



Aan

Minister VWS

Deadline: 11 april 2023

# nota

Kamerbrief vergoeding Libmeldy

## TER BESLISSING

**Directoraat Generaal  
Curatieve Zorg**  
Directie Geneesmiddelen en  
Medische Technologie  
Buro Financiële  
Arrangementen  
Geneesmiddelen

## Opgesteld door

[Redacted]

[Redacted]

## Datum

12 maart 2023

## Kenmerk

3571990-1046711-GMT

## Bijlage(n)

1

### 1. Aanleiding

- Libmeldy (stofnaam: atidarsagene autotemcel) is een sluisgeneesmiddel dat is uitgesloten van het basispakket voor de indicatie metachromatische leukodystrofie (MLD). Libmeldy is een eenmalige gentherapie die kan worden ingezet bij kinderen met MLD; een zeldzame en ernstige stofwisselingsziekte.
- De onderhandelingen hebben in het Beneluxa-samenwerkingsverband plaatsgevonden. België, Ierland en Nederland hebben deelgenomen. De onderhandelingen hebben niet tot een akkoord geleid. Dit betekent dat de leverancier (Orchard Therapeutics B.V.) niet bereid is om een afspraak te maken die de deelnemende landen aanvaardbaar achten.
- Consequentie is dat Libmeldy niet wordt opgenomen in het basispakket voor de presymptomatische patiënten en ook niet voorwaardelijk toegelaten voor de symptomatische patiënten.
- Middels bijgevoegde brief licht u de Tweede Kamer in over de onderhandelingen en de gevolgen daarvan voor de vergoeding van Libmeldy vanuit de zorgverzekering.

### 2. Geadviseerd besluit

Wij adviseren u om bijgevoegde brief naar de Tweede Kamer te sturen.

De deadline voor het besluit is 11 april 2023. Bijgevoegde brief dient op 12 april 2023 na 14:00 te worden verzonden, op het moment dat de betrokken landen gezamenlijk communiceren.

### 3. Kernpunten

- Het Zorginstituut heeft Libmeldy beoordeeld en concludeert dat Libmeldy voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk voor presymptomatische patiënten. Voor de vroeg-symptomatische patiënten kan het Zorginstituut op basis van de studiedata niet concluderen dat behandeling behoort tot de stand van wetenschap en praktijk.
- Een behandeling met Libmeldy kost € 2,9 miljoen per patiënt. De cumulatieve totale budget impact over drie jaar is circa € 14 miljoen.
- De kosteneffectiviteitsramingen voor de presymptomatische patiënten liggen ver boven de voor deze aandoening relevant geachte referentiewaarde van € 80.000 per QALY. Het Zorginstituut geeft aan dat gezien het gebrek aan lange termijn data, het aannemelijk is dat voor



kinderen tot en met de leeftijd van 30 maanden en voor kinderen vanaf 30 maanden tot en met 7 jaar, een korting nodig van respectievelijk 60% en 85% op de openbare lijstprijs van Libmeldy om op een kosteneffectief prijsniveau uit te komen. De Adviescommissie Pakket (ACP) geeft argumenten waarom in dit geval een prijs boven de referentiewaarde van € 80.000 per QALY maatschappelijk verantwoord is.

- Het Zorginstituut adviseert u om Libmeldy voor de presymptomatische patiënten alleen op te nemen in het verzekerde pakket als een prijsreductie wordt bereikt en pay-for-performance afspraken worden gemaakt.
- Het Zorginstituut geeft in het advies aan te bekijken of een traject van voorwaardelijke toelating een geschikte route zou zijn om Libmeldy beschikbaar te maken voor vroeg-symptomatische patiënten.
- Op basis van het advies van het Zorginstituut zijn prijsonderhandelingen met de leverancier van Libmeldy gestart. In dit geval is in Beneluxa-verband samen opgetrokken met België en Ierland. Deze onderhandelingen hadden tot doel om voor de drie landen tot een aanvaardbare prijs voor Libmeldy te komen. De onderhandelingen hebben echter niet geleid tot een akkoord.
- Dit betekent dat Libmeldy niet wordt opgenomen in het basispakket voor de presymptomatische patiënten en ook niet voorwaardelijk toegelaten voor de vroeg-symptomatische patiënten.

