

Kosteneffectiviteit van weesgeneesmiddelen

Tim Kanters, PhD

institute for
**Medical
Technology
Assessment**

Dedicated to improving decision making in
healthcare

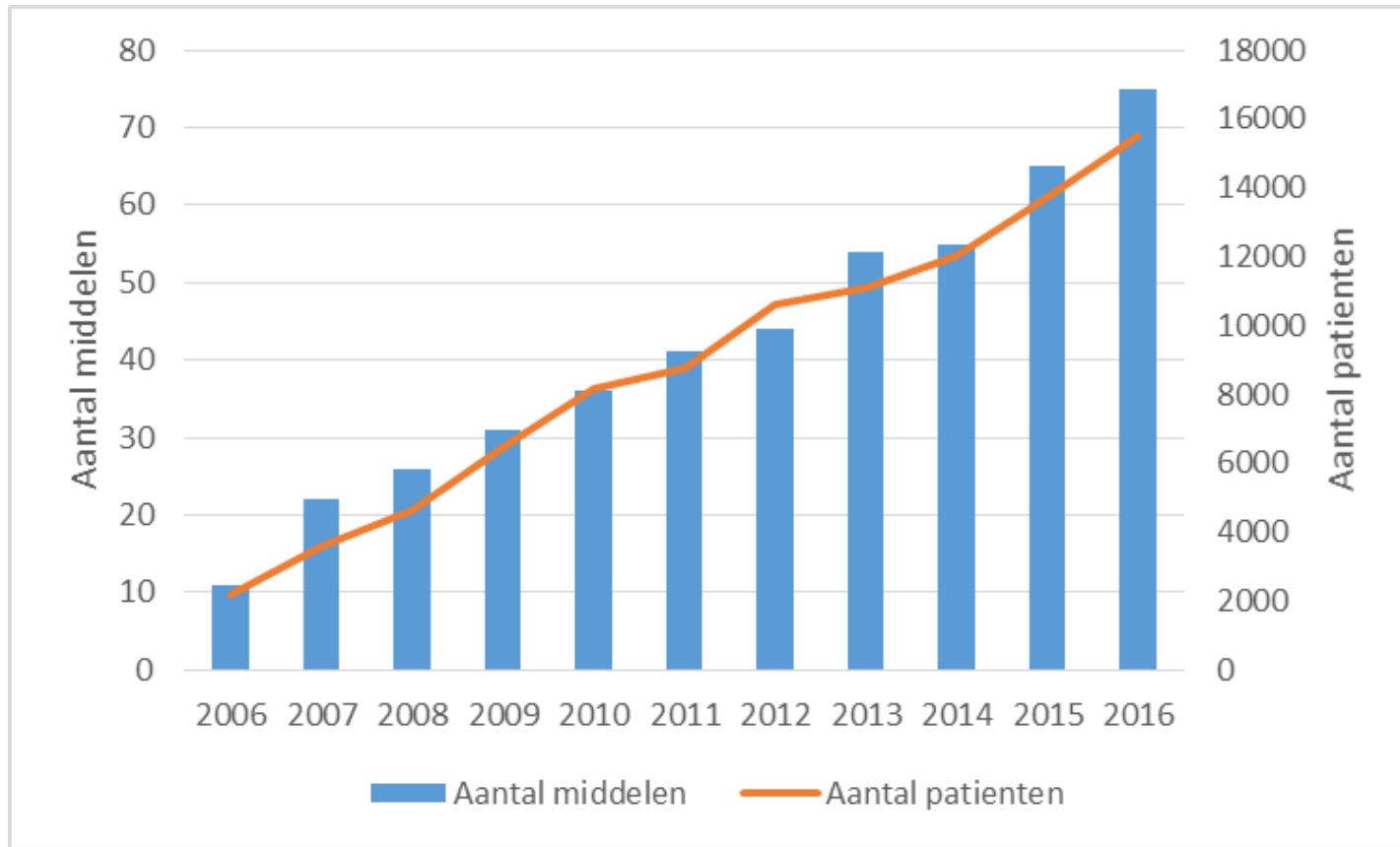
**Erasmus
University
Rotterdam**

Disclosure

- Geen directe personele financiële belangen
- Research grants & contracten via iMTA en EUR in afgelopen 3 jaar: Roche, Daiichi Sankyo, Novartis, NovoNordisk, NVDV
- Government grants: Zorginstituut, NICE, ZonMw, AR
- Afname bereidheid te betalen

