

Orkambi: vergoedingscriteria (extract uit de notificatie):

Chapitre IV, nouveau paragraphe xxx0000

a) La spécialité pharmaceutique sur base des principes actifs lumacaftor et ivacaftor, inscrite dans le présent paragraphe, fait l'objet d'un remboursement si elle est administrée chez un bénéficiaire âgé de 2 ans ou plus, mais moins de 12 ans, atteint de mucoviscidose diagnostiquée sur base de la présence simultanée de :

- 2 mutations CF associées ou d'un taux de chlorure dans la sueur > 60 mmol/l
- et d'une maladie chronique sino-pulmonaire ou d'altérations gastro-intestinale ou d'altérations de l'état nutritionnel
- et qui sont homozygote pour la mutation F508del du gène CFTR.

Le bénéficiaire ne rentre pas en compte pour un remboursement avec la spécialité pharmaceutique concernée s'il a déjà subi une transplantation pulmonaire.

b) Le remboursement est seulement accordé si la spécialité pharmaceutique concernée est prescrite par un médecin spécialiste en pédiatrie ou en pneumologie, attaché à un centre de référence reconnu par l'INAMI pour la mucoviscidose, et responsable pour le traitement.

La demande de remboursement de la spécialité pharmaceutique concernée doit être faite par le médecin spécialiste décrit sous point b).

c) Le nombre de conditionnements remboursables tiendra compte d'une posologie maximale conforme aux dispositions mentionnées dans le Résumé des Caractéristiques du Produit (RCP) de la spécialité pharmaceutique concernée et de 13 conditionnements de 112 comprimés ou de 56 sachets par période de 12 mois.

Le remboursement est limité à la délivrance par un pharmacien hospitalier attaché à un centre de référence reconnu pour la mucoviscidose.

Le remboursement ne sera plus accordé si aucun avantage clinique ne peut être démontré chez le bénéficiaire au cours des 12 mois précédents en se basant entre autres sur les résultats des épreuves fonctionnelles respiratoires de contrôle, l'évolution de

Hoofdstuk IV, nieuwe paragraaf xxx0000

a) De farmaceutische specialiteit op basis van de werkzame bestanddelen lumacaftor en ivacaftor, ingeschreven in de huidige paragraaf, komt in aanmerking voor vergoeding indien ze toegediend wordt bij een rechthebbende van 2 jaar of ouder, maar jonger dan 12 jaar, die lijdt aan mucoviscidose gediagnosticeerd op basis van de gelijktijdige aanwezigheid van:

- 2 CF-geassocieerde mutaties of een chloride waarde > 60 mmol/l in zweet
- en chronische sino-pulmonale ziekte of gastro-intestinale afwijkingen of afwijkingen van de nutritionele status
- en die homozygoot zijn voor de F508del-mutatie in het CFTR-gen.

De rechthebbende komt niet in aanmerking voor een behandeling met de betrokken farmaceutische specialiteit indien hij/zij reeds een longtransplantatie onderging.

b) De vergoeding kan enkel worden toegestaan indien de betrokken farmaceutische specialiteit wordt voorgeschreven door een arts-specialist in de pediatrie of in de pneumologie, verbonden aan een door het RIZIV erkend referentiecentrum voor mucoviscidose, en verantwoordelijk voor de behandeling.

De vergoeding van de betrokken farmaceutische specialiteit dient te worden aangevraagd door de arts-specialist vermeld onder punt b).

c) Het aantal vergoedbare verpakkingen zal rekening houden met een maximale posologie overeenkomstig de bepalingen die in de Samenvatting van de Kenmerken van het Product (SKP) van de betrokken farmaceutische specialiteit zijn vermeld en met 13 verpakkingen van 112 tabletten of van 56 zakjes per periode van 12 maanden.

De terugbetaling is beperkt tot de aflevering door de ziekenhuisapotheker van een door het RIZIV erkend referentiecentrum voor mucoviscidose.

