
Eculizumab

“Veilig en verantwoord gebruik
Eculizumab voor aHUS patiënten”

15 juni 2016

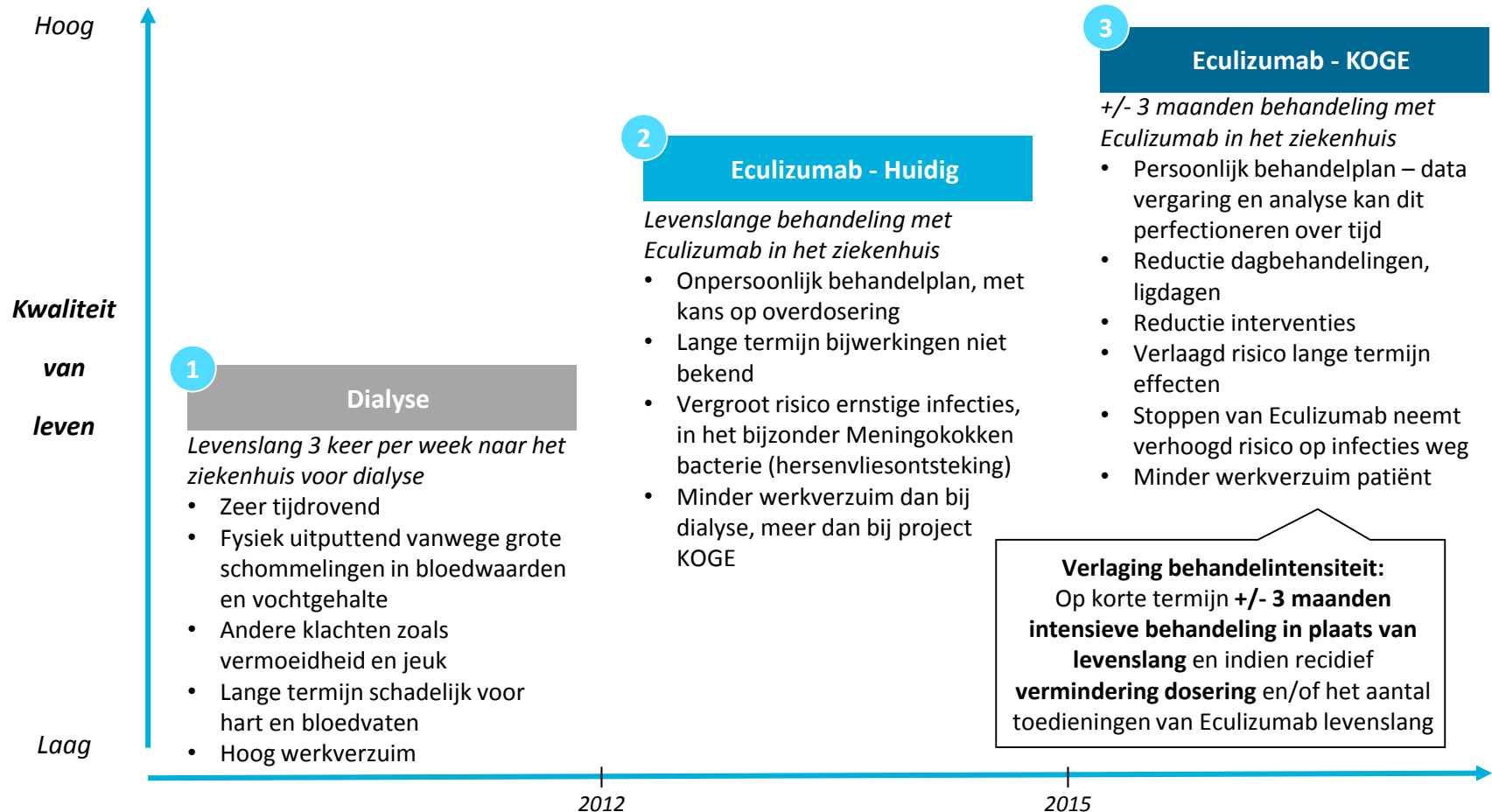
In KOGÉ slaan arts, patiënt en verzekeraar handen ineen om kwaliteit van zorg te verbeteren & kosten te reduceren