Ontwikkeling aantal weesgeneesmiddelen, gebruikers en uitgaven

Gebruik weesgeneesmiddelen

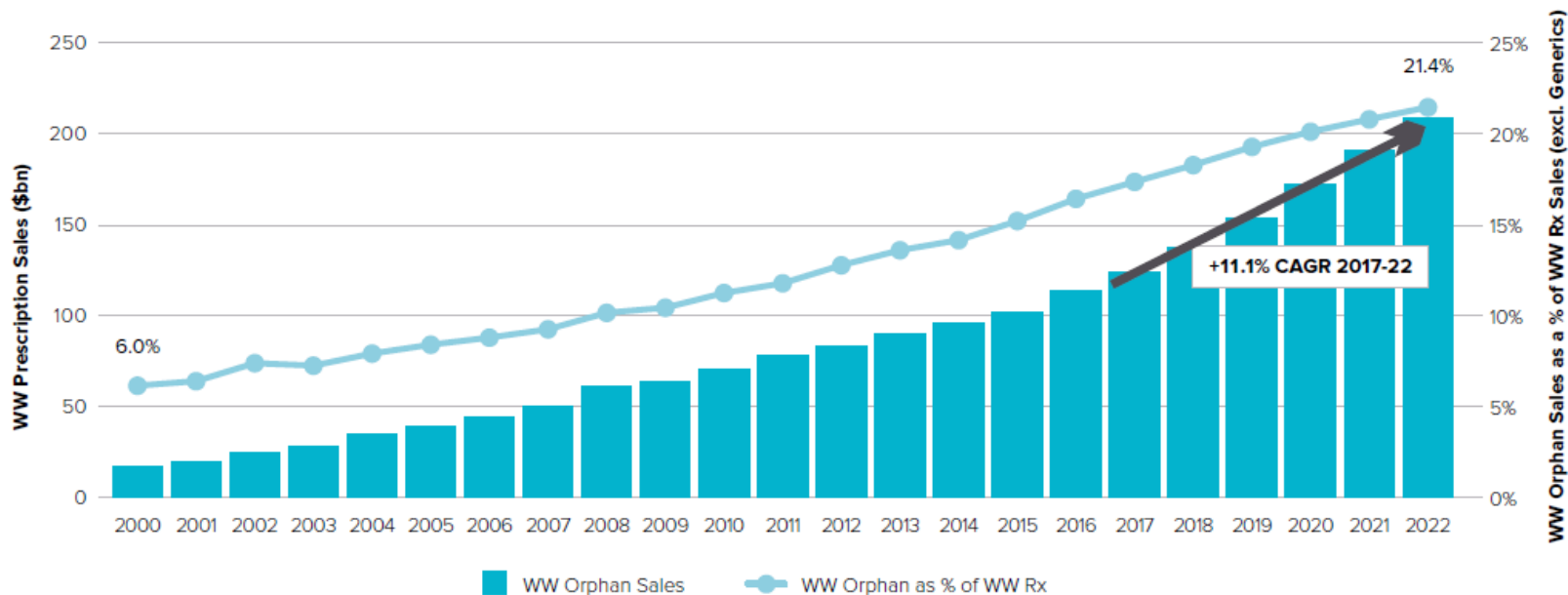


Bron 2006-2011: Kanters et al. (2013) Orphan drugs expenditures in the Netherlands in the period 2006-2012. *Orphanet J Rare Dis.* 9: 154.
Bron 2012-2016: Zorginstituut (2018) Monitor weesgeneesmiddelen in de praktijk 2018

Uitgaven weesgeneesmiddelen

Worldwide Orphan Drug Sales & Share of Prescription Drug Market (2000-2022)

Source: EvaluatePharma* February 2017



Vergoeding weesgeneesmiddelen

Discrete choice experiment

Middel X, Ziekte 1

- Budget impact: 10M
- Aantal patienten: 100
- Kosten/patient: 100.000
- Geen behandelalternatieven
- Levensbedreigende ziekte
- Gem. leeftijd populatie <6 jaar
- Zeer effectief geneesmiddel
- ICER: 200K/QALY

Middel Y, Ziekte 2

- Budget impact: 10M
- Aantal patienten: 1,000
- Kosten/patient: 10.000
- Geen behandelalternatieven
- Levensbedreigende ziekte
- Gem. leeftijd populatie <6 jaar
- Zeer effectief geneesmiddel
- ICER: 20K/QALY

Ga naar www.menti.com en gebruik code 90 37 69 om te stemmen

Noodzaak voor afwegingen

- Gebrek aan behandelalternatieven
- Ernstige/levensbedreigende ziektes
- Ziektes in kinderen
- (Zeer) effectieve middelen
- Hoge kosteneffectiviteitsratios
- Zeldzaamheid?



