Zorginstituut Nederland

Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport
Postbus 20350
2500 EJ ’s Gravenhage

Zorginstituut Nederland
Raad van Bestuur

Willem Dudokhof 1
1112 ZA Diemen
Postbus 320
1110 AH Diemen
www.zorginstituutnederland.nl
info@zinl.nl

T +31 (0)20 797 85 55

Contactpersoon
Horizonscan@zinl.nl

2024002843

Datum 24 januari 2024
Betreft Sluisadvies CHMP december 2023

Datum
24 januari 2024

Onze referentie 2024002843

Geachte mevrouw Helder,

Zorginstituut Nederland adviseert u over sluisplaatsing van geneesmiddelen die voldoen aan de sluiscriteria.

Het Zorginstituut heeft een risicoanalyse uitgevoerd voor de mogelijke sluisplaatsing van twee geneesmiddelen. Onderstaand treft u de conclusie aan. In de bijlage vindt u een uitgebreide onderbouwing van deze conclusie.

1 Etrasimod

Etrasimod is een nieuw geneesmiddel, geïndiceerd voor de behandeling van patiënten van 16 jaar en ouder met matig tot ernstig actieve colitis ulcerosa (CU) die onvoldoende reageren of niet meer reageren op of intolerant zijn voor conventionele behandeling of een biologisch middel. Dit geneesmiddel voldoet bij deze indicatie aan het sluiscriterium van >€20.000.000 per jaar.

2 exagamglogene autotemcel

Exagamglogene autotemcel is een nieuw geneesmiddel, geïndiceerd voor;

- de behandeling van transfusieafhankelijke β-thalassemie (TDT) bij patiënten van 12 jaar en ouder voor wie een hematopoëtische stamceltransplantatie (HSC-transplantatie) geschikt is en een humaan leukocytenantigeen (HLA)-gematchte, gerelateerde HSC-donor niet beschikbaar is;
- de behandeling van ernstige sikkelcelziekte (SCZ) bij patiënten van 12 jaar en ouder met recidiverende vaso-occlusieve crises (VOC’s) voor wie hematopoëtische stamceltransplantatie (HSC-transplantatie) geschikt is en een humaan leukocytenantigeen (HLA)-gematchte, gerelateerde HSC-donor niet beschikbaar is.

Dit geneesmiddel voldoet bij deze indicaties aan het sluiscriterium van >€20.000.000 per jaar.

Het Zorginstituut adviseert de minister genoemde geneesmiddelen daarom op te nemen in de sluis.

Hoogachtend,

Dr. Sarah Kleijnen
Directeur
Directie Ontwikkeling, Wetenschap & Internationale Zaken

Tabel 1 Risicoanalyse etrasimod

Onderwerp	Invulling	Bron
Geneesmiddel werkzame stof (merknaam)	etrasimod (Velsipity)	Velsipity | European Medicines Agency (europa.eu)
Fabrikant	Pfizer	
Indicatie CHMP	'Velsipity is indicated for the treatment of patients 16 years of age and older with moderately to severely active ulcerative colitis (UC) who have had an inadequate response, lost response, or were intolerant to either conventional therapy, or a biological agent'.	Velsipity | European Medicines Agency (europa.eu)
Indicatie in het Nederlands	Velsipity is geïndiceerd voor de behandeling van patiënten van 16 jaar en ouder met matig tot ernstig actieve colitis ulcerosa (CU) die onvoldoende reageren of niet meer reageren op of intolerant zijn voor conventionele behandeling of een biologisch middel.	Pfizer
Datum positieve CHMP	14 december 2023	Meeting-highlights-committee-medicinal-products-human-use-chmp-11-14-december-2023-0
Datum handelsvergunning EC	Nog niet bekend	
Aangekondigd als sluiskandidaat	Ja	Sluiskandidatenbrief eerste helft 2024
Patiëntvolume	Er zijn in Nederland ongeveer 90.000 patiënten met een chronische darmontsteking (1). Hiervan heeft ongeveer de helft Colitis Ulcerosa (2). Doorgaans wordt de behandeling gestart met een biologisch geneesmiddel (TNF- alfaremmer). Daarna worden als vervolgbehandeling andere geneesmiddelen overwogen (3). In 2022 kregen 3.259 patiënten een geneesmiddel voorgeschreven anders dan een TNF-alfaremmer. Deze geneesmiddelen zijn geregistreerd voor een vergelijkbare indicatie als die van etrasimod. Deze patiënten komen in potentie ook in aanmerking voor behandeling met etrasimod (4). **Wij gaan uit van een patiëntvolume van 3.259 patiënten.**	1. Crohn & Colitis NL 2. Crohn & Colitis NL 3. MDL 4. Declaratiedata 2022
Behandelduur	Chronisch	Fabrikant
Dosering	Eenmaal daags een tablet van 2 mg	Fabrikant
Behandelkosten	De prijs van etrasimod is €949,99 per verpakking van 28 tabletten. Per jaar (365 dagen) is dit €12.383,80 per patiënt. Op basis hiervan is berekend dat de maximale macrokosten per jaar, uitgaande van 3259 patiënten neerkomen op 3.259 x €12.383,80= €40.358.798,38. **We gaan uit van maximale macrokosten van €40.358.798,38 per jaar.**	Fabrikant
Sluis n.a.v €50.000/€10mln of €20mln criterium	Het maximale macrokostenbeslag is meer dan €20.000.000 per jaar. Daarmee voldoet etrasimod bij deze indicatie aan de criteria voor de sluis.	
Aanvullende opmerkingen	Geen indicatieuitbreidingen verwacht in de komende twee jaar	Pfizer

