



Zorginstituut Nederland

> Retouradres Postbus 320, 1110 AH Diemen

Stichting Klachten en Geschillen Zorgverzekeringen (SKGZ)

Zorginstituut Nederland

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

2024022797

Datum 10 juni 2024
Betreft Advies als bedoeld in artikel 114 van de Zorgverzekeringswet
Geschil over vergoeding van farmaceutische zorg als bedoeld in de
zorgverzekering ONVZ Vrije Keuze

Zaaknummer
2024007875

Onze referentie
2024022797

Uw referentie
202302331

Uw brief van
23 mei 2024

Geachte

Zorginstituut Nederland (het Zorginstituut) heeft het verslag van de hoorzitting en de aanvullende stukken ontvangen.

Uit het verslag en de aanvullende stukken komen geen feiten of omstandigheden naar voren die het Zorginstituut aanleiding geven het voorlopig advies te herzien. U kunt het voorlopig advies als definitief beschouwen.

Tevens vraagt u het Zorginstituut om in te gaan op de volgende punten:

- 1) Ter zitting haalde verweerder het document Farmacotherapeutisch rapport idebenon (Raxone®) bij de behandeling van Leber's hereditaire optische neuropathie (LHON) uit 2017 aan. In dit rapport staat onder punt 1.1.5.4.:**

'Bijzonderheden

Raxone® is een weesgeneesmiddel. Het is door de EMA goedgekeurd onder exceptionai circumstances. In Italië is idebenon geregistreerd voor cognitieve problemen (Mnesis®, 45 mg tabletten). De EMA heeft negatief geoordeeld over van idebenon voor de indicatie ataxie van Friedreich.'

Is het onderstreepte nog het actuele standpunt?

Zorginstituut Nederland

Ja, dit is nog steeds het actuele standpunt. In het publiekelijk beschikbare overzicht van wijzigingen die bij de EMA zijn ingediend voor idebenon staat geen vermelding van een ingediende indicatie-uitbreiding voor ataxie van Friedreich.¹

Datum
10 juni 2024

Onze referentie
2024022797

2) Verzoekster heeft literatuur toegezonden waaruit volgens haar de positieve invloed blijkt van idebenon op het voorkomen van de cardiale aandoening cardiale hypertrofie, een van de meest voorkomende doodsoorzaken bij mensen met ataxie van Friedreich. Kunt u hierop ingaan?

De 'Consensusrichtlijn behandeling en begeleiding van ataxie van Friedreich' uit 2018 (internationale richtlijn uit 2015, vertaald naar de Nederlandse situatie) stelt dat idebenon volgens de thans beschikbare wetenschappelijke resultaten geen duidelijke langetermijnverbetering geeft van de neurologische of cardiologische verschijnselen.² Een Cochrane review naar de farmacologische behandelopties bij ataxie van Friedreich die een jaar later is gepubliceerd dan de internationale richtlijn, onderstreept de uitspraak dat er tot nog toe geen significante verschillen zijn met betrekking tot de ziektesymptomen tussen patiënten behandeld met idebenon en patiënten behandeld met een placebo.³ De literatuur die door verzoekster is toegezonden, is deels beoordeeld in de richtlijn en deels beoordeeld in de Cochrane review. In beide beoordelingen wordt gesteld dat de kwaliteit van de studies te laag is om het effect van behandeling met idebenon te kwantificeren. Tot slot merkt het Zorginstituut op dat aanvullende studies sinds de publicatie van de Cochrane review, geen verschillen laten zien tussen patiënten die in studieverband behandeld zijn met idebenon en patiënten die behandeld zijn met een placebo (MICONOS-studie, MICONOS-extensiestudie).⁴

3) Gelet op de beoordeling die de commissie maakt aan de hand van het Bosentan arrest dient het geneesmiddel idebenon bij de aandoening ataxie van Friedreich, effectief, noodzakelijk en doelmatig te zijn. Daarbij dient de verwachting te bestaan dat het geneesmiddel binnen afzienbare tijd alsnog wordt aangewezen voor ataxie van Friedreich. Kunt u hierop reageren?

¹ Te raadplegen via: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/raxone#assessment-history>

² Te raadplegen via: https://www.spieziektencentrum.nl/wp-content/uploads/2020/05/Richtlijn_Ataxia-van-Friedreich_Ned_2018DEF.pdf

³ Kearney M, Orrell RW, Fahey M, Brassington R, Pandolfo M. Pharmacological treatments for Friedreich ataxia. Cochrane Database Syst Rev. 2016 Aug 30;2016(8):CD007791.