- I Eculizumab verbetert de **kwaliteit van leven** van patiënten met aHUS drastisch
 - Tot 2007 was de enige therapie bij de levensbedreigende ziekte aHUS dialyse, een tijdrovende en fysiek uitputtende therapie, waarbij de kwaliteit van leven van de patiënt in grote mate wordt aangetast
 - Eculizumab is een nieuw en heel effectief geneesmiddel, waardoor voor bijna alle aHUS patiënten dialyse niet langer noodzakelijk is
 - Eculizumab wordt nu volgens protocol van EMA en FDA voorgeschreven in een standaarddosering voor de gehele levensduur van de patiënt, hiervoor is echter geen solide onderbouwing
 - Kernbevinding van een pilotstudie is dat de dosering bij 80% van de patiënten na 3 maanden stopgezet kan worden en verwachting is dat bij een recidief levenslange behandeling kan volstaan met lagere dosering, dit verbetert de kwaliteit van leven van de patiënt en reduceert de kosten

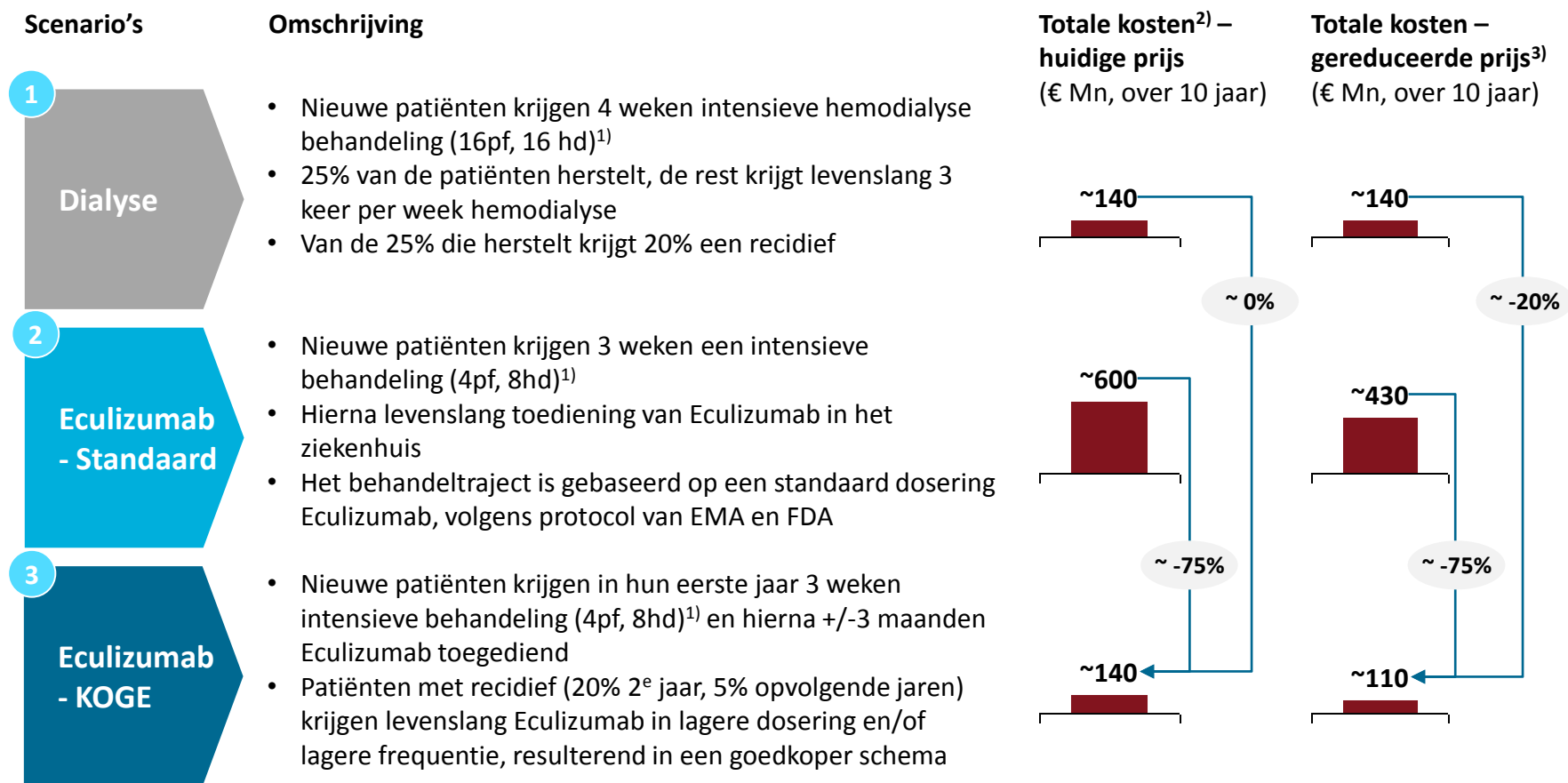
- II Behandeling volgens richtlijnen van **project KOGÉ reduceert kosten** op lange termijn met ~75%
 - Radboudumc en VGZ willen dit behandeltraject optimaliseren: samen zijn in 2015, als onderdeel van het Betaalbaar Beter programma, project KOGÉ gestart: Kwalitatief Optimaal Gebruik Eculizumab
 - In project KOGÉ ontvangen patiënten het medicament +/- 3 maanden in plaats van levenslang en bij een recidief wordt de behandelintensiteit verlaagd (met inzet van individuele farmacokinetiek, Eculizumab spiegels en adequate functietesten van complementsysteem). Dit resulteert in:
 - Verantwoorde en geïndividualiseerde patiëntenzorg
 - Kostenbesparing (€300 – 500 k per patiënt per jaar)

