Q&A's over Orkambi

Op 23 mei is besloten dat het middel Orkambi niet vergoed kan worden vanuit het basispakket. Dit is voor iedereen een bijzonder betreurenswaardige situatie. In het bijzonder voor de patiënten en hun omgeving. Hieronder vindt u meer informatie over het middel en de redenen waarom we helaas tot dit besluit hebben moeten komen.

Wat is Orkambi?

Orkambi is een middel voor de behandeling van patiënten met cystische fibrose (CF), ook wel bekend als mucoviscidose of 'taaislijmziekte.'

Voor wie is het bedoeld?

Orkambi is in Europa alleen geregistreerd voor kinderen vanaf 12 jaar en volwassenen. Het middel is niet bedoeld voor alle patiënten met CF. Het is voor een specifieke groep patiënten met een bepaalde genetische mutatie, in dit geval de meest voorkomende mutatie. In Nederland zijn er ongeveer 750 mensen met deze vorm van CF. Voor deze groep patiënten is Orkambi het enige middel.

Wat doet het?

Er is volgens het Zorginstituut sprake van een relatief beperkte verbetering op de longfunctie. Daarnaast hebben patiënten ook minder last van exacerbaties (verergeringen longklachten).

Om hier meer zekerheid over de werking te krijgen, zijn volgens het Zorginstituut meer lange termijn gegevens nodig.

Kijk hier voor het volledige advies van het Zorginstituut: https://www.zorginstituutnederland.nl/publicaties/adviezen/2016/12/15/herbeoordeling-lumacaftor-ivacaftor-orkambi-bij-cystische-fibrose-cf-bij-patienten-die-homozygoot-zijn-voor-de-f508del-mutatie-in-het-cftr-gen

Wat kost Orkambi?
De prijs die de fabrikant vraagt is ongeveer € 170.000 per patiënt per jaar.
De totale kosten voor Nederland worden door het Zorginstituut geschat tussen de € 84 en € 125 miljoen per jaar.

Wat kost het om Orkambi te maken?
De ontwikkelings- en productiekosten van Orkambi zijn niet bekend. De fabrikant heeft het Zorginstituut hier geen inzicht in gegeven. Ook na de onderhandelingen is er onvoldoende zicht op de onderbouwing van de prijs, dan wel inzage in de gemaakte ontwikkelings- en productiekosten.

Waarom zijn we gaan onderhandelen?
Volgens het Zorginstituut is het middel voor de gevraagde prijs van €170.000 per jaar niet kosteneffectief. Daardoor zou opname in het basispakket tegen de huidige prijs leiden tot verdringing van andere zorg wat in zijn algemeenheid tot gezondheidsverlies leidt. Het Zorginstituut heeft de minister daarom geadviseerd om te onderhandelen over Orkambi met het doel om tot een kosteneffectieve prijs te komen.

Waarom zijn we er niet uitgekomen?
Deze onderhandelingen zijn beëindigd, omdat het bereiken van een aanvaardbare prijs niet mogelijk bleek.

Voor welke prijs zou het wel vergoed worden?
Het Zorginstituut heeft berekend dat de prijs met 82% omlaag moet om het kosteneffectief te maken. Welke kortingspercentages geboden en gevraagd werden in de onderhandeling kunnen we helaas niet openbaar maken, maar als de fabrikant met een bod komt dat wel aanvaardbaar is, staan we daar uiteraard voor open.

Wat betekent dit voor patiënten?

Voor de patiënten met CF bij wie het middel werkt, is dit verschrikkelijk. Zij blijven verstoken van de positieve effecten die het middel mogelijk voor hen heeft. Dit maakt het dan ook bijzonder spijtig dat we met de fabrikant geen overeenstemming hebben kunnen bereiken over de prijs.

Hoe nu verder?
We hopen dat de fabrikant bereid is met de prijs te zakken tot een aanvaardbaar niveau. Tot die tijd geldt helaas dat patiënten dit middel niet vergoed krijgen.

Wat heeft het zorginstituut precies gezegd over Orkambi?

- Volgens het Zorginstituut heeft Orkambi een therapeutische meerwaarde ten opzichte van de huidige standaard van zorg. Er is volgens het Zorginstituut sprake van een relatief beperkte verbetering van de longfunctie. Daarnaast is er volgens het Zorginstituut sprake van een afname van het aantal exacerbaties (verergering van longklachten) en de daaraan gerelateerde ziekenhuisopnames. Volgens het Zorginstituut is dit behandeleffect mogelijk klinisch relevant maar om hier meer zekerheid over te krijgen zijn meer lange termijn gegevens nodig.

- De meerderheid van de patiënten reageert niet op de behandeling. Het is van belang om deze groep voor het starten van behandeling te kunnen identificeren. De diagnostische test die daarvoor noodzakelijk is, is nog niet gevalideerd.

- Onder bepaalde voorwaarden kan een hogere kosteneffectiviteitsratio acceptabel zijn. Dat is bijvoorbeeld het geval als er mogelijkheden zijn deze kosteneffectiviteit positief te beïnvloeden. Mede gezien het vorige punt is een dergelijk vooruitzicht nu niet aanwezig.

- Het Zorginstituut verwacht van de fabrikant dat deze transparant is over de wijze waarop de prijs van Orkambi tot stand is gekomen. Deze transparantie is echter, ondanks een verzoek daartoe, niet geboden.
- De geraamde meerkosten in Nederland zijn aanzienlijk, namelijk tussen € 84 - € 125 miljoen (per jaar). De verwachte gemiddelde behandelkosten per jaar (per patiënt) bedragen circa € 170.000. De behandelduur is levenslang.
- Vergoeding van Orkambi vanuit het basispakket leidt tot impliciete verdringing van kosteneffectievere zorg. Op populatieniveau leidt dit tot gezondheidsverlies.