

Vergaderjaar 2020–2021

**29 477**

**Geneesmiddelenbeleid**

**Nr. 664**

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

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 8 oktober 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 Europese markttoelating verwacht worden in het eerste en tweede kwartaal van 2021. 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 eerste helft 2021*

Op basis van de meest recente publicatie van de Horizonscan Geneesmiddelen (10 juni 2020) van het Zorginstituut noem ik negen geneesmiddelen waarvan registratie mogelijk is in de periode tot en met juni 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 eerste helft 2021 (bron: Horizonscan Zorginstituut)**

Geneesmiddel (merknaam)	Registratie verwacht in	Nieuwe indicatie(s)
Carfilzomib (Kyprolis)	Januari 2021	Multipel myeloom (ziekte van Kahler)
Idecabtagene vicleuceel	Januari 2021	Multipel myeloom (ziekte van Kahler)
Pertuzumab/trastuzumab (Phesgo)	Februari 2021	HER2-positieve borstkanker
Selpercatinib (Retevmo)	Maart 2021	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Gevorderde en uitgezaaide longkanker met een RET-fusie</li> <li>• Schildklierkanker met een RET-fusie</li> </ul>
Tucatinib (Tukysa)	Maart 2021	HER2-positieve borstkanker
Selumetinib (Koselugo)	April 2021	Neurofibromatose in adolescenten (Ziekte van Von Recklinghausen)
Lisocabtagene maraleuceel	Mei 2021	Verschillende typen lymfeklierkanker
Risdiplam (Evrysdi)	Eerste helft 2021	Erfelijke spierziekte (SMA – spinale musculaire atrofie)
Pralsetinib (Gavreto)	Eerste helft 2021	Gevorderde en uitgezaaide longkanker met een RET-fusie

Deze negen 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 zodra de Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) van het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) een positieve opinie heeft uitgebracht. Dat is doorgaans één à twee maanden voordat de Europese Commissie beslist over de markttoelating («registreert»). 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 voorjaar van 2021 in de volgende kamerbrief over sluis kandidaten.

### Terugblik

Op 25 maart 2020 heb ik u geïnformeerd over acht sluis kandidaten voor de tweede helft van 2020 (Kamerstuk 29 477, nr. 650). Tabel 2 geeft een overzicht van de status van deze acht middelen en de status van zes sluis kandidaten waarover ik u in eerdere brieven heb geïnformeerd (Kamerstuk 29 477, nr. 618; Kamerstuk 29 477, nr. 561).

**Tabel 2. Status aangekondigde sluis kandidaten**

Geneesmiddel (merknaam)	Indicatie(s)	In de sluis geplaatst	Overige informatie
Onasemnogene abeparovovec (Zolgensma)	Erfelijke spierziekte (SMA – spinale musculaire atrofie)	Ja	Geregistreerd. Nog geen beoordelingsdossier aangeleverd bij het Zorginstituut.
Selinexor (Xpovio)	Multipel myeloom (ziekte van Kahler)	Nee, verwacht in het vierde kwartaal van 2020	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan.
Imlifidase (Idefixir)	Preventie van orgaanafstoting na een niertransplantatie	Afgevallen als sluis kandidaat	Op basis van de beschikbare gegevens voldoet het geneesmiddel niet meer aan de sluis criteria.
Entrectinib (Rozlytrek)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Solide tumoren met een fusie van het TRK-gen</li> <li>• Longkanker met ROS1-mutatie</li> </ul>	Ja, enkel voor de longkanker indicatie	Geregistreerd. Nog geen beoordelingsdossier aangeleverd bij het Zorginstituut.