De vergoeding zal niet meer worden toegekend als er geen klinisch voordeel bewezen kan worden bij de rechthebbende gedurende de laatste 12 maanden, onder andere gebaseerd op de resultaten van de longfunctieonderzoeken tijdens

l'indice de masse corporelle (IMC) et le nombre d'exacerbations et d'hospitalisations.

opvolging, de evolutie van de body mass index (BMI) en het aantal van exacerbatie(s) en hospitalisatie(s).

d) Le remboursement est conditionné par la fourniture préalable au médecin-conseil d'un rapport médical accompagné des protocoles et des résultats des examens réalisés afférents et du formulaire de demande, dont le modèle est repris à l'annexe A du présent paragraphe dûment complété et signé par le médecin spécialiste décrit sous point b).

d) De vergoeding hangt af van het voorafgaand ter beschikking stellen aan de adviserend-arts van een medisch verslag, alsook van de protocollen en resultaten van de uitgevoerde onderzoeken en van het aanvraagformulier, waarvan het model in bijlage A van de huidige paragraaf is overgenomen, volledig ingevuld en ondertekend door de arts-specialist vermeld onder punt b).

Le rapport médical comportera au minimum les éléments suivants :

Het rapport zal ten minste de volgende elementen bevatten :

1. Eléments ayant permis l'établissement du diagnostic (pour la première demande uniquement) ;
2. La description chronologique de l'évolution ancienne et récente de l'affection ainsi que celle des traitements administrés et leurs effets ;
3. La présentation clinique initiale avant traitement, et pour les demandes de prolongation, également l'état actuel du bénéficiaire avec, notamment, mention du poids corporel, de l'IMS, de l'état nutritionnel et, pour les bénéficiaires de plus de 6 ans, des résultats de la fonction respiratoire, avec spécifiquement le volume expiré maximal à la première seconde (VEMS) ;
4. Le nombre d'exacerbation(s) présentées sur les 12 derniers mois et le nombre d'hospitalisation(s) et leur cause au cours des 12 derniers mois ;
5. La description de la compliance au traitement (pour les demandes de prolongation uniquement) ;
6. La motivation de l'instauration du traitement ou de la poursuite du traitement avec la spécialité pharmaceutique susvisée.

1. Elementen die toelieten de diagnose te stellen (enkel voor de eerste aanvraag);
2. De chronologische beschrijving van de vroegere en recente evolutie van de aandoening, alsook van de toegediende behandelingen en hun effecten;
3. De oorspronkelijke klinisch toestand vóór aanvang van de behandeling en, voor de verlengingsaanvragen, de huidige toestand van de rechthebbende met, in het bijzonder vermelding van het lichaamsgewicht, de BMI, de nutritionele status en, voor de rechthebbenden ouder dan 6 jaar, de resultaten van de longfunctie, met specifiek de éénsecondewaarde (ESW);
4. Het aantal exacerbaties gedurende de laatste 12 maanden en het aantal hospitalisaties met hun oorzaak, gedurende de laatste 12 maanden;
5. De beschrijving van de therapietrouw (enkel voor de verlengingsaanvragen);
6. De motivering van de instelling van de behandeling of de verderzetting van de behandeling met de betrokken farmaceutische specialiteit.

Le formulaire de demande sera complété aux rubriques ad hoc, par le médecin spécialiste décrit sous point b), qui ainsi, simultanément :

Het aanvraagformulier zal ingevuld worden door de arts-specialist vermeld onder punt b), die aldus in de daartoe bestemde rubrieken tegelijk:

1. mentionne les éléments relatifs au diagnostic et aux manifestations cliniques susvisées, et, lorsqu'il s'agit d'une demande de prolongation de remboursement, les éléments relatifs à l'évolution clinique du bénéficiaire ;
2. mentionne les éléments qui permettent:

1. de elementen vermeldt die betrekking hebben op de diagnosestelling en op de bovenstaande klinische presentaties, en, indien het een aanvraag tot verlenging van de vergoeding betreft, de elementen die betrekking hebben op de klinische evolutie van de rechthebbende;
2. de elementen vermeldt die toelaten:

2.1. d'identifier le centre susvisé reconnu pour la mucoviscidose par l'INAMI auquel il est attaché;

2.2. d'identifier le pharmacien hospitalier de référence, collaborant avec le centre reconnu pour la mucoviscidose par l'INAMI.