Tabel 2 Risicoanalyse exagamglogene autotemcel

Onderwerp	**Invulling**	**Bron**
Geneesmiddel werkzame stof (merknaam)	exagamglogene autotemcel (Casgevy)	Casgevy | European Medicines Agency (europa.eu)
Fabrikant	Vertex	
Indicatie CHMP	Casgevy is indicated for the treatment of transfusion-dependent β-thalassemia (TDT) in patients 12 years of age and older for whom haematopoietic stem cell (HSC) transplantation is appropriate and a human leukocyte antigen (HLA)-matched related HSC donor is not available and for the treatment of severe sickle cell disease (SCD) in patients 12 years of age and older with recurrent vaso-occlusive crises (VOCs) for whom haematopoietic stem cell (HSC) transplantation is appropriate and a human leukocyte antigen (HLA)-matched related HSC donor is not available.	Casgevy | European Medicines Agency (europa.eu)
Indicatie in het Nederlands	β-thalassemie Casgevy is geïndiceerd voor de behandeling van transfusie afhankelijke β-thalassemie (TDT) bij patiënten van 12 jaar en ouder voor wie een hematopoëtische stamcel-transplantatie (HSC-transplantatie) geschikt is en een humaan leukocytenantigeen (HLA)-gematchte, gerelateerde HSC-donor niet beschikbaar is. Sikkelcelziekte Casgevy is geïndiceerd voor de behandeling van ernstige sikkelcelziekte (SCZ) bij patiënten van 12 jaar en ouder met recidiverende vaso-occlusieve crises (VOC's) voor wie hematopoëtische stamceltransplantatie (HSC-transplantatie) geschikt is en een humaan leukocytenantigeen (HLA)-gematchte, gerelateerde HSC-donor niet beschikbaar is.	Vertex, officiële tekst SmPc 4.1
Datum positieve CHMP	14 december 2023	Meeting highlights from the Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) 11-14 December 2023 | European Medicines Agency (europa.eu)
Datum handelsvergunning EC	Nog niet bekend	
Aangekondigd als sluiskandidaat	Ja	Sluiskandidatenbrief eerste helft 2024
Patiëntvolume	In Nederland zijn ongeveer 150 tot 200 patiënten bekend met beta-thalassemie (TDT). Ongeveer een derde (50 – 66) hiervan komt in aanmerking voor allogene stamceltransplantatie. Een deel hiervan zal geen geschikte donor vinden en daarom in aanmerking komen voor deze behandeling. In het pakketadvies Zynteglo is een inschatting gemaakt dat dit 15 patiënten betreft.	Pakketadvies Zynteglo Open DIS data

	We gaan uit van een maximaal patiëntvolume bij TDT van 15. Er zijn mogelijk 2.000 patiënten in Nederland met sikkelcelanemie (SCD). Een deel hiervan komt in aanmerking voor stamceltransplantatie. Hoeveel patiënten dit zijn en hoeveel hiervan geen geschikte donor kunnen vinden, is niet bekend. Aangezien exagamglogene autotemcel al op basis van de eerste indicatie (TDT) voldoet aan brede uitsluiting is het patiëntvolume van de indicatie SCD niet verder uitgewerkt in de berekening hieronder.	
Behandelduur	Het betreft een eenmalige behandeling	Fabrikant
Dosering	nvt	
Behandelkosten	In de Verenigde Staten wordt een prijs genoemd van $2.2 miljoen per eenmalige behandeling, oftewel €2 miljoen. Voor 15 patiënten is het macrokostenbeslag 15 x €2 miljoen = €30.000.000.	https://www.pharmaceutical-technology.com/news/vertex-secures-chmp-approval-for-casgevy-approval-in-europe/?cf-view
Sluis n.a.v €50.000/€10mln of €20mln criterium	Het maximale macrokostenbeslag is meer dan €20 miljoen per jaar. Daarmee voldoet exagamglogene autotemcel aan de criteria voor de sluis voor beta-thalassemie, sikkelcelanemie en toekomstige indicaties.	
Aanvullende opmerkingen	Geen indicatieuitbreidingen verwacht in de komende jaren	