- III Project KOGÉ heeft de potentie om de zorg voor aHUS patiënten **patiëntvriendelijker** te maken en voor alle zorgverzekeraars **goedkoper**, daarom vragen wij **Zorgverzekeraars Nederland** te delen in de kosten een protocol te ontwikkelen, met daarin opgenomen richtlijnen voor optimale behandeling van patiënten met aHUS, gericht op minimale kosten van Eculizumab en **maximale effectiviteit en veiligheid**
 - Radboudumc is het landelijk centrum waar alle aHUS patiënten voor start behandeling worden aangemeld, per jaar is er een instroom van gemiddeld 20 nieuwe (eerste keer gediagnosticeerd met aHUS) patiënten vanuit het gehele land
 - Voorstel is om de investering te verdelen binnen zorgverzekeraars naar rato marktaandeel, maar het is aan ZN hier de juiste invulling aan te geven

Het project KOGÉ behandeltraject verhoogt op korte en lange termijn de kwaliteit van leven van aHUS patiënten



Tevens biedt het op lange termijn kosten besparingen van ~75% ten opzichte van het huidige behandeltraject



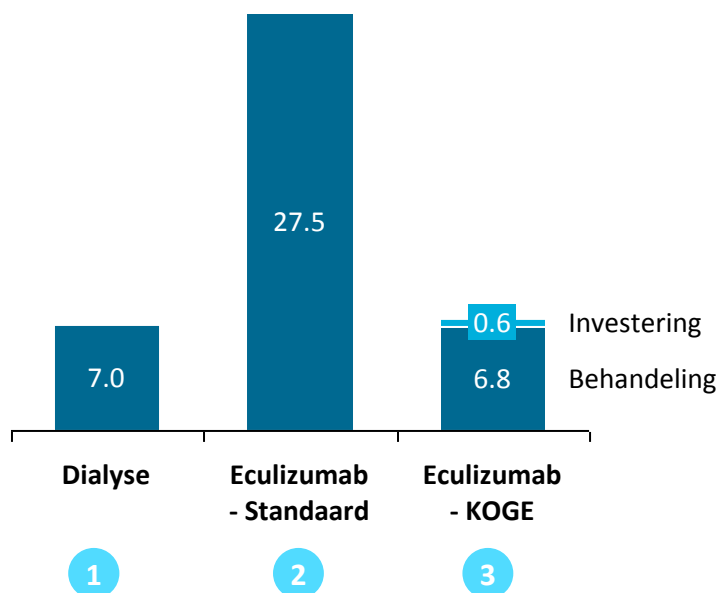
1) pf:= plasmafereze, hd:= hemodialyse

2) Elk behandeltraject gaat uit van 20 nieuwe patiënten per jaar vanuit het gehele land– meer informatie met betrekking tot de behandeltrajecten in de Appendix

3) Indien na succesvolle onderhandeling met producent 30% prijsreductie wordt gerealiseerd

Om het beoogde resultaat te behalen vragen wij een investering van €500-600 k per jaar, voor 4 jaar lang

Gemiddelde totale kosten per jaar - de eerste 4 jaar¹⁾
(2016 - 2020, €Mn/jaar)