Toekomst beoordeling WGM

Toekomst beoordeling WGM

Noodzaak voor aanpassingen in wet/regelgeving

- Toename kosten weesgeneesmiddelen
- Afname bereidheid te betalen

Aanpassingen in beoordeling

- Transparantie beoordeling weesgeneesmiddelen
- Internationale samenwerking
- Reduceren prijzen na marktexclusiviteit in KEA

Aanpassingen beoordeling WGM

Transparantie beoordeling

- Mate van bewijs
 - Methoden in principe gelijk
 - Accepteren kleinere klinische trials
 - Grotere onzekerheid
- Bereidheid hogere accepteren hogere ICERs
 - Zeldzaamheid
 - Beperkt bewijs
 - Andere factoren

Aanpassingen beoordeling WGM

Internationale samenwerking

- Klinisch onderzoek
- Kosteneffectiviteitsonderzoek
- Beoordeling

Aanpassingen beoordeling WGM

Prijzreductie na marktclusiviteit in KEA

- In KEA modellen competitie meenemen (voorstel Hoyle 2008, 2011)
- Praktisch moeilijk uitvoerbaar
- Voor WGM wellicht extra relevant
 - Voorbeelden: Orkambi & Myozyme

Aanpassingen beoordeling WGM

Prijsreductie na marktexclusiviteit in KEA

- Voorbeeld Orkambi (CF)
 - Base case Type 1: 360.000/QALY
 - Patent loopt af na 12 jaar
 - Scenario analyses
 - » 70% reductie na patentafloop: 262.000/QALY
 - » 80% reductie na patentafloop : 248.000/QALY
 - » 90% reductie na patentafloop : 233.000/QALY

Aanpassingen beoordeling WGM

Prijsreductie na marktexclusiviteit in KEA

- Voorbeeld Myozyme (Ziekte van Pompe – klassiek infantiele vorm)
 - Marktexclusiviteit tot maart 2016
 - ZIN beoordeling zomer 2011
 - Marktexclusiviteit eindigt na ~5 jaar
 - Base case schatting: 1.044.000/QALY
 - Additionele analyses
 - » 70% reductie na exclusiviteit: 456.000/QALY
 - » 80% reductie na exclusiviteit : 373.000/QALY
 - » 90% reductie na exclusiviteit : 290.000/QALY

Aanpassingen beoordeling WGM

Prijsreductie na marktexclusiviteit in KEA

- Voorbeeld Myozyme (Ziekte van Pompe – late-onset vorm)
 - Marktexclusiviteit tot maart 2016
 - ZIN beoordeling zomer 2011
 - Marktexclusiviteit eindigt na ~5 jaar
 - Base case schatting: 3.195.000/QALY
 - Additionele analyses
 - » 70% reductie na exclusiviteit: 1.701.000/QALY
 - » 80% reductie na exclusiviteit : 1.508.000/QALY
 - » 90% reductie na exclusiviteit : 1.316.000/QALY

Aanpassingen beoordeling WGM

Prijsreductie na marktexclusiviteit in KEA: Conclusie

- Meenemen patentafloop verlaagt ICERs voor weesgeneesmiddelen
- Middelen nog steeds niet kosteneffectief bij reguliere drempelwaardes
 - Mogelijk toch maatschappelijk aanvaardbaar
- Toetreding generieke middelen gebeurt niet/beperkt bij WGM
- Voorwaarde: vastleggen korting na patentafloop
 - R&D is terugverdiend
 - ICER betere afspiegeling werkelijkheid
 - Beperking impact zorgkosten



institute for
**Medical
Technology
Assessment**

Dedicated to improving decision making in
healthcare

**Erasmus
University
Rotterdam**