⁴ A Study of Efficacy, Safety and Tolerability of Idebenone in the Treatment of Friedreich's Ataxia (FRDA) Patients (MICONOS), te raadplegen via: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT00905268?cond=Ataxia&intr=Idebenone&rank=7> & Long-Term Safety and Tolerability of Idebenone in Friedreich's Ataxia Patients (MICONOS Extension), te raadplegen via: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT00993967?cond=Ataxia&intr=Idebenone&rank=2>

Op dit moment wordt idebenon niet geëvalueerd door het EMA voor een indicatie-uitbreiding voor ataxie van Friedreich. Zo blijkt uit de maandelijks gepubliceerde lijst met geneesmiddelen die in behandeling zijn bij het EMA.⁵ Ook wordt volgens de Horizonscan geneesmiddelen geen indicatie-uitbreiding van idebenon verwacht voor ataxie van Friedreich.⁶

Zorginstituut Nederland

Datum
10 juni 2024

Onze referentie
2024022797

Het Zorginstituut beoordeelt pas of een geneesmiddel voor een bepaalde indicatie opgenomen kan worden in het basispakket, indien het geneesmiddel geregistreerd is voor de betreffende indicatie. Voor de opname in het basispakket dient een wettelijke procedure te worden doorlopen.

Hooachtend,

Manager Geneesmiddelen

⁵ Te raadplegen via: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/medicines-human-use-under-evaluation#monthly-lists-2024-64952>

⁶ Te raadplegen via: <https://www.horizonscangeneesmiddelen.nl/geneesmiddelen/idebenone-neurologische-aandoeningen-duchenne/versie5>



Advies Zorginstituut Nederland in een geschil over de uitvoering van de zorgverzekering

De Stichting Klachten en Geschillen Zorgverzekeringen (SKGZ) heeft op 22 februari 2024 aan Zorginstituut Nederland (het Zorginstituut) advies gevraagd als bedoeld in artikel 114, derde lid, van de Zorgverzekeringswet (Zvw). Verzoekster en verweerder hebben een geschil over de vergoeding van idebenon voor de vertraging van de symptomen van Friedreich's ataxie.

Bij de adviesaanvraag heeft de SKGZ een kopie van het dossier gestuurd. Het Zorginstituut brengt een voorlopig advies uit, dat nog aangepast kan worden als uit het verslag van de hoorzitting en/of aanvullende stukken nieuwe feiten of omstandigheden naar voren komen.

In de tussen partijen overeengekomen zorgverzekering is de aanspraak op farmaceutische zorg omschreven. Dit komt overeen met de Zvw.

Vooraf merkt het Zorginstituut nog op dat zijn adviestaak beperkt is tot de vraag of verzoekster aanspraak heeft op een verstrekking of een vergoeding op grond van de basisverzekering. Dit betekent dat het Zorginstituut twee vragen beantwoordt. Namelijk, of de zorg in geschil onderdeel is van het basispakket en vervolgens of verzoekster op deze zorg is aangewezen. Dit laatste is een medische beoordeling. Er is een BIG-geregistreerde medisch adviseur betrokken bij de beoordeling van het geschil. Het Zorginstituut baseert het advies op de beschikbare informatie in het toegezonden dossier.

Het advies van het Zorginstituut kan geen betrekking hebben op een beslissing van verweerder op basis van de aanvullende verzekering of coulance.

Situatie van verzoekster

Verzoekster heeft de erfelijke progressieve aandoening Friedreich's ataxie. Voor de vertraging van de symptomen van deze aandoening gebruikt verzoekster al 15 jaar idebenon in een dosering van 3900 mg per dag.

Verweerder heeft in 2008 een machtiging verleend voor de vergoeding van idebenon in het kader van een bijzondere zorgvraag. Deze machtiging is in 2015 verlengd. In 2023 is de machtiging ingetrokken en heeft verweerder idebenon nog een half jaar op basis van coulance vergoed, daarna is de vergoeding gestopt. Verweerder voert aan dat de machtiging die verzoekster had voor de bijzondere zorgvraag niet onbeperkt van kracht is. Een afgegeven machtiging is altijd onderhevig aan geldende wet- en regelgeving. Idebenon is in 2018 opgenomen in het geneesmiddelenvergoedingssysteem met aanvullende voorwaarden. Volgens verweerder voldoet verzoekster niet aan deze voorwaarden en komt verzoekster vanaf dat moment niet meer op basis van de bijzondere zorgaanvraag in aanmerking voor vergoeding van de kosten.