- **Investering is nodig** om een persoonlijk protocol te ontwikkelen met nieuwe richtlijnen voor optimale behandeling met Eculizumab
 - Regelmatige bloed afname (voor bepaling Eculizumabspiegels en complementactiviteit)
 - Ontwikkeling farmacokinetisch model
 - Extra patiënt controles om veiligheid te allen tijden te waarborgen
- Dit initiatief vraagt een investering van **€500-600 k per jaar**, voor 4 jaar
 - €400 k voor een multidisciplinair team om goede monitoring en evaluatie te waarborgen (bestaande uit (kinder-)nefrologen, physician assistant, (ziekenhuis-)apothekers, laboratoriumspecialist)
 - €100-200 k voor geavanceerde farmacologische begeleiding, zoals materiaal-assays, monsters farmacologie en data management
 - Voorstel is om de investering te verdelen binnen zorgverzekeraars naar rato marktaandeel, zodat niet op patiëntniveau gekeken hoeft te worden, maar het is aan ZN hier de juiste invulling aan te geven
- In de toekomst verwachten wij bovenop de besparing van 75% verdere reductie van de kosten en zien wij **additioneel potentieel**
 - Verdere behandel reductie bij recidieven
 - Nog persoonlijker behandelplan bij verdere data vergaring en analyse van huidige patiënten
 - Additionele besparingen door prijsreductie Eculizumab, bij succesvolle onderhandelingen met producent
 - Bij succes kan dit model worden geconverteerd naar een model voor patiënten met de ziekte PNH

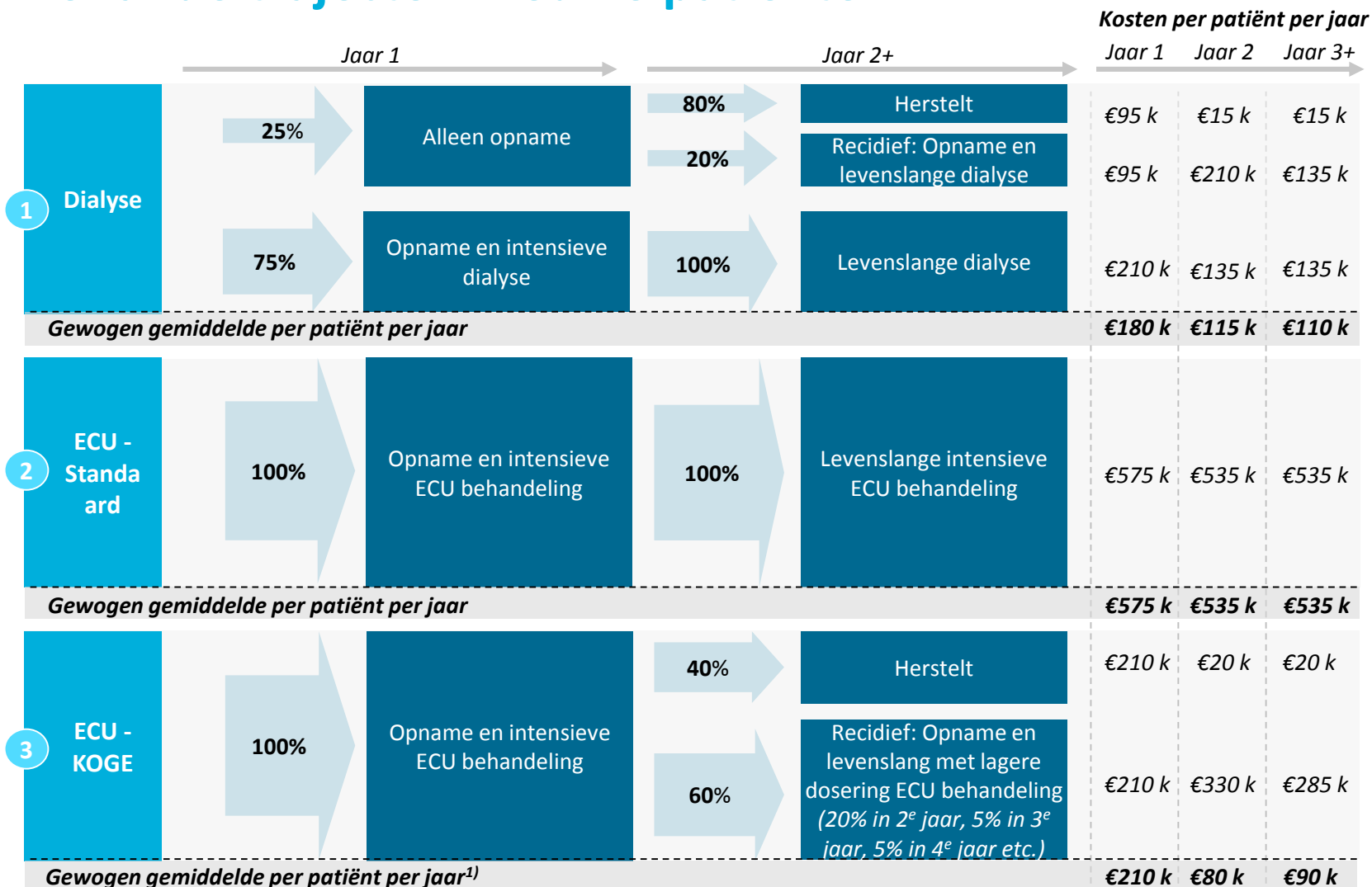
1) Elk behandeltraject gaat uit van 20 nieuwe patiënten per jaar vanuit het gehele land – meer informatie over de behandeltrajecten in de Appendix

