

Bijlage: Horizonscan VWS – uittreksel december 2015

Het Bureau Financiële Arrangementen Geneesmiddelen van het Ministerie van VWS maakt gebruik van reeds bestaande horizon scans, waaronder die van de Agency for Healthcare, Research and Quality (AHRQ)¹ en die van de United Kingdom Medicines Information (UKMI)². Op basis van deze scans, alsmede de input van betrokken partijen in Nederland, wordt een aantal producten geïdentificeerd met mogelijke financiële risico's. Het eindproduct is een groslijst van nieuwe producten. Deze lijst wordt naar verwachting elk jaar in maart en oktober bijgewerkt.

De volgende financiële risico's worden in kaart gebracht:

- 1) *Kostenbeslag per jaar*: een inschatting van de mogelijke jaarlijkse macrokosten van het product. Hierbij wordt uitgegaan van de potentiële lijstprijs van het product, van epidemiologische data en expert input over patiëntvolumes, behandelduur en plaatsbepaling van het product. Let op: het gaat hierbij om een inschatting van de absolute uitgaven van het individuele product, waarbij wordt uitgegaan van een 100% marktaandeel.
- 2) *Kosten per behandeling per patiënt per jaar*: de ingeschatte totale maximale behandelkosten voor een individuele patiënt. Hierbij wordt uitgegaan van beschikbare data en expert input over behandelduur en beschikbare lijstprijzen in Nederland en buitenland.
- 3) *Risico op volume toename*: om in te schatten of er op middellange termijn opwaartse volume-risico's zijn wordt er gekeken naar eventuele indicatie-uitbreiding, naar potentieel off-label gebruik en naar een eventuele verschuiving van behandellijn (bijvoorbeeld van tweede naar eerste lijn).

De tabel hieronder betreft een extract van de bestaande horizonscan. Het betreft hierbij een inschatting van het volume patiënten wat voor de betreffende indicatie in aanmerking komt op basis van op dit moment beschikbare informatie. Voor een aantal producten ontbreken gegevens omdat deze nog niet bekend zijn of nog nader gevalideerd dienen te worden met experts/beroepsgroep. Daarnaast worden de verwachte kosten per behandeling per patiënt per jaar weergegeven. Ook hier gaat het om de tot op heden bekende lijstprijzen in het buitenland die af kunnen wijken van de daadwerkelijke lijstprijzen geldend voor Nederland. Vaak zijn deze prijzen alleen eerst in de Verenigde Staten bekend, waar de lijstprijzen doorgaans hoger liggen. Op basis van de tabel kan een grove schatting van het maximale kostenbeslag gemaakt worden.

Een aantal producten uit onderstaande tabel behoren tot dezelfde productgroep en zullen hoogstwaarschijnlijk eenzelfde groep patiënten bedienen. Hierbij geldt dat het geschatte patiëntvolume voor de hele productgroep geldt en niet voor elk product apart. Het gaat in ieder geval om de volgende middelen:

- PSCK9-remmers: evolocumab (Repatha) en alirocumab (Praluent)
- PD-1/PD-L1: nivolumab, pembrolizumab en atezolizumab

Op basis van onderstaande lijst, is de verwachting dat de volgende intramurale producten potentieel een hoog kostenbeslag zullen hebben:

- Nivolumab (Opdivo)
- Pembrolizumab (Keytruda)
- Palbociclib (Ibrance)
- Atezolizumab
- Ibrutinib (Imbruvica)

¹ <http://effectivehealthcare.ahrq.gov/index.cfm/search-for-guides-reviews-and-reports/?pageaction=displayproduct&productid=1063>

² <http://www.ukmi.nhs.uk/activities/newProducts/default.asp?pageRef=12>

Tabel 1: Uittreksel horizonscan december 2015

Product (generiek (merknaam))	Therapeutisch gebied	Indicatie(s)	Datum (verwachte goedkeuring (EMA))	Geschat patiëntvolume wat in aanmerking komt voor behandeling	Geschatte kosten per behandeling per patiënt per jaar
GVS					
Ataluren (Translarna)	Muscoskeletal and joint disease	Non-sense mutation Duchenne disease	31-7-2014	60-130	€ 250.000
Tasimelteon (Hetlioz)	Functional Limitations and Disability	non-24-hour sleep-wake disorder	1-7-2015	- Onduidelijk of in Nederland beschikbaar - Onduidelijk voor welke categorie blinden	€ 81.000
Evolocumab (Repatha)	Cardiovascular	Hyper-cholesterolaemia (PCSK9-remmer)	17-7-2015	2016: 20.000	€ 6.000-€12.000
				2017: 30.000	
				2018: mogelijk meer	
Alirocumab (Praluent)	Cardiovascular	Hyper-cholesterolaemia (PCSK9-remmer)	23-9-2015	2016: 20.000	€ 6.000-€12.000
				2017: 30.000	
				2018: mogelijk meer	
Ivacaftor / Lumacaftor (Orkambi)	Pulmonary Disease, Including Asthma	Cystic fibrosis (F508del mutatie)	20-11-2015	- Huidige volume: 40-50 - F508Del5 homozygous: 800 - F508Del5 heterozygous: 500	€ 243.000
Sacubitril / valsartan (Entresto)	Cardio-vascular	Heart Failure	25-11-2015	Verwacht een groot volume patiënten: >100.000 (?)	€ 4.300
Mepolizumab (Nucala)	Pulmonary Disease, Including Asthma	Asthma - severe eosinophilic asthma	1-12-2015	- Max. 4000-6000 - Inzet door beroepsgroep nog onbekend	USD 30.000
Grazoprevir /elbasvir	Infectious Disease Including HIV/AIDS	Chronic Hepatitis C infection	1-1-2016	Vergelijkbaar met andere HCV middelen	Verwacht vergelijkbaar met andere HCV middelen (rond € 40.000)
Selexipag (Uptravi)	Pulmonary Disease, Including Asthma	Pulmonary Hypertension	1-1-2016	250	€ 40.000
Migalastat hydrochloride (Galafold)	Functional Limitations and Disability	Fabry disease	1-2-2016	Max. 40 - Waarschijnlijk in combinatie met bestaande producten	Nog niet bekend
Obeticholic acid	Gastro-intestinal system	Primary Biliary cirrhosis (PBC)	1-3-2016	1000	Nog niet bekend
Drisapersen	Functional Limitations and Disability	Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)	1-4-2016	60-130	Nog niet bekend (> € 200.000 (?))
Eteplirsen (mogelijk IM)	Functional Limitations and Disability	Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)	1-12-2016	60-130	Nog niet bekend (> € 200.000 (?))