**Datum**

12 maart 2023

**Kenmerk**

3571990-1046711-GMT

#### 4. Toelichting

*a. Draagvlak politiek*

- Indien Libmeldy niet wordt opgenomen in het basispakket zal een kwetsbare patiëntengroep geen verzekerde toegang krijgen tot een veelbelovende behandeling.
- Er is draagvlak voor opname van alleen kosteneffectieve behandelingen in het basispakket. Voor Libmeldy wordt het financieel risico, dat hier ontstaat door de eenmalige hoge kosten bij start van de behandeling in combinatie met de onzekerheid over de effecten op lange termijn, niet ondervangen met de afspraak die de leverancier voorstelt.
- De SER en WRR hebben in hun rapporten onder meer geconcludeerd dat onder regie van de overheid scherpere pakketkeuzes gemaakt moeten worden zodat iedereen, nu en in de toekomst, de zorg ontvangt die nodig is. In het IZA is onder meer afgesproken om de toets op het basispakket te verbeteren en te verbreden. U heeft op 2 december 2022 uw visie gedeeld met de Tweede Kamer hoe de toets op het basispakket te verbeteren en verbreden ('Hoofdlijnen verbeteren en verbreden toets op het basispakket').
- Door alleen kosteneffectieve zorg op te nemen in het basispakket, wordt voorkomen dat een (dure) interventie onnodig andere vormen van zorg verdringt. Hiervoor wilt u nog meer gewicht geven aan het pakketcriterium effectiviteit en wordt gezien of kosteneffectiviteit opgenomen kan worden als wettelijk wegingscriterium. Wettelijke verankering van kosteneffectiviteit als wegingscriterium kan het huidige systeem versterken door het verder borgen van de politieke en maatschappelijke steun voor de toepassing van dit criterium.



*b. Draagvlak maatschappelijk en eenduidige communicatie*

MLD is een zeldzame en ernstige ziekte die grote gevolgen heeft voor de patiënten en de naaste omgeving van patiënten. Het gaat om jonge kinderen die geen alternatieve behandelopties hebben en die zonder behandeling jong komen te overlijden. Door een behandeling met Libmeldy kan (verdere) achteruitgang van patiënten mogelijk worden voorkomen. Met deze uitkomst van de onderhandeling komt er vooralsnog geen behandelingsmogelijkheid beschikbaar. Dit is een uiterste teleurstellend resultaat voor patiënten, families van patiënten en behandelaren.

**Datum**

12 maart 2023

**Kenmerk**

3571990-1046711-GMT

*c. Financiële en personele gevolgen*

Met het niet opnemen van Libmeldy in het verzekerde pakket gaan geen meerkosten gepaard.

*d. Juridische aspecten haalbaarheid*

Dat Libmeldy niet wordt opgenomen in het basispakket is verdedigbaar bij een coherente en consistente toepassing van het beleid omtrent pakketopname en voorwaardelijke toelating na prijsonderhandelingen, rekening houdend met het advies van het Zorginstituut. Indien van het beleid wordt afgeweken, ontstaat het risico van precedentwerking.

*e. Afstemming (intern, interdepartementaal en met veldpartijen)*

Intern afgestemd met directies GMT, Z en WJZ.

*f. Gevolgen administratieve lasten*

N.v.t.

*g. Toezeggingen*

In deze brief geeft u aan dat u uitvoering heeft gegeven aan de motie van de leden Van den Hil en Thielen (VVD), die u hebben verzocht om versnelling aan brengen in het praktijkonderzoek naar pay-for-performance en nog dit jaar [2022] te starten met een pilot. Deze pilot heeft niet tot resultaat geleid.

*h. Fraudetoets*

N.v.t.

**5. Informatie die niet openbaar gemaakt kan worden**

Tot personen herleidbare gegevens zijn onleesbaar gemaakt vanwege de bescherming van de persoonlijke levenssfeer.