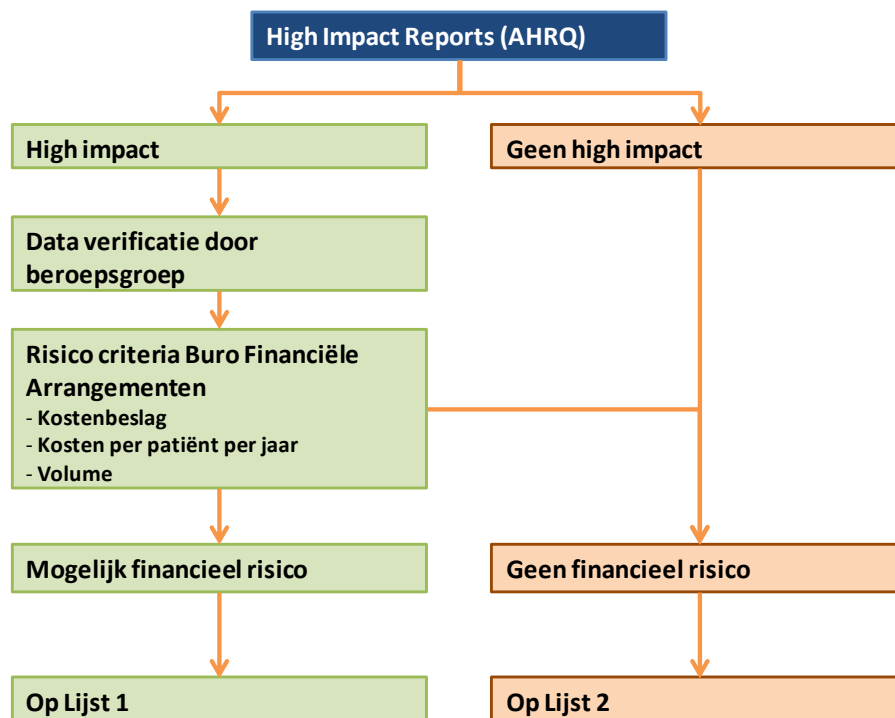


**Bijlage** bij brief kenmerk: 150683;  
**Horizonscan VWS – uittreksel mei 2016**

De horizon scan opgesteld door het Bureau Financiële Arrangements Geneesmiddelen van het Ministerie van VWS is gebaseerd op reeds bestaande horizon scans, waaronder de "high impact reports" van de Agency for Healthcare, Research and Quality (AHRQ)<sup>1</sup> en de "Prescribing Outlook" van de United Kingdom Medicines Information (UKMI)<sup>2</sup>. Op basis van deze scans, alsmede de input van betrokken partijen in Nederland, wordt een aantal producten geïdentificeerd met mogelijke financiële risico's. Het selectieproces wordt weergegeven in figuur 1. Alleen die producten die een high impact hebben worden in eerste instantie opgenomen in de lijst. Dit houdt in dat de lijst niet een compleet overzicht biedt van alle producten die op de markt komen, de AHRQ voorziet wel in een dergelijke lijst met een tweemaandelijks update<sup>3</sup>. Daarnaast publiceert de European Medicines Agency (EMA) elke maand welke producten door hun beoordeeld gaan worden<sup>4</sup>. Vervolgens wordt de data geverifieerd door de beroepsgroepen en bestaat er de mogelijkheid om producten toe te voegen. Uiteindelijk resulteert dit in twee lijsten: een lijst met producten die een mogelijk financieel risico en een lijst met producten met geen financieel risico.

**Figuur 1: Selectieproces voor horizon scan Bureau Financiële Arrangements**



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

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

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

<sup>3</sup> <https://effectivehealthcare.ahrq.gov/index.cfm/search-for-guides-reviews-and-reports/?pageaction=displayproduct&productID=880>

<sup>4</sup>

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 behandelijn (bijvoorbeeld van tweede naar eerste lijn).

Lijst 1 en lijst 2 in de bijlage zijn een verkorte weergave van de data die beschikbaar is in de horizon scan zoals deze nu wordt onderhouden door het Buro Financiële Arrangementen. Het betreft hierbij een inschatting van de volgende gegevens:

- Volume patiënten wat voor de betreffende indicatie
- Verwachte kosten per behandeling per patiënt per jaar
- Lijstprijzen

Alle inschattingen worden gemaakt op basis van op dit moment beschikbare en openbare informatie. Voor een aantal producten ontbreken gegevens omdat deze nog niet bekend zijn of nog nader gevalideerd dienen te worden met experts/beroepsgroep. Veelal zijn er nog geen Nederlandse prijzen beschikbaar voor producten die nog niet zijn toegelaten op de Nederlandse of Europese markt. In sommige gevallen zijn al wel Amerikaanse prijzen bekend, maar deze liggen doorgaans hoger. 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:

