



UMC Utrecht

Vertex Pharmaceuticals B.V.
t.a.v. de heer drs M. Hooiveld
Leidsevaart 20
2013HA Haarlem

Datum 30 mei 2021

Betreft: GVS-advies elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio®) in combinatie met ivacaftor (Kalydeco®)

Geachte heer Hooiveld,

Op 29 april 2021 heeft het Zorginstituut Nederland de minister geadviseerd over elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio®) in combinatie met ivacaftor monopreparaat (Kalydeco®) (verder: triple-therapie) voor de behandeling van patiënten met cystic fibrosis (CF).

Het advies van het Zorginstituut luidt als volgt:

Het Zorginstituut adviseert u daarom elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio®) in combinatie met ivacaftor (Kalydeco®) niet op te nemen op bijlage 1B van het GVS tenzij er wordt voldaan aan de volgende voorwaarden:

- 1. Een prijsreductie van ten minste 75 procent van de triple-therapie in combinatie met ivacaftor monopreparaat waarbij het Zorginstituut u adviseert om opnieuw met de fabrikant te onderhandelen voor een prijsafspraken over het hele portfolio, dus voor alle CFTR-modulatoren. Hierbij adviseert het Zorginstituut u om ook te onderhandelen over toekomstige indicatie-uitbreidingen.*
- 2. Het maken van afspraken met de beroepsgroep over gepast gebruik voor doelmatige inzet van de behandeling.*
- 3. Verzameling van lange termijn data door de beroepsgroep om de effectiviteit en veiligheid van de triple-therapie in combinatie met ivacaftor monopreparaat te evalueren. Het Zorginstituut zal deze gegevens gebruiken om de effecten op lange termijn te monitoren.*

Als patiënten en hun zorgverleners willen we bij u benadrukken dat het hier om een zeer effectief en voor patiënten 'life-changing' medicament gaat, waar door velen lang naar is uitgekeken. Het medicament verbetert de levensverwachting van mensen met CF met vele jaren en verbetert de kwaliteit van leven enorm.

Iedere vertraging in de beschikbaarheid van dit middel voor onze patiënten leidt tot irreversibele gezondheidsschade. Gezien de erg hoge prijs die u voor dit medicament wil rekenen, bent u hier mede verantwoordelijk voor (zie punt 1.).

Division of Heart & Lungs

**Department
Respiratory Medicine**

Prof. H.G.M. Heijerman,
MD PhD

Tel 00 31 88 755 61 80
Fax 00 31 88 755 54 15
h.g.m.heijerman@umcutrecht.nl

Visiting address:
Heidelberglaan 100
3584 CX Utrecht

Postal address:
Hp E 03.511
PO box 85500
3508 GA Utrecht

www.umcutrecht.nl

Op uw eigen website vermeldt u de doelstellingen van uw bedrijf:

The Science of Possibility

Vertex creates new possibilities in medicine to cure diseases and improve people's lives. We work with leading researchers, doctors, public health experts and other collaborators who share our vision for transforming the lives of people with serious diseases, their families and society.

Helaas blijkt dat het verdienmodel dat u aan deze medicatie verbindt, de door u genoemde "Possibility" voor veel mensen ernstig vertraagt en voor veel patiënten in minder bedeelde landen ontoegankelijk maakt. Binnen bovengenoemde doelstellingen hebben de patiënten en hun zorgverleners zeer frequent en met plezier met u samengewerkt en doen dat nog steeds. Zonder de medewerking van patiënten was het nooit gelukt deze medicatie te ontwikkelen, maar zij zijn nu, ondanks hun altijd aanwezige medewerking, helaas het slachtoffer van uw verdienmodel. Kortom het werken met elkaar zoals u in uw doelstellingen benoemt, eindigt op het moment dat het om winstgevendheid gaat, erg jammer.

Wij hopen dan ook dat het mogelijk is dat u dit verdienmodel aanpast, kortom de prijs verlaagt en dat u dit in samenspraak met de minister in korte tijd weet te realiseren.

Wij hopen op uw hulp in dit vergoedingstraject en zouden het erg op prijs stellen om op korte termijn met u hierover van gedachten te wisselen.

Met vriendelijke groet,

Jacqueline
Noordhoek

Drs Jacquelen Noordhoek, directeur NCFS
Voorzitter stuurgroep CF registratie



Prof. dr Harry G.M. Heijerman, hoofd afdeling Longziekten UMC Utrecht
Voorzitter medische adviesraad NCFS.



Prof. dr Kors van der Ent, hoofd afdeling kinderlongziekten UMC Utrecht