Appendix

Project KOGÉ: kwalitatief verantwoorde en betaalbare zorg voor patiënten met aHUS nu en in de toekomst

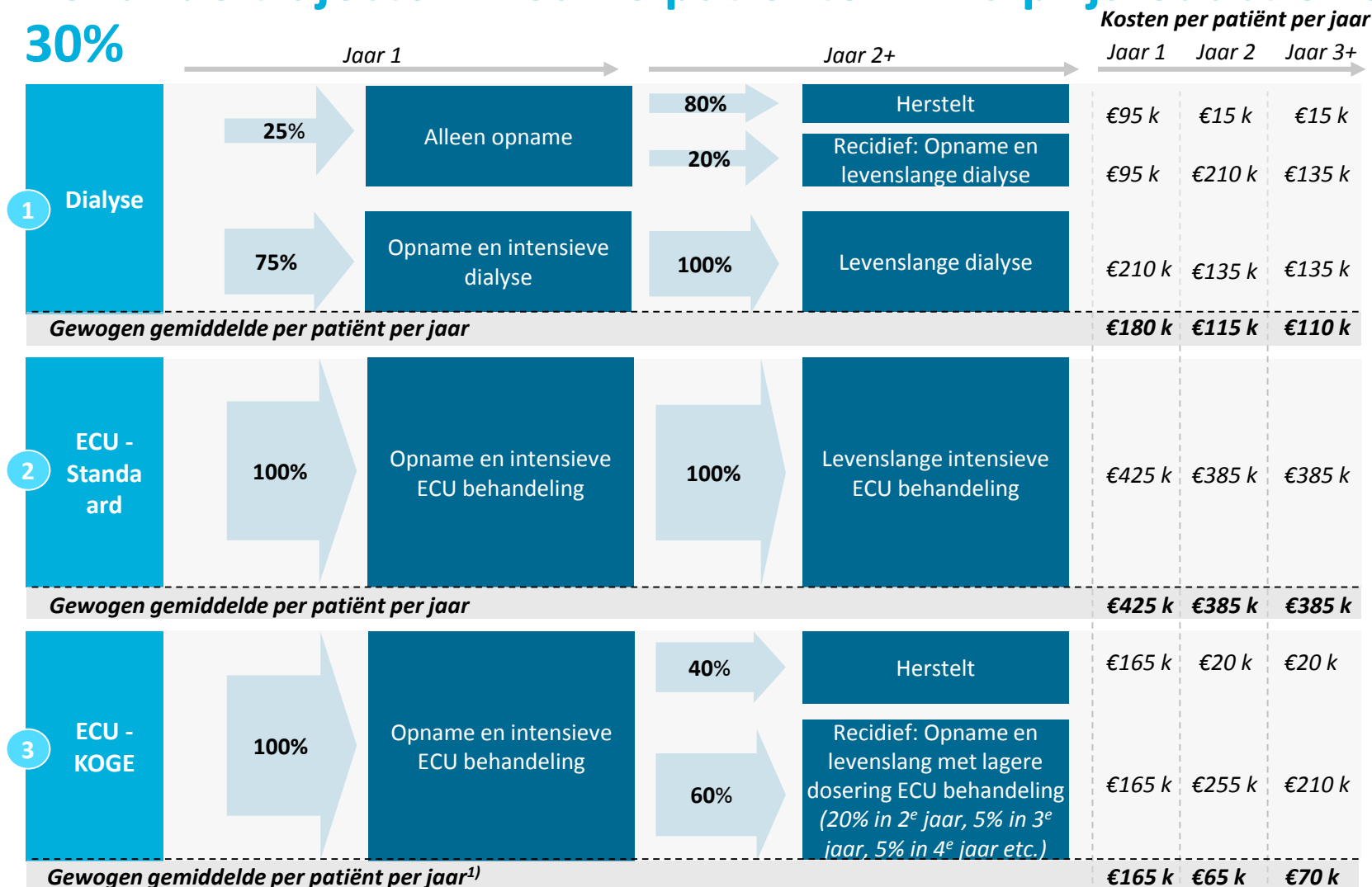
 <i>Probleem</i>	• Eculizumab, het duurste medicijn op dit moment, is de enige therapie bij de levensbedreigende complement gemedieerde ziekte aHUS • Het middel wordt nu volgens protocol van EMA en FDA voorgeschreven in een standaarddosering voor de gehele levensduur van de patiënt, hiervoor is echter geen onderbouwing • Kernbevinding van de pilotstudie is dat de dosering bij 80% van de patiënten na 3 maanden stopgezet kan worden in plaats van levenslang toegediend, met gelijkblijvende effectiviteit		
 <i>Idee</i>	• Verantwoord gebruik van dit medicament door middel van intensief monitoren van individuele waarden en het kritischer doseren door inzet van individuele farmacokinetiek, Eculizumab spiegels, adequate functietesten van complementsysteem en begeleiding door een landelijk, multidisciplinair team • Ontwikkelen farmacokinetisch model aHUS: “individualised treatment therapy”		
 <i>Doelgroep</i>	• Volwassenen en kinderen met aHUS • Landelijk zijn er gemiddeld 20 nieuwe patiënten met aHUS per jaar		
 <i>Betrokkenen</i>	• Kindernefroloog, nefroloog, (ziekenhuis)-apothekers, physician-assistant, laboratoriumspecialist en Translationeel Metabool Laboratorium • Landelijke werkgroep aHUS en kennisgroep Nederlandse Nierpatiënten Vereniging • Radboudumc is aangewezen als enig landelijk expertise centrum in aHUS		
