



Regeling van de Minister voor Medische Zorg van 4 mei 2020, kenmerk 1678151-204504-Z, houdende wijziging van de Regeling zorgverzekering in verband met de toepassing van de sluis op onasemnogene abeparvovec

De Minister voor Medische Zorg,

Gelet op artikel 2.4a, eerste lid, van het Besluit zorgverzekering;

Besluit:

ARTIKEL I

Aan Bijlage 0 behorende bij artikel 2.1, onderdeel k, van de Regeling zorgverzekering wordt een onderdeel toegevoegd, luidende:

31. onasemnogene abeparvovec, voor zover verstrekt in het kader van de behandeling van:
 - a. 5q spinale spieratrofie met een bi-allelische mutatie in het SMN1-gen en een klinische diagnose van SMA-type 1;
 - b. 5q spinale spieratrofie met een bi-allelische mutatie in het SMN1-gen en maximaal drie kopieën van het SMN2-gen.

ARTIKEL II

Deze regeling treedt in werking met ingang van de dag na de datum van uitgifte van de Staatscourant waarin zij wordt geplaatst.

Deze regeling zal met de toelichting in de Staatscourant worden geplaatst.

*De Minister voor Medische Zorg,
M.J. van Rijn*



TOELICHTING

1. Inleiding

Met deze wijziging van de Regeling zorgverzekering (Rzv) is het geneesmiddel onasemnogene abeparvovec (merknaam: Zolgensma) in de sluis geplaatst voor zover versterkt voor de behandeling van patiënten met 5q spinale spieratrofie (SMA) met een bi-allelische mutatie in het SMN1-gen en een klinische diagnose van SMA-type 1 of patiënten met 5q SMA met een bi-allelische mutatie in het SMN1-gen en maximaal 3 kopieën van het SMN2-gen.

2. Sluis

Met het oog op het nemen van maatregelen die een beheerste instroom in het basispakket mogelijk maken, is per 1 juli 2018 in artikel 2.4a van het Besluit zorgverzekering (Bzv) de bevoegdheid om dure intramurale geneesmiddelen (tijdelijk) uit te sluiten nadrukkelijk geregeld (Stb. 2018, 131). De toepassing van deze bevoegdheid wordt 'de sluis' genoemd. Zolang een geneesmiddel in de sluis is geplaatst, is het uitgesloten van het basispakket en wordt het niet vergoed uit hoofde van de zorgverzekering.

Een intramuraal geneesmiddel komt in aanmerking voor de sluis in de volgende twee gevallen:

- het verwachtte macrokostenbeslag van de verstrekking van het geneesmiddel voor de behandeling van één nieuwe indicatie of van meerdere nieuwe indicaties samen bedraagt € 40 miljoen of meer per jaar. Alle nieuwe indicaties worden in de sluis geplaatst. Op het moment van plaatsing in de sluis bestaande indicaties worden uitgezonderd van de toepassing van de sluis. Het geneesmiddel is voor bestaande indicaties derhalve niet uitgesloten van het basispakket;
- de verwachte kosten van de verstrekking van het geneesmiddel voor de behandeling van een nieuwe indicatie zijn € 50.000 of meer per jaar en het verwachte macrokostenbeslag van die verstrekkingen bedraagt € 10 miljoen of meer per jaar. Ook deze nieuwe indicatie wordt in de sluis geplaatst.

Onder een indicatie valt niet alleen een indicatie waarvoor het geneesmiddel is of wordt geregistreerd, maar ook 'off-label' gebruik van het geneesmiddel dat is of wordt geprotocolleerd of gestandaardiseerd door de beroepsgroep. Plaatsing in de sluis geschiedt binnen een maand na registratie respectievelijk vaststelling van het protocol of de standaard voor de nieuwe indicatie.

Terwijl het geneesmiddel in de sluis is geplaatst, kan eventuele opname in het basispakket worden beoordeeld. Hierover kan Zorginstituut Nederland (hierna: Zorginstituut) advies worden gevraagd. De sluis maakt het mogelijk maatregelen te treffen om de verstrekking van het geneesmiddel op betaalbare wijze via het basispakket toegankelijk te maken en te houden. Dit kunnen financiële maatregelen zijn, in het bijzonder het sluiten van een financieel arrangement met de leverancier van het geneesmiddel, alsmede maatregelen om gepast gebruik van het geneesmiddel te bevorderen en te borgen.

Als, voor zover van toepassing, het Zorginstituut advies heeft uitgebracht en er voldoende maatregelen zijn getroffen voor gepast gebruik van het geneesmiddel en voor het afdekken van financiële risico's, kan besloten worden over opname van het geneesmiddel in het basispakket. De opname in het basispakket kan tijdelijk of onder voorwaarden geschieden. De tijdelijkheid of de voorwaarden zijn dan afgeleid van de maatregelen die zijn geïnitieerd of getroffen voor het realiseren van gepast gebruik van het geneesmiddel en voor het afdekken van financiële risico's. Wanneer de opname tijdelijk is, bijvoorbeeld gedurende de looptijd van een financieel arrangement, dient rekening gehouden te worden met de mogelijkheid dat het geneesmiddel daarna geen deel meer uitmaakt van het basispakket.

