



Regeling van de Staatssecretaris van Volksgezondheid, Welzijn en Sport van 5 oktober 2021, kenmerk 3261407-1015881-Z, houdende wijziging Regeling zorgverzekering i.v.m. tijdelijke uitstroom sluis

De Staatssecretaris van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,

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

Besluit:

ARTIKEL I

Bijlage 0, onderdeel 29, van de Regeling zorgverzekering komt te luiden:

29. Onasemnogene abeparvovec, voor zover verstrekt in het kader van de behandeling van:
- met ingang van 1 december 2024: 5q spinale spieratrofie met een bi-allelische mutatie in het SMN1-gen en een klinische diagnose van SMA-type 1;
 - met ingang van 1 december 2024: presymptomatische 5q spinale spieratrofie met een bi-allelische mutatie in het SMN1-gen tot maximaal drie kopieën van het SMN2-gen;
 - symptomatische 5q spinale spieratrofie met een bi-allelische mutatie in het SMN1-gen en maximaal drie kopieën het SMN2-gen zonder klinische diagnose van SMA-type 1.

ARTIKEL II

Deze regeling treedt in werking met ingang van 1 november 2021.

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

*De Staatssecretaris van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,
P. Blokhuis*



TOELICHTING

1. Aanleiding

Met deze wijziging van de Regeling zorgverzekering (Rzv) wordt het geneesmiddel onasemnogene abeparvovec (merknaam Zolgensma) per 1 november 2021 tijdelijk opgenomen in het basispakket voor de in de regeling genoemde indicaties. Deze indicaties maken tot en met 30 november 2024 onderdeel uit van het basispakket.

2. Sluis

Met het oog op het nemen van maatregelen die een beheerste instroom in het basispakket mogelijk maken, is in artikel 2.4a van het Besluit zorgverzekering de bevoegdheid om dure intramurale geneesmiddelen (tijdelijk) uit te sluiten nadrukkelijk geregeld. 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 worden bestaande indicaties 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. 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 vier weken 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. Tijdelijke uitstroom onasemnogene abeparvovec

Per 9 mei 2020 is onasemnogene abeparvovec in de sluis geplaatst voor de behandeling van 5q spinale spieratrofie (SMA) met een bi-allelische mutatie in het SMN1-gen en een klinische diagnose van SMA-type 1 en de behandeling van 5q spinale spieratrofie met een bi-allelische mutatie in het SMN1-gen en maximaal drie kopieën van het SMN2-gen (Stcrt. 2020, 25822). Aanleiding voor dat besluit was de positieve opinie van het Committee for Medical Products for Human Use op 26 maart 2020. Met de sluisplaatsing van onasemnogene abeparvovec is voorkomen dat het geneesmiddel voor deze indicaties automatisch in het basispakket zou instromen. Dit is gedaan op basis van de verwachting dat de kosten van voor elk van de indicaties meer dan € 50.000 per patiënt per jaar zouden bedragen en het verwachte macrokostenbeslag van die verstrekkingen meer dan € 10 miljoen per jaar.



Advies Zorginstituut en financiële afspraken

Op 6 mei 2021 heeft het Zorginstituut advies uitgebracht over onasemnogene abeparvovec na een gezamenlijke beoordeling met België en Ierland. De indicaties waarover advies is uitgebracht omvat alle symptomatische patiënten met SMA type 1 en presymptomatische SMA-patiënten met maximaal 3 kopieën van het SMN2-gen. Voor een kleine groep patiënten, namelijk symptomatische SMA-patiënten met maximaal 3 kopieën van het SMN2-gen heeft de fabrikant geen vergoedingsaanvraag gedaan, waardoor deze groep bij het advies en de daarop volgende onderhandelingen buiten beschouwing is gelaten. Het Zorginstituut concludeert dat onasemnogene abeparvovec voor de behandeling van symptomatische patiënten met SMA type 1 voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk, zoals bedoeld in artikel 2.1, tweede lid, van het Besluit zorgverzekering (Bzv). Ook concludeert het Zorginstituut dat onasemnogene abeparvovec voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk voor de behandeling van presymptomatische SMA-patiënten met 2 of 3 kopieën van het SMN2-gen.

Voor bepaalde patiënten met SMA is sinds 2018 reeds het geneesmiddel nusinersen beschikbaar. In 2020 werd dit middel ook voorwaardelijk toegelaten tot het basispakket voor de behandeling van kinderen vanaf 9,5 jaar.

Het Zorginstituut concludeert dat onasemnogene abeparvovec niet kosteneffectief is ten opzichte van nusinersen of best ondersteunende zorg. Uitgaande van de destijds door het Zorginstituut geadviseerde prijs voor nusinersen, adviseert het Zorginstituut dat een prijsreductie voor onasemnogene abeparvovec van 91%. Wanneer dat risico gedeeld wordt, is volgens het Zorginstituut een prijsreductie van circa 50% noodzakelijk. Om de inzet van onasemnogene abeparvovec te monitoren wordt het bestaande weesgeneesmiddelenarrangement voor nusinersen uitgebreid met afspraken over start- en stopcriteria, een indicatiecommissie, dataverzameling en evaluatie voor onasemnogene abeparvovec.

Tijdelijke opheffing sluis

Ik heb samen met België en Ierland een akkoord bereikt met de fabrikant over de voorwaarden voor opname in het verzekerde pakket van onasemnogene abeparvovec voor de behandeling van symptomatische patiënten met SMA type 1 en presymptomatische SMA-patiënten met maximaal drie kopieën van het SMN2-gen. Hiervoor is een financieel arrangement afgesloten met ingang van 1 november 2021 tot en met 30 november 2024. Als gevolg hiervan is onasemnogene abeparvovec voor genoemde indicaties in de periode van 1 november 2021 tot en met 30 november 2024 toegelaten tot het basispakket.

*De Staatssecretaris van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,
P. Blokhuis*