 <i>Beoogd effect</i>	<table border="0"> <tr> <td data-bbox="382 1018 1033 1300"> <u>Kwaliteit:</u> • Verantwoord, optimaal en op individu toegepast gebruik van Eculizumab bij patiënten met aHUS </td><td data-bbox="1033 1018 1821 1300"> <u>Kosten:</u> • Inschatting voor 20 nieuwe patiënten/jaar voor 10 jaar (oplopende kosten i.v.m. groei van de patiëntgroep) - Eerste 12 maanden: ~€4 Mn - Totaal over 10 jaar: ~€140 Mn • Een besparing van ~€455 Mn t.o.v. standaard protocol aan uitgave Eculizumab in 10 jaar gegeven 20 nieuwe patiënten/jaar </td></tr> </table>	<u>Kwaliteit:</u> • Verantwoord, optimaal en op individu toegepast gebruik van Eculizumab bij patiënten met aHUS	<u>Kosten:</u> • Inschatting voor 20 nieuwe patiënten/jaar voor 10 jaar (oplopende kosten i.v.m. groei van de patiëntgroep) - Eerste 12 maanden: ~€4 Mn - Totaal over 10 jaar: ~€140 Mn • Een besparing van ~€455 Mn t.o.v. standaard protocol aan uitgave Eculizumab in 10 jaar gegeven 20 nieuwe patiënten/jaar
<u>Kwaliteit:</u> • Verantwoord, optimaal en op individu toegepast gebruik van Eculizumab bij patiënten met aHUS	<u>Kosten:</u> • Inschatting voor 20 nieuwe patiënten/jaar voor 10 jaar (oplopende kosten i.v.m. groei van de patiëntgroep) - Eerste 12 maanden: ~€4 Mn - Totaal over 10 jaar: ~€140 Mn • Een besparing van ~€455 Mn t.o.v. standaard protocol aan uitgave Eculizumab in 10 jaar gegeven 20 nieuwe patiënten/jaar		

Behandeltrajecten nieuwe patiënten



1) Jaar 2: 80% kost €20 k en 20% €330 k, in jaar 3: 75% kost €20 k, 20% kost €285 k en 5% kost €330 k

Behandeltrajecten nieuwe patiënten – na prijsreductie van 30%



1) Jaar 2: 80% kost €20 k en 20% €255 k, in jaar 3: 75% kost €20 k, 20% kost €210 k en 5% kost €255 k