie is onderzocht in verschillende (internationale) enkelarmige studies. Het Zorginstituut concludeert op basis van deze studies dat larotrectinib en entrectinib voor de geregistreerde indicaties voldoen aan de stand van de wetenschap en praktijk. Omdat larotrectinib en entrectinib niet direct met elkaar zijn vergeleken, kunnen er geen harde conclusies worden getrokken over verschillen in gunstige en/of ongunstige effecten tussen beide middelen. Het is aan de behandelaar om te bepalen welke NTRK-remmer geschikt is voor een individuele patiënt.

Het Zorginstituut heeft in deze specifieke beoordeling afgezien van een farmaco-economische analyse, omdat een onderbouwde uitspraak hierover niet mogelijk is. Dit hangt met name samen met onduidelijkheid over het testlandschap, de plaatsbepaling van de NTRK-remmer in de verschillende behandellijnen en gebrek aan data over het natuurlijke beloop van patiënten met een NTRK-genfusie. Uit de voortgangsrapportage van de VT over 2022 blijkt dat er gedurende de periode van oktober 2021 tot december 2022 slechts 8 patiënten met verschillende typen solide tumoren in Nederland binnen de VT zijn behandeld met een NTRK-remmer.

4. Toelichting

a. Draagvlak politiek

¹ [Pakketadvies entrectinib en larotrectinib \(Rozlytrek® en Vitrakvi®\) voor de behandeling van volwassen en kinderen met solide tumoren \(kanker\) met NTRK-genfusie | Advies | Zorginstituut Nederland](#)



Naar verwachting zal deze voortgangsrapportage en de voorgestelde wijzigingen geen politieke vragen oproepen.

Datum
22 februari 2023

Kenmerk
3594901-1048056-GMT

b. Draagvlak maatschappelijk en eenduidige communicatie

Naar verwachting is er maatschappelijk draagvlak voor de voorwaardelijke toelating en zal deze voortgangsrapportage en de voorgestelde wijzigingen geen maatschappelijke vragen oproepen. De voorwaardelijke toelating is bedoeld voor patiënten met een ernstige aandoening en onvervulde behandelbehoefte. Zij kunnen via deze procedure onder voorwaarden in aanmerking komen voor vergoeding van veelbelovende geneesmiddelen, die vanwege onvoldoende bewijs nog niet voldoen aan de stand van de wetenschap en praktijk.

c. Financiële en personele gevolgen

De verlenging van de VT van ataluren (van 1 februari 2024 naar 1 oktober 2024) zal worden bekostigd vanuit het VT budget. Dit past binnen het gereserveerde budget.

De totale meerkosten van opname van beide NTRK-remmers in het basispakket worden geschat op €5,9 miljoen tot €19,6 miljoen in het derde jaar na opname. Wanneer er ook rekening wordt gehouden met de testkosten (moleculaire diagnostiek), zijn de meerkosten €36 miljoen tot €60 miljoen in het derde jaar na opname.

d. Juridische aspecten haalbaarheid

N.v.t.

e. Afstemming (intern, interdepartementaal en met veldpartijen)

Er heeft afstemming plaatsgevonden met directie FEZ, Z, WJZ, het Zorginstituut en Zorgverzekeraars Nederland (ZN). De beroepsgroep en patiëntenvereniging ondersteunen het voorstel voor verlenging van de VT van ataluren. Alle partijen betrokken bij het VT-traject van de NTRK-remmers zijn ook op de hoogte van het positieve advies wat het Zorginstituut heeft uitgebracht over definitieve pakketopname van larotrectinib en entrectinib. Ook de zorgverzekeraars zijn geïnformeerd over de verlenging van VT ataluren en opname in het basispakket van entrectinib en larotrectinib.

f. Gevolgen administratieve lasten

N.v.t.

g. Toezeggingen

N.v.t.

h. Fraudetoets

N.v.t.

5. Informatie die niet openbaar gemaakt kan worden

Tot personen herleidbare gegevens zijn onleesbaar gemaakt vanwege bescherming van de persoonlijke levenssfeer.