3. Onasemnogene abeparvovec

Positieve opinie CHMP

Op 26 maart 2020 heeft het Committee for Medicinal Products for Human Use (hierna: CHMP) een positieve opinie gegeven over de voorwaardelijke markttoelating van het geneesmiddel onasemnogene abeparvovec (merknaam: Zolgensma) tot de Europese markt voor de behandeling van patiënten met 5q spinale musculaire atrofie (SMA) met een bi-allelische mutatie in het SMN1-gen en een klinische diagnose van SMA-type 1 of patiënten met 5q SMA met een bi-allelische mutatie in het SMN1-gen en maximaal 3 kopieën van het SMN2-gen. Het oordeel is aan de Europese Commissie voorgelegd in het kader van toelating tot de Europese markt. Naar verwachting zal de Europese



Commissie op korte termijn een handelsvergunning voor dit geneesmiddel afgeven.

Toepassing sluis

Onasemnogene abeparvovec is een intramuraal geneesmiddel. De verstrekking van dit geneesmiddel komt in aanmerking voor plaatsing in de sluis. Dat was reeds aangekondigd in de brief aan de Tweede Kamer van 11 maart 2019 (Kamerstukken II 2018/19, 29 477, nr. 561).

De raming van het aantal patiënten dat in aanmerking komt voor behandeling met onasemnogene abeparvovec is gebaseerd op de informatie uit de Horizonscan, het advies van het Zorginstituut over Spinraza en de opinie van een geraadpleegde expert. Het is aannemelijk dat er jaarlijks een incidente groep van circa 8 patiënten is met 5q SMA met een bi-allelische mutatie in het SMN1-gen en een klinische diagnose van SMA-type 1. Voor de indicatie 5q SMA met een bi-allelische mutatie in het SMN1-gen en maximaal 3 kopieën van het SMN2-gen wordt rekening gehouden met een incidente groep van ongeveer 15 patiënten; hierin zijn begrepen patiënten die tevens een klinische diagnose van SMA-type 1 hebben. In de Horizonscan worden de kosten voor een eenmalige toediening van onasemnogene abeparvovec geraamd op € 1.900.000. Het structureel te verwachten macrokostenbeslag van onasemnogene abeparvovec bedraagt voor incidente patiënten voor de indicatie met betrekking tot SMA-type 1 derhalve ongeveer € 15,2 miljoen. Voor de indicatie met betrekking tot maximaal 3 kopieën van het SMN2-gen is dat € 28,5 miljoen; dit is inclusief patiënten die tevens een klinische diagnose van SMA-type 1 hebben. Hierdoor wordt voldaan aan de criteria voor toepassing van de sluis, aangezien de verwachte kosten van de verstrekking van dit middel voor elk van de indicaties meer zijn dan € 50.000 per patiënt per jaar en het verwachte macrokostenbeslag van die verstrekkingen meer is dan € 10 miljoen per jaar. Consequentie van deze toepassing van de sluis is dat de verstrekking van onasemnogene abeparvovec voor bovengenoemde indicaties (tijdelijk) wordt uitgezonderd van het basispakket.

Volledigheidshalve wordt nog opgemerkt dat het aantal prevalentie patiënten dat voldoet aan de indicaties waarvoor een positieve opinie is afgegeven en mogelijk in aanmerking komt voor behandeling met onasemnogene abeparvovec, dermate hoog is dat het verwachte macrokostenbeslag van dit geneesmiddel gedurende een of enkele jaren ook ruim meer dan € 40 miljoen per jaar zal bedragen. Omdat hier gelet op de bijzondere kenmerken van deze behandelingen thans geen afdoende inschatting van gemaakt kan worden, wordt volstaan met toepassing van de sluis op grond van de verwachtingen omtrent de kosten per patiënt per jaar in combinatie met het macrokostenbeslag voor elk van de indicaties waarvoor het CHMP een positieve opinie heeft gegeven.

Vervolg

De leverancier is reeds geïnformeerd over de toepassing van de sluis voor de behandeling met onasemnogene abeparvovec. De volgende stap is advisering door het Zorginstituut over opname in het basispakket. Ten behoeve van de advisering wordt de leverancier verzocht een dossier in te dienen bij het Zorginstituut. In het advies kan het Zorginstituut ingaan op het sluiten van een financieel arrangement of het bevorderen van gepast gebruik. Wanneer het advies is uitgebracht en er – voor zover van toepassing – sprake is van succesvolle onderhandelingen over een financieel arrangement en van waarborgen voor gepast gebruik, kan besloten worden onasemnogene abeparvovec alsnog in het basispakket op te nemen.

*De Minister voor Medische Zorg,
M.J. van Rijn*