



Regeling van de Staatssecretaris van Volksgezondheid, Welzijn en Sport van 18 oktober 2021, kenmerk 3268276-1017678-Z, houdende Wijziging Regeling zorgverzekering in verband met in- en uitstroom voorwaardelijk toegelaten geneesmiddelen

De Staatssecretaris van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,

Gelet op artikel 2.1, vijfde lid van het Besluit zorgverzekering;

Besluit:

ARTIKEL I

De Regeling zorgverzekering wordt gewijzigd als volgt:

A

In artikel 2.2, eerste lid, vervalt onderdeel d, onder verlettering van de onderdelen e tot en met o tot d tot en met n.

B

In onderdeel B van bijlage 1 worden de volgende regels opgenomen:

EU/1/15/1078/001	NATPAR INJPDR 25MCG/DO PATROON + SOLV 1ML
EU/1/15/1078/002	NATPAR INJPDR 50MCG/DO PATROON + SOLV 1ML
EU/1/15/1078/003	NATPAR INJPDR 75MCG/DO PATROON + SOLV 1ML
EU/1/15/1078/004	NATPAR INJPDR 100MCG/DO PATROON + SOLV 1ML
EU/1/13/902/001	TRANSLARNA GRANULAAT V SUSPENSIE IN SACHET 125MG
EU/1/13/902/002	TRANSLARNA GRANULAAT V SUSPENSIE IN SACHET 250MG
EU/1/13/902/003	TRANSLARNA GRANULAAT V SUSPENSIE IN SACHET 1000MG

C

Aan bijlage 2 worden twee onderdelen toegevoegd, luidende:

135. Parathyreoïdhormoon, op grond van artikel 2.1, vijfde lid, van het Besluit zorgverzekering

Voorwaarde:

Tot 1 januari 2025 voor een verzekerde van achttien jaar en ouder met chronische hypoparathyreoïdie wiens toestand onvoldoende onder controle kan worden gebracht met standaardtherapie alleen, voor zover de verzekerde deelneemt aan onderzoek als bedoeld in artikel 2.2, vijfde lid.

136. Ataluren, op grond van artikel 2.1, vijfde lid, van het Besluit zorgverzekering

Voorwaarde:

Tot 1 februari 2024 voor een ambulante verzekerde van twee jaar en ouder met spierdystrofie van Duchenne als gevolg van een nonsense-mutatie in het dystrofine-gen, vastgesteld door middel van genetisch onderzoek, voor zover de verzekerde deelneemt aan onderzoek als bedoeld in artikel 2.2, vijfde lid.

ARTIKEL II

Deze regeling treedt in werking met ingang van 1 november 2021, met uitzondering van artikel I, onderdeel A, dat in werking treedt 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 Staatssecretaris van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,
P. Blokhuis*



TOELICHTING

1. Aanleiding

Met deze wijziging van de Regeling zorgverzekering (Rzv) is de voorwaardelijk toegelaten behandeling met dendritische celvaccinaties voor patiënten met stadium IIIB en IIIC melanoom na complete resectie verwijderd uit artikel 2.2, eerste lid. Hiermee maakt de behandeling geen deel meer uit van het verzekerde pakket. Daarnaast zijn met deze wijziging van de Rzv twee extramurale geneesmiddelen voorwaardelijk toegelaten tot het basispakket in het kader van de voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals. Het eerste betreft de toepassing van parathyreoïdhormoon (merknaam: Natpar) voor patiënten van achttien jaar en ouder met chronische hypoparathyreoïdie wiens toestand onvoldoende onder controle kan worden gebracht met standaardtherapie alleen. Het tweede betreft de toepassing van ataluren (merknaam Translarna) bij ambulante patiënten van twee jaar en ouder met spierdystrofie van Duchenne als gevolg van een nonsense-mutatie in het dystrofine-gen.

2. Dendritische celvaccinaties

Op 29 september 2021 heeft Zorginstituut Nederland (hierna: het Zorginstituut) een standpunt uitgebracht over dendritische celvaccinaties bij de behandeling van volwassen patiënten met stadium IIIB en IIIC melanoom na complete resectie. Deze behandeling is sinds 1 april 2016 voorwaardelijk toegelaten tot het basispakket, onder voorwaarde dat patiënten deelnamen aan onderzoek naar de effectiviteit en kosteneffectiviteit van de behandeling. Derhalve is in de periode van voorwaardelijke toelating een placebo-gecontroleerd, gerandomiseerd vergelijkend onderzoek uitgevoerd. Op 1 april 2021 heeft de onderzoeksgroep het eindverslag ingediend bij het Zorginstituut.

Standpunt en conclusies

Op basis van de beschikbare gegevens concludeert het Zorginstituut dat niet is aangetoond dat de behandeling bij patiënten met stadium IIIB en IIIC melanoom na complete resectie resulteert in een klinisch relevante verlaging van de kans op een recidief of de uitkomstmaat sterfte ten opzichte van placebo. Daarmee voldoet de behandeling niet aan de stand van de wetenschap en praktijk en is geen sprake van een te verzekeren prestatie. De Nederlandse Vereniging voor Medische Oncologie, de Commissie Beoordeling Add-on Geneesmiddelen van Zorgverzekeraars Nederland, de Nederlandse Federatie voor Kankerpatiëntenorganisaties en Stichting melanoom zijn het na consultatie eens met deze conclusie.

Met de conclusie dat dendritische celvaccinaties bij stadium IIIB en IIIC melanoom na complete resectie geen te verzekeren prestatie is, kan de behandeling geen onderdeel uitmaken van het verzekerde pakket. Met deze wijziging van de Rzv is de behandeling daarom verwijderd uit artikel 2.2, eerste lid.