Intramuraal					
Ceritinib (Zykadia)	Oncology	NSCLC	6-5-2015	70	€ 50.500
Nivolumab (Opdivo)	Oncology	- Malignant melanoma (MMe)	19-6-2015	- Melanoom (1 ^e lijn): 2016 & 2017: 500	Circa € 42.000 (o.b.v. NSCLC – voor een gemiddelde patiënt)
		- NSCLC SQ: 20-07-2015		- NSCLC: 2016 & 2017: 2500-5200	
		- SCLC non-SQ: 1-4-2016		- RCC: 2016: 150-200	
		- MMe + ipilimumab: Q1/2016		2017: 400-500	
		- RCC: eind 2016		- Overige indicaties: nnb	
		- In 2017: meerdere kleine indicaties			
Pembrolizumab (Keytruda)	Oncology	- Malignant melanoma	21-7-2017	Melanoom 1 ^e lijn: 2017: 500	Vergelijkbaar met nivolumab (?)
		- NSCLC: 1-8-2016		NSCLC 2017: 2500-5200	
Panobinostat (Farydak)	Hematology	Multiple myeloma (late stage)	28-8-2015	300-800	>€50.000
Asfotase alfa (Strensiq)	Functional Limitations and Disability	Hypophosphatasia	28-8-2015	20	Nog niet bekend (> € 200.000 (?))
Sebelipase alfa (Kanuma)	Functional Limitations and Disability	Lysosomal acid lipase deficiency	1-9-2015	- weesgeneesmiddel; prevalentie 0.2/10.000 - plaatsbepaling en patiëntaantal nog niet zeker binnen beroepsgroep	Nog niet bekend (> € 200.000 (?))
Blinatumomab (Blincyto)	Hematology	Philadelphia chromosome-negative, B-cell lineage ALL	1-9-2015	20-25	€ 150.000
Cobimetinib (Cotellic)	Oncology	BRAF V600 mutation advanced+ melanoma	1-12-2015	- Verwachting uitsluitend inzet i.c.m. vemurafenib: Max. 400-500	Mono: circa € USD: 80.000
				- afhankelijk van inzet combinatie dabrafenib + trametinib	Combi: USD: 210.000
T-Vec	Oncology	Stage III/IV metastatic melanoma	1-1-2016	- gelet op trial data een relatief beperkte inzet (<200 patiënten (?)) - binnen 2 jr. geen nieuwe indicaties voorzien	Kosten in US: USD 65.000
Palbociclib (Ibrance)	Oncology	(HR+), (HR2-) advanced breast cancer	1-5-2016	1200 (max)(?)	USD: 120.000

Imbrutinib (Imbruvica)	Hematology	- CLL (1st line)	1-6-2016	1 ^e lijn: 1000	€ 91.000
		- Eerder beschikbaar voor 2e lijn CLL		2 ^e lijn: 200	
Atezolizumab	Oncology	- NSCLC (2016)	1-10-2016	NSCL: zie nivolumab	Nog niet bekend
		- Blaas (2016)		Eerste PDL-1 remmer in blaas (?)	
		- RCC (na 2017)			
Daratumumab	Hematology	Multiple Myeloma	1-8-2016	- in eerste instantie 2 ^e of 3 ^e lijn - aantal recidiverende patiënten nog ter discussie (HOVON)	- prijs in US: USD 134000 (jr1) en USD 76000 (jr2)
Idelalisib (Zydelig)	Hematology	- CLL (1e lijn)	1-12-2016	1 ^e lijn patiënten: - max. circa 500 p. jaar (afhankelijk van gebruik o.a. ibrutinib)	€ 48.000
		- Al eerder toegelaten voor andere indicaties o.a. 2e lijn CLL		2 ^e lijn patiënten: - maximaal 70% van 1 ^e lijn - impact aanscherping HOVON richtlijn (ibrutinib) op idelalisib nader te bepalen	
Obinutuzumab (Gazyva(US) / Gazyvaro (EU))	Hematology	- DLBLB	1-12-2016	Patiëntaantallen in DLBLB onbekend	€ 66.000
		- Al eerder toegelaten voor andere indicaties			

Disclaimer: het overzicht is een extract / afgeleide van de horizonscan van VWS en beoogt partijen te ondersteunen bij de identificatie van producten met een mogelijke substantiële financiële impact; het betreft een momentopname; inschattingen van patiëntvolumes zijn vaak onzeker; de compleetheid en juistheid van de informatie kan niet worden gegarandeerd en er kunnen aan het overzicht geen rechten worden ontleend.