Geneesmiddel (merknaam)	Indicatie(s)	In de sluis geplaatst	Overige informatie
Encorafenib (Braftovi)	Darmkanker met BRAF-V600E-mutatie	Afgevallen als sluis kandidaat	Op basis van de beschikbare gegevens voldoet het geneesmiddel niet meer aan de sluis criteria.
Binimetinib (Mektovi)	Darmkanker met BRAF-V600E-mutatie	Afgevallen als sluis kandidaat	De EMA heeft geen handelsvergunning verstrekt voor deze indicatie.
Luspatercept (Reblozyl)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Beenmergziekte waarbij de productie van bloedcellen ernstig is verstoord (myelodysplastisch syndroom)</li> <li>• Erfelijke bloedziekte waarbij geen of te weinig hemoglobine wordt aangemaakt (beta-thalassemie)</li> </ul>	Afgevallen als sluis kandidaat	Op basis van de beschikbare gegevens voldoet het geneesmiddel niet meer aan de sluis criteria.
OTL-200	Behandeling van een stofwisselingsziekte in de hersenen (metachromatische leukodystrofie)	Nee, verwacht in het vierde kwartaal van 2020	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan.
Crizanlizumab (Adakveo)	Preventie van afsluiting van bloedvaten bij sikkelcelanemie	Ja	De CHMP heeft uitspraak gedaan, de Europese Commissie heeft nog geen handelsvergunning verstrekt.
Valoctocogene roxaparvovec (Roctavian)	Behandeling van ernstige hemofilie A	Nee, verwacht in de eerste helft van 2021	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan.
Olaparib (Lynparza)	Onderhoudsbehandeling pancreaskanker	Afgevallen als sluis kandidaat	Op basis van de beschikbare gegevens voldoet het geneesmiddel niet meer aan de sluis criteria.
Olaparib (Lynparza)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Vervolgbehandeling prostaatkanker</li> <li>• Onderhoudsbehandeling eierstokkanker</li> </ul>	Nee, verwacht in het vierde kwartaal van 2020	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan.
Brexucabtagene autoleucel, voorheen genaamd: KTE-X19 (Tecartus)	Vervolgbehandeling van een vorm van lymfklierkanker (mantelcellymfoom)	Nee, verwacht in het vierde kwartaal van 2020	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan.
Niraparib (Zejula)	Onderhoudsbehandeling eierstokkanker	Nee, verwacht in het vierde kwartaal van 2020	De CHMP heeft nog geen uitspraak gedaan.
Belantamab mafodotin (Blenrep)	Multipel myeloom (ziekte van Kahler)	Afgevallen als sluis kandidaat	Op basis van de beschikbare gegevens voldoet het geneesmiddel niet meer aan de sluis criteria.
Givosiran (Givlaari)	Behandeling van een stofwisselingsziekte (acute hepatische porfyrie)	De sluis wordt opgeheven.	Bij nadere bestudering door het Zorginstituut blijkt het een extramuraal geneesmiddel.

Daarnaast zijn recent nog twee middelen in de sluis geplaatst die na de brief van 25 maart 2020 in de Horizonscan naar voren zijn gekomen (tabel 3).

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

Geneesmiddel (merknaam)	Geregistreerd	Indicatie (uitbreiding)
Glasdegib (Daurismo)	Juni 2020	Behandeling van een vorm van bloedkanker (acute myeloïde leukemie)
Acalabrutinib (Calquence)	Juli 2020	Start- of vervolgbehandeling van een vorm van bloedkanker (chronische lymfatische leukemie)

Ik zal u uiterlijk in het voorjaar van 2021 informeren over de sluis kandidaten die naar verwachting in de tweede 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,  
T. van Ark

**Korte toelichting sluis kandidaten****• carfilzomib**

De indicatie voor carfilzomib zal naar verwachting begin 2021 uitgebreid worden als combinatiebehandeling met daratumumab en dexamethason voor de vervolgbehandeling van multipel myeloom (de ziekte van Kahler). Naar schatting van het Zorginstituut komen er ongeveer 251 patiënten per jaar in aanmerking voor deze behandeling. De behandeling duurt gemiddeld langer dan een jaar en kost ongeveer € 150.000 per patiënt per jaar.

**• idecabtagene vicleucel**

Idecabtagene vicleucel is een CAR-T (celtherapie) en zal op de markt komen voor patiënten met multipel myeloom (de ziekte van Kahler) die al minimaal drie behandelingen gehad hebben. Het Zorginstituut schat in dat er per jaar 70 patiënten in aanmerking komen voor behandeling. Het gaat om een éénmalige behandeling. De prijs is nog onbekend, maar zal naar verwachting overeenkomstig zijn met de reeds beschikbare CAR-Ts in andere ziektegebieden. De prijs van deze CAR-Ts ligt rond de € 325.000.

**• pertuzumab/trastuzumab**

Pertuzumab/trastuzumab is een vaste dosis combinatie van pertuzumab en trastuzumab die op de markt zal komen voor de behandeling van volwassen patiënten met vroege en uitgezaaide HER2-positieve borstkanker. Het middel zal op de markt komen voor dezelfde indicaties waar nu de combinatie van de individuele middelen gebruikt wordt. In 2019 werden meer dan 1.900 patiënten behandeld met pertuzumab in combinatie met trastuzumab. Gebaseerd op de Amerikaanse prijs zal een jaar behandeling met pertuzumab/trastuzumab € 125.000 per patiënt kosten.

