

Inspraak notitie adviescommissie pakket

AxiceL, DLBCL

1 feb 2019

Vandaag wil ik graag mede namens HEMATON inspreken op het agendapunt over de pakkettoelating van axicabtagene ciloleucel voor DLBCL, kortweg AxiceL

Het gaat hier om een geheel nieuw soort geneesmiddel, in feite een soort gentherapie zoals zojuist in de presentatie van ZINL is uitgelegd. Dit product is bestemd voor de 3^e of verdere lijns behandeling van patiënten met DLBCL die refractair zijn na twee eerdere lijnen van behandeling of waar de ziekte is teruggekeerd na die twee behandelingen.

Nieuw gediagnosticeerde patiënten met DLBCL worden behandeld met immunochemotherapie. Afhankelijk van de risicoklasse is 60-90% van de patiënten na drie jaar nog in leven, voor 60% van de patiënten is de 1^e lijns behandeling curatief. Van de overige 40% reageert nog eens 30-40% gunstig op een tweedelijnsbehandeling. De resterende patiënten, ongeveer hebben een aanzienlijk slechtere prognose met een gemiddelde overleving op de derdelijns (chemotherapie) behandeling van 2-6 maanden. Het aantal patiënten dat uiteindelijk in aanmerking komt CARTcel therapie is max 150 per jaar.

In de interim analyse van de ZUMA-1 studie verlegt behandeling met AxiceL de mediane overleving van 6.3 (in historische controle) naar 17,4 maanden, maar liefst een toename van ruim 11 maanden, met een HR van 0.23. Inmiddels zijn langere follow-up data over een groter aantal patiënten gepubliceerd: bij een mediane FU tijd van 27 maanden was 50% van de patiënten na 24 maanden nog in leven. Artsen beschouwen 2-jaars ziektevrije overleving bij deze aandoening als indicatief voor curatie. De therapeutische meerwaarde van dit product staat dan ook buiten kijf en patiënten nemen de niet onaanzienlijke toxiciteit op de koop toe met een dergelijk grote kans op genezing. Marie Jose Kersten, hemato-oncoloog in het AMC zal hier zo nog verder op in gaan. Zij zal tevens de aspecten rondom gepast gebruik van deze complexe therapie belichten en de maatregelen die genomen zijn om de data in de real world setting te verzamelen.

Vanuit patientenperspectief moge het duidelijk zijn dat we van mening zijn dat dit potentieel curatief middel in het verzekerde pakket moet worden opgenomen.

De kosten van het middel lijken dit echter vooralsnog in de weg te staan: het geneesmiddel kost 327.000 euro per toediening. Hierbij moet worden opgemerkt dat dit gentherapie betreft die per patiënt specifiek gemaakt wordt, gebruikmakend van de eigen cellen van de patiënt en dat het om een eenmalige toediening gaat. Er hoeft alleen betaald te worden wanneer de patiënt de cellen daadwerkelijk terug ontvangt.

De fabrikant claimt een ICER van 62000 euro per QALY. Volgens de WAR is de analyse echter van onvoldoende kwaliteit en een aantal door ZINL gevraagde herberekeningen zijn niet uitgevoerd door de fabrikant. ZINL schat in dat de ICER aanzienlijk kan oplopen, mede gezien de onzekerheid omtrent de te verwachten overleving zoals die bestond in de oorspronkelijke interim analyse na 5 maanden. De onderliggende data en berekeningen zijn overigens niet in het rapport toegevoegd, de werkelijke ICER blijft dus vooralsnog speculatief.

Als patiënten zijn we onvoldoende deskundig om te bezien of de onvolkomenheden die ZINL heeft geconstateerd terecht zijn.

De minister heeft dit middel in de sluis gezet en gaat in elk geval over de prijs onderhandelen. Vanwege de onduidelijkheid over de kosteneffectiviteit kan de minister hoog inzetten. Gezien de aard van de behandeling - eenmalig en met snel zicht op het resultaat – is pay for performance hier wellicht een goede optie.

Er is een enorm voordeel in OS met de CARTcel behandeling met een aanzienlijke kans op curatie. Iedere maand vertraging in toegang tot deze therapie kan letterlijk een paar patiënten het leven kosten. Daarom vinden we het vanuit patiëntenperspectief onverantwoord als het dossier verder vertraging oploopt. We vagen de advies commissiepakket en ZINL dan ook om de procedure zo snel mogelijk af te ronden zodat VWS de prijsonderhandelingen kan starten.

De afgelopen maanden hebben diverse centra hard gewerkt om de kwalificatie voor behandeling met CAR T cellen rond te krijgen. Nu deze processen afgerond zijn vragen we de fabrikant in de tussentijd het middel om niet te verstrekken aan patiënten voor wie de behandeling anders te laat komt.