Juridisch kader

Geneesmiddelen die op recept van een arts verkrijgbaar zijn bij de apotheek zijn extramurale geneesmiddelen. In de Zvw en aanverwante regelgeving is de vergoeding van deze geneesmiddelen geregeld. Extramurale geneesmiddelen komen voor vergoeding uit het basispakket in aanmerking, zodra het middel is opgenomen in het geneesmiddelenvergoedingssysteem (GVS). Het GVS is een onderdeel van de Regeling zorgverzekering (Rzv). Het GVS bevat lijsten met geneesmiddelen die een te verzekeren prestatie zijn in het kader van de Zvw.



De middelen die zijn opgenomen in het GVS zijn geclusterd op bijlage IA van de Rzv (onderling vervangbare middelen) of staan apart op bijlage 1B (unieke geneesmiddelen).

Bijlage 2 voorwaarden

Voor sommige geneesmiddelen in het GVS gelden extra voorwaarden voor vergoeding. Deze geneesmiddelen worden ook nog geplaatst op bijlage 2 van de Rzv. Deze limitatieve positieve lijsten vormen een gesloten systeem van te verzekeren prestaties.

Idebenon

Idebenon wordt vergoed onder bepaalde voorwaarden welke zijn opgenomen in bijlage 2 van de Rzv. De voorwaarde is als volgt:

"Uitsluitend voor adolescente en volwassen patiënten met Leber's hereditaire opticusneuropathie die worden behandeld overeenkomstig de richtlijnen die in Nederland door de desbetreffende beroepsbeoefenaren zijn aanvaard".¹

Beoordeling

De informatie in het dossier is farmacotherapeutisch en juridisch beoordeeld.

In 2017 is idebenon door het Zorginstituut beoordeeld voor de behandeling van volwassenen en adolescenten met opticusneuropathie van Leber en een verminderd gezichtsvermogen.² Sindsdien is idebenon geplaatst op lijst 1b als weesgeneesmiddel, met een aanvullende bijlage 2 voorwaarde. Verzoekster voldoet niet aan de indicatievoorwaarde zoals genoemd in bijlage 2 van de Rzv. Er is bij haar geen sprake van Leber's hereditaire opticusneuropathie. Vergoeding ten laste van de basisverzekering is daarom niet mogelijk.

Verzoekster heeft aangevoerd dat het stoppen van vergoeding van het geneesmiddel in haar situatie leidt tot een situatie die onredelijke en onbillijke gevolgen heeft. Het advies van het Zorginstituut is beperkt tot een beoordeling van de aanspraak op grond van de basisverzekering. Het Zorginstituut kan daarom niet ingaan op de vraag of de bijzondere omstandigheden in de situatie van verzoekster ertoe zouden kunnen en moeten leiden dat verweerder toch tot vergoeding van het geneesmiddel zou moeten overgaan. Ook de handelswijze van verweerder kan het Zorginstituut niet meewegen in het advies.

Conclusie

Op basis van de beschikbare informatie in het dossier kan geconcludeerd worden dat verzoekster niet voldoet aan de voorwaarde voor vergoeding van idebenon. Verzoekster kan derhalve geen aanspraak maken op de vergoeding van dit geneesmiddel ten laste van de basisverzekering.

Het advies

Het Zorginstituut adviseert op basis van de beschikbare informatie in het dossier het volgende:

Verzoekster heeft geen (verzekerings)indicatie voor idebenon.

¹ art. 115, bijlage 2 bij de Rzv

² Nederland Z (2017). GVS-advies idebenon (Raxone®) bij verminderd gezichtsvermogen bij adolescente en volwassen patiënten met opticusneuropathie van Leber (LHON). Geraadpleegd op 11 maart, 2024, van <https://www.zorginstituutnederland.nl/publicaties/adviezen/2017/10/20/gvs-advies-idebenon-raxone-bij-verminderd-gezichtsvermogen-bij-adolescente-en-volwassen-patiënten-met-opticusneuropathie-van-leber-lhon>