3. Voorwaardelijke toelating parathyreoïdhormoon

Op 23 september 2020 hebben partijen een aanvraag ingediend voor recombinant humaan parathyreoïd hormoon 1-84 (rhPTH[1-84]) (hierna: parathyreoïdhormoon) in het kader van de voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals. Dit beleidskader beoogt de toegang te verbeteren tot weesgeneesmiddelen en geneesmiddelen die met voorwaarden of onder bijzondere omstandigheden tot de markt zijn toegelaten, wanneer onvoldoende gegevens beschikbaar zijn om hun effectiviteit te kunnen bepalen. Parathyreoïdhormoon is geregistreerd als aanvullende behandeling van volwassen patiënten met chronische hypoparathyreoïdie wiens toestand onvoldoende onder controle kan worden gebracht met standaardtherapie alleen. Hypoparathyreoïdie is een zeldzame endocriene aandoening waarbij de productie van parathyreoïdhormoon abnormaal laag of afwezig is.

Voorwaardelijke toelating

Het Zorginstituut heeft op 6 oktober 2021 positief geadviseerd over de voorwaardelijke toelating van parathyreoïdhormoon voor een periode van maximaal drie-en-een-half jaar. Het begeleidend onderzoek naar de (kosten)effectiviteit van deze behandeling is verder uitgewerkt en betrokkenen hebben in een convenant de benodigde afspraken vastgelegd. In het convenant zijn afspraken gemaakt over de aan de voorwaardelijke toelating gekoppelde dataverzameling in nationaal en internationaal onderzoek en over de afwikkeling na afloop van de periode van de voorwaardelijke toelating. Naast de resultaten uit het lopende internationale hoofdonderzoek, worden aanvullende



data verzameld in nevenonderzoek aan het Leids Universitair Medisch Centrum (LUMC).

Het Zorginstituut schat in dat de in het convenant gemaakte afspraken voldoende garanties bieden om een voorwaardelijke toelating zorgvuldig en succesvol te laten verlopen en dat het met de voorwaardelijke toelating mogelijk wordt om binnen genoemde termijn conclusies over de effectiviteit van parathyreoïdhormoon te kunnen trekken. Naar verwachting komen in Nederland ongeveer 100 patiënten in aanmerking voor behandeling met parathyreoïdhormoon. Als het Zorginstituut aan het einde van de eerste fase concludeert dat parathyreoïdhormoon niet voldoet aan het criterium 'de stand van de wetenschap en praktijk', dan mag de behandeling na afloop van de periode van de voorwaardelijke toelating niet meer worden vergoed uit de basisverzekering. In dat geval blijft de registratiehouder het geneesmiddel maximaal drie maanden om niet ter beschikking stellen om behandelaren in staat te stellen de behandeling op verantwoorde wijze af te bouwen.

Parathyreoïdhormoon is voor de genoemde indicatie tot en met 31 december 2024 voorwaardelijk toegelaten tot het basispakket. Er zijn voor deze periode financiële afspraken gemaakt met de fabrikant van parathyreoïdhormoon.

4. Voorwaardelijke toelating ataluren

Op 10 juni 2020 hebben partijen een aanvraag ingediend voor ataluren in het kader van de voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals. Ataluren is geregistreerd voor de behandeling van spierdystrofie van Duchenne als gevolg van een nonsense-mutatie in het dystrofinegen, bij ambulante patiënten van twee jaar en ouder. Duchenne is een ernstige, progressieve en zeldzame genetische spierziekte die onder meer leidt tot snelle achteruitgang van het fysiek functioneren vanaf jonge leeftijd.

Voorwaardelijke toelating

Het Zorginstituut heeft op 7 oktober 2021 positief geadviseerd over de voorwaardelijke toelating van ataluren voor een periode van maximaal twee-en-een-half jaar. De betrokken partijen hebben een convenant afgesloten waarin het begeleidend onderzoek naar de (kosten)effectiviteit van de behandeling met ataluren is uitgewerkt en de afspraken zijn vastgelegd. Net als bij parathyreoïdhormoon gaat het om afspraken over aanvullende dataverzameling die is gekoppeld aan de voorwaardelijke toelating en de afwikkeling na de looptijd van het traject. Naast het lopende internationale hoofdonderzoek, zullen het LUMC en RadboudUMC ook een nevenonderzoek opzetten voor de Nederlandse patiënten die niet meer kunnen deelnemen aan het hoofdonderzoek maar wel een indicatie hebben voor de behandeling.

De verwachting van het Zorginstituut is dat de in het convenant gemaakte afspraken voldoende garanties bieden om een voorwaardelijke toelating succesvol te laten verlopen en dat met de voorwaardelijke toelating binnen genoemde termijn conclusies over de effectiviteit van ataluren kunnen worden getrokken. Naar verwachting van het Zorginstituut komen maximaal 21 patiënten in aanmerking voor behandeling met ataluren. Als het Zorginstituut na de voorwaardelijke toelating concludeert dat ataluren niet voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk, dan zal de vergoeding van het middel uit het basispakket worden stopgezet.

Ataluren is voor de genoemde indicatie tot en met 31 januari 2024 voorwaardelijk toegelaten tot het basispakket. Er zijn voor deze periode met de fabrikant van ataluren financiële afspraken gemaakt.

5. Vervolg

Met deze wijziging van de Rzv is geregeld dat parathyreoïdhormoon en ataluren voorwaardelijk worden toegelaten tot het basispakket. Hiertoe zijn deze geneesmiddelen, via opname op bijlage 1 en 2 van de Rzv, met aanvullende voorwaarden worden toegevoegd aan het geneesmiddelenvergoedingssysteem.

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