

Kenmerk: ZN-SP-2024-002
Betreft: Standpunt inzake behandeling met voretigene neparvovec
(Luxturna®) gentherapie
Datum: juli 2024

=====

Inleiding

Zorgverzekeraars Nederland (ZN) heeft voor een aantal behandelingen met dure, specialistische geneesmiddelen standpunten geformuleerd ten aanzien van de instellingen die een dergelijke behandeling willen aanbieden. Bij het opstellen van dit standpunt is de beroepsgroep behorende bij het indicatiegebied gehoord. Zorgverzekeraars kunnen bij de inkoop gebruik maken van deze standpunten.

Standpunt inzake de behandeling van een zeldzame erfelijke vorm van retinale dystrofie, congenitale amaurose van Leber, retinitis pigmentosa, die veroorzaakt worden door mutaties in het RPE65 gen met de gentherapie voretigene neparvovec (merknaam Luxturna®).

Luxturna®, voretigene neparvovec, is een adeno-associated virus (AAV)-gebaseerde gentherapie waarbij een goede kopie van het RPE65 gen wordt toegediend. De behandeling is geïndiceerd voor patiënten met visusverlies door erfelijke retinale dystrofie veroorzaakt door bevestigde bi-allelische mutaties in het RPE65 gen. Zonder behandeling hebben deze patiënten een achteruitgang van hun visuele functie en zijn de meeste patiënten blind volgens de WHO definitie op de leeftijd van 40 jaar (Pierrache et al. Retina 2020). Voorwaarde voor behandeling is dat het netvlies nog voldoende levensvatbare retinacellen heeft om een goed eiwitproduct te garanderen en herstel van functie mogelijk te maken.

Voor opname van voretigene neparvovec in het verzekerde pakket per januari 2021 is een weesgeneesmiddelen arrangement afgesloten waarin start- en stopcriteria zijn vastgelegd middels een indicatiecommissie en is dataverzameling geborgd. In 2021 waren in Nederland 45 patiënten bekend met bi-allelische RPE65 mutaties, waarvan reeds 7 patiënten in studieverband waren behandeld. De incidentie ligt op ongeveer één patiënt per twee jaar.

Expertisecentra voor erfelijke retinale dystrofie

In Nederland zijn er 3 expertise centra voor zeldzame oogaandoeningen, die samenwerken in / vallen onder het European Reference Network on Rare Eye Diseases (ERN-EYE)⁴:

- Het Oogziekenhuis Rotterdam, expertisecentrum voor Zeldzame Oogaandoeningen.
- Radboudumc, Expertisecentrum voor Erfelijke Blindheid.
- Amsterdam UMC, expertisecentrum voor Erfelijke Netvliesziekten. AUMC werkt samen met LUMC.

De CieBAG staat op het standpunt dat de behandeling van volwassen en pediatrische patiënten met visusverlies door erfelijke retinale dystrofie veroorzaakt door bevestigde bi-allelische RPE65 mutaties en die voldoende levensvatbare retinacellen hebben te allen tijde gestart dient te worden na bespreking in de Luxturna® indicatiecommissie. De behandeling dient vervolgens gestandaardiseerd en geprotocolleerd plaats te vinden in een van de drie expertise centra waarbij ook uniforme datavastlegging geborgd is.

Toelichting op het standpunt

Begin 2024 heeft een evaluatie van het weesgeneesmiddelarrangement plaatsgevonden. Het belang van het voortzetten van de Luxturna® indicatiecommissie, gestandaardiseerd en geprotocolleerd behandelen, terugkoppeling van de behandeling binnen de indicatiecommissie en het vastleggen van de data, is door alle leden van de indicatiecommissie benadrukt. Hiermee is de kwaliteit, uniformiteit en dataverzameling voor de behandeling met Luxturna® en de behandeling met toekomstige gentherapieën geborgd.