- PD-1/PD-L1: nivolumab, pembrolizumab, atezolizumab en durvalumab
- Drisapersen en Etipirsen
- EGFR-remmers: osimertinib (Tagrisso) en Rociletinib
- Voor de behandeling van multiple myeloom: elotuzumab (Empliciti), daratumumab (Darzalex)
- Voor de behandeling van chronische lymfatische leukemie: ibrutinib (Imbruvica), idelalisib (Zydelig) en venetoclax

**\*\* Disclaimer: het overzicht is een extract / afgeleide van de horizon scan 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.**

Tabel 1: Lijst 1

GVS						
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	Indicatie-uitbreiding
Ataluren (Translarna)	Muscoskeletal and joint disease	Non-sense mutation Duchenne disease	31-7-2014	11	€ 270.000 †	Ja, voor CF met mogelijk 80-120 patiënten, registratie verwacht okt. 2016
Tasimelteon (Hetlioz)	Functional Limitations and Disability	non-24-hour sleep-wake disorder	1-7-2015	- Onduidelijk of in Nederland beschikbaar komt - Onduidelijk voor welke categorie blinden	€ 81.000	
Asfotase alfa (Strensiq)	Functional Limitations and Disability	Hypophosphatasia	28-8-2015	2	€ 285.000 - € 4 mln. †	
Ivacaftor / Lumacaftor (Orkambi)	Pulmonary Disease, Including Asthma	Cystic fibrosis (F508del mutatie)	20-11-2015	498 met mogelijk 741 als ook registratie voor kinderen komt	€ 170.000	Ja, ook studies voor F508del heterozygoot
Lesinurad (Zurampic)	Arthritis and non-traumatic joint disease	Hyperuricemia and allopurinol-refractory gout	18-2-2016	3000-9000	Nog niet bekend	
Grazoprevir / elbasvir (Zepatier)	Infectious Disease Including HIV/AIDS	Chronic Hepatitis C infection	1-6-2016	Vergelijkbaar met andere HCV middelen	Verwacht vergelijkbaar met andere HCV middelen (rond € 40.000)	
Selexipag (Uptravi)	Pulmonary Disease, Including Asthma	Pulmonary Hypertension	1-6-2016	Nog niet bekend	\$ 160.000*	
Drisapersen Δ	Functional Limitations and Disability	Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)	1-6-2016	8	Nog niet bekend	
Daclizumab (Zinbryta)	Functional Limitations and Disability	Relapsing-remitting multiple sclerosis	1-6-2016	200-500	Nog niet bekend	
Sofosbuvir + velpatasvir	Infectious Disease Including HIV/AIDS	Chronic Hepatitis C infection	1-8-2016	Vergelijkbaar met andere HCV middelen	Verwacht vergelijkbaar met andere HCV middelen (rond € 40.000)	
Obeticholic acid (Ocaliva)	Gastro-intestinal system	Primary Biliary cirrhosis (PBC)	1-12-2016	300	Nog niet bekend	Ja ook studies voor NASH
Eteplirsen Δ (mogelijk IM)	Functional Limitations and Disability	Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)	1-12-2016	8	Nog niet bekend	
Baricitinib	Arthritis and non-traumatic joint disease	Rheumatoid Arthritis, (moderate-to-severe)	Q1 2017	Hangt af van plaatsbepaling in richtlijn, op termijn indien plaats voor TNF remmers > 30.000 ptn	Nog niet bekend	
Idebenone (Catena / Raxone)	Functional Limitations and Disability	Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)	Q1 2017	Nog niet bekend	Nog niet bekend	