**• selpercatinib**

Selpercatinib zal op de markt komen voor gevorderde en uitgezaaide longkanker met een RET-fusie en voor schildklierkanker met een RET-fusie. Volgens het Zorginstituut komen er maximaal 127 patiënten met longkanker en 20 patiënten met schildklierkanker in aanmerking voor behandeling met selpercatinib. De gemiddelde behandelduur is minimaal 17 maanden. De Nederlandse prijs is onbekend. Gebaseerd op de Amerikaanse prijs kost een jaar behandeling met selpercatinib ongeveer € 195.000 per patiënt.

**• tucatinib**

Tucatinib zal in combinatie met trastuzumab en capecitabine op de markt komen voor de behandeling van patiënten met gevorderde en uitgezaaide HER-2 positieve borstkanker die al twee eerdere behandelingen gehad hebben. Volgens het Zorginstituut komen er maximaal 230 patiënten in aanmerking voor behandeling met tucatinib. De gemiddelde behandelduur is minimaal 7,3 maanden. Gebaseerd op de Amerikaanse prijs kost een behandeling van 7,3 maanden met tucatinib ongeveer € 120.000 per patiënt.

**• selumetinib**

Selumetinib zal op de markt komen voor de behandeling van adolescenten met neurofibromatose type 1 (de ziekte van Von Recklinghausen) die goedaardige gezwellen hebben die ontstaan zijn in het omhulsel van de zenuwen en die niet weggehaald kunnen worden. Volgens het Zorginstituut zijn er ongeveer 500 adolescenten met neurofibromatose type 1.

Uit de literatuur blijkt dat ongeveer 30–50% van de patiënten te maken krijgt met deze goedaardige gezwellen. Hoeveel patiënten precies in aanmerking komen voor selumetinib is niet bekend. De gemiddelde

behandelduur wordt geschat op minimaal 30 maanden. De Nederlandse prijs is onbekend. Gebaseerd op de Amerikaanse prijs kost een jaar behandeling met selumetinib ongeveer € 125.000 per patiënt.

- lisocabtagene maraleucel

Lisocabtagene maraleucel is een CAR-T en zal op de markt komen voor drie verschillende typen lymfeklierkanker – diffuus grootcellig B-cellymfoom (DLBCL), primair mediastinaal grootcellig B-cel-lymfoom (PMBCL) en folliculair lymfoom (FL) – voor patiënten die al minimaal twee eerdere behandelingen gehad hebben. Uit een eerdere beoordeling van het Zorginstituut van een CAR-T (axicabtagene ciloleucel) met een deels overlappende indicatie, blijkt dat er maximaal 245 patiënten per jaar in aanmerking komen voor behandeling van DLBCL en PMBCL. Het verwachte patiëntenaantal zal nog toenemen doordat lisocabtagene maraleucel ook voor de indicatie folliculair lymfoom op de markt zal komen. De prijs is nog onbekend, maar zal naar verwachting rond de € 325.000 liggen, overeenkomstig met de reeds beschikbare CAR-T in dit ziektegebied.

- risdiplam

Risdiplam zal op de markt komen voor patiënten met de spierziekte SMA. Als risdiplam voor alle patiënten met SMA op de markt zal komen zullen er maximaal 327 patiënten behandeld worden. Indien het middel alleen voor type 1 en type 2 op de markt komt zal het maximaal aantal patiënten 190 zijn. Het betreft een chronische behandeling. Gebaseerd op de Amerikaanse prijs zal een jaar behandeling met risdiplam, afhankelijk van het gewicht van de patiënt, maximaal € 285.000 kosten.

- pralsetinib

Pralsetinib zal op de markt komen voor gevorderde en uitgezaaide longkanker met een RET-fusie. Volgens het Zorginstituut komen er maximaal 128 patiënten in aanmerking voor behandeling met pralsetinib. De gemiddelde behandelduur is onbekend maar zal naar verwachting overeenkomen met die van selpercatinib. De Nederlandse prijs is onbekend. Gebaseerd op de Amerikaanse prijs kost een jaar behandeling met pralsetinib ongeveer € 195.000 per patiënt.