Tabel 2: Lijst 1 - intramuraal

Intramuraal						
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	Indicatie-uitbreiding
Nivolumab (Opdivo)	Oncology	- Malignant melanoma (MMe)	19-6-2015	- Melanoom (1 <sup>e</sup> lijn):	Circa € 42.000 (o.b.v. NSCLC – voor een gemiddelde patiënt)	Aankomende jaren meerdere indicaties
		- NSCLC SQ: 20-07-2015		2016 & 2017: 500		
		- SCLC non-SQ: 1-4-2016		- NSCLC:		
		- MMe + ipilimumab: Q1/2016		2016 & 2017: 2500-5200		
		- RCC: eind 2016		- RCC:		
		- In 2017: meerdere kleine indicaties		2016: 150-200 2017: 400-500 - Overige indicaties: nnb		
Pembrolizumab (Keytruda)	Oncology	- Malignant melanoma	21-7-2015	Melanoom 1 <sup>e</sup> lijn:	Vergelijkbaar met nivolumab voor NSCLC	
		- NSCLC: 1-8-2016		2017: 500 NSCLC 2017: 2500-5200		
Osimertinib (Tagrisso)	Oncology	EGRF pos NSCLC	4-2-2016	Nog niet bekend	Nog niet bekend	Uitbreiding verwacht binnen NSCLC
Elotuzumab (Empliciti)	Hematology	Multiple Myeloma (recidief)	1-5-2016	200	Nog niet bekend	Uitbreiding verwacht binnen MM
Palbociclib (Ibrance)	Oncology	(HR+), (HR2-) advanced breast cancer (postmenopausal)	Verwacht in 2016	1200	\$ 120.000*	Ook mogelijk registratie voor pre-menopauzaal, dan volume 1500
Imbrutinib (Imbruvica)	Hematology	- CLL (1st line)	1-6-2016	1 <sup>e</sup> lijn: 700	€ 70.000	
		- Eerder beschikbaar voor 2e lijn CLL		2 <sup>e</sup> lijn: 200		
Rociletinib	Oncology	EGRF pos NSCLC	1-8-2016	Nog niet bekend	Nog niet bekend	Uitbreiding verwacht binnen NSCLC
Ixazomib (Ninlaro)	Oncology	Multiple Myeloma (refractory)	1-8-2016	Nog niet bekend	Nog niet bekend	Uitbreiding verwacht binnen MM
Daratumumab (Darzalex)	Hematology	Multiple Myeloma (recidief)	1-8-2016	200	Nog niet bekend	Uitbreiding verwacht binnen MM
Venetoclax	Oncology	- CLL (refractory/relapsed)	1-10-2016	200	Nog niet bekend	Uitbreiding verwacht naar 1e lijn CLL en ook
Obinutuzumab (Gazyva(US) / Gazyvaro (EU))	Hematology	- DLBCL - Al eerder toegelaten in andere indicaties	1-12-2016	Nog niet bekend	Circa € 65.000	Verschuiving binnen indicate en ook verwacht voor andere B-cell maligniteiten
Atezolizumab	Oncology	- NSCLC (2017) - Blaas (2017) - RCC	1-4-2017	Nog niet bekend	Nog niet bekend	
Olaparib (Lynparza)	Oncology	Ovarian cancer (first line)	Q3 2017	Nog niet bekend	Nog niet bekend	
Durvalumab	Oncology	NSCLC (multiple indicaties)	Q4 2017	Nog niet bekend	Nog niet bekend	Verwacht voor meerdere indicaties
		Head & neck cancer		Nog niet bekend	Nog niet bekend	

Tabel 3: lijst 2 - GVS & intramuraal

GVS				Intramuraal			
Product (generiek (merknaam))	Therapeutisch gebied	Indicatie(s)	Datum (verwachte goedkeuring (EMA))	Product (generiek (merknaam))	Therapeutisch gebied	Indicatie(s)	Datum (verwachte goedkeuring (EMA))
Mepolizumab (Nucala)	Pulmonary Disease, Including Asthma	Asthma - severe eosinophilic asthma	1-12-2015	Panobinostat (Farydak)	Hematology	Multiple myeloma (late stage)	28-8-2015
Migalastat hydrochloride (Galafold)	Functional Limitations and Disability	Fabry disease	1-2-2016	Sebelipase alfa (Kanuma)	Functional Limitations and Disability	Lysosomal acid lipase deficiency	1-9-2015
Conestat alfa (Ruconest)	Functional Limitations and Disability	Hereditary Angioedema (HAE) (acute attacks)	1-5-2016	Blinatumomab (Blincyto)	Hematology	Philadelphia chromosome-negative, B-cell lineage ALL	1-9-2015
Sodium zirconium cyclosifate	Functional Limitations and Disability	Hyperkalemia	Q1 2017	Cobimetinib (Cotellic)	Oncology	BRAF V600 mutation advanced+ melanoma	1-12-2015
Naloxon (Narcan / Evzio)	Substance abuse	emergency treatment for opioid overdose by nonclinicians	off-label	T-Vec	Oncology	Stage III/IV metastatic melanoma	1-1-2016
Topiramate (Topamax)	Substance abuse	alcohol use disorder	off-label	Idelalisib (Zydelig)	Hematology	- CLL (1e lijn)	Q4 2016
Zonisamide	Substance abuse	alcohol use disorder	off-label			- Al eerder toegelaten voor andere indicaties o.a. 2e lijn CLL)	
Liraglutide (Saxenda)	Obesity	Obesity	Q1 2017	Andexanet alfa (Portolo)	Cardiovascular	Antidote for NOACs	Q4 2016
Patiromer (Veltassa)	Functional Limitations and Disability	Hyperkalemia	Q1 2017	Mydicar	Cardiovascular	Heart Failure chronic, advanced	Q1 2017
L-glutamine	Functional Limitations and Disability	Prevention of vaso-occlusive sickle cell crises	Q2 2017	Reslizumab (Cinquil)	Pulmonary Disease, Including Asthma	Asthma - severe eosinophilic asthma	Q3 2017
Deflazacort	Functional Limitations and Disability	DMD	Q4 2017	Benralizumab	Pulmonary Disease, Including Asthma	Asthma	Q2 2017
Rifaximin (Xifaxan)	Peptic Ulcer Disease and Dyspepsia	Diarrhea-predominant irratble bowel syndrome	Q1 2018				
Technosphere insulin inhalation with Afrezza (insulin)	Diabetes	Type I and II diabetes mellitus	Onbekend				
Elagolix	Pregnancy	Endometriosis	Q1 2017				

\* US prijzen --- † afhankelijk van gewicht --- Δ negatief advies US (FDA)