3. s'engage à tenir à la disposition du médecin-conseil les éléments de preuve confirmant les éléments attestés ;

4. s'engage à collaborer, en application du point f) ci-dessous, à l'enregistrement et la collecte des données codées relatives à l'évolution et au devenir du patient concerné via le Registre Belge de la Mucoviscidose;

Pour la première demande de prolongation, cet avantage clinique doit se présenter chez les bénéficiaires > ou = 6 ans, par une amélioration du VEMS (% absolu de volume Expiratoire Maximal par Seconde de la valeur prédite) d'au moins 5 % par rapport à la valeur initiale, chaque fois mesurée en dehors d'une période d'exacerbation infectieuse et après avoir vérifié la compliance, après 2 mois de traitement. Chez les bénéficiaires < 6 ans, ainsi que chez les patients > ou = 6 ans chez qui une amélioration du VEMS de > ou = 5% n'est pas observée après 2 mois de traitement, cette première demande de prolongation du remboursement sera soumise à la preuve d'une amélioration clinique substantielle du bénéficiaire (p.ex. IMC).

5. s'engage à ne plus demander le remboursement pour la spécialité pharmaceutique sur base des principes actifs lumacaftor et ivacaftor si le patient n'observe pas une bonne compliance ;

6. informe pleinement le bénéficiaire des stopping-rules du remboursement.

e) Le remboursement est autorisé par le médecin-conseil par périodes de 12 mois, en application de la procédure visée aux articles 7, 8 et 9 de l'arrêté royal du 6 décembre 2018 relatif aux règles subordonnant le remboursement des médicaments orphelins et des spécialités pharmaceutiques remboursables dans le cadre d'une maladie rare à une appréciation du Collège de médecins concerné, établi par le Roi en application de l'article 35bis, § 10 de la Loi relative à l'assurance obligatoire soins de santé et indemnités coordonnée le 14 juillet 1994.

2.1. het boven vermelde door het RIZIV erkende referentiecentrum voor mucoviscidose waaraan hij verbonden is, te identificeren ;

2.2. de betrokken ziekenhuisapotheker te identificeren, die samen werkt met het door het RIZIV erkende referentiecentrum voor mucoviscidose.

3. zich ertoe verbindt om de bewijsstukken die de geattesteerde gegevens staven ter beschikking te stellen aan de adviserend-arts;

4. zich ertoe verbindt om mee te werken, in toepassing van punt f) hieronder, aan de registratie en verzameling van de gecodeerde gegevens die betrekking hebben op de evolutie en uitkomst van de betrokken patiënt via het Belgisch Mucoviscidose Register;

Voor de eerste verlengingsaanvraag, moet dit klinisch voordeel bij de rechthebbenden > of = 6 jaar worden aangetoond door een verbetering van de ESW (absoluut % van de voorspelde éénsecondewaarde) van minstens 5% ten opzicht van de startwaarde, telkens gemeten buiten een infectieuze opstoot en na controle van de therapietrouw, na 2 maanden van behandeling. Bij de rechthebbenden < 6 jaar, en ook bij de rechthebbenden > of = 6 jaar bij wie geen verbetering met > of = 5% van de ESW na 2 maanden behandeling geobserveerd werd, zal deze eerste aanvraag tot verlenging van de terugbetaling onderworpen worden aan het aantonen van een substantiële klinische verbetering van de rechthebbende (bv BMI).

5. zich ertoe verbindt geen terugbetaling meer aan te vragen voor de farmaceutische specialiteit op basis van de werkzame bestanddelen lumacaftor en ivacaftor als de patiënt geen goede therapietrouw vertoont;

6. de rechthebbende vooraf volledig inlicht over de stopping-rules van de terugbetaling.

e) De vergoeding wordt toegestaan door de adviserend-arts voor een periode van 12 maanden vanaf de datum van notificatie van de toelating tot terugbetaling, in toepassing van de procedure bedoeld in de artikels 7, 8 en 9 van het koninklijk besluit van 6 december 2018 over de terugbetalingsreglementering van weesgeneesmiddelen en van de farmaceutische specialiteiten die in het kader van een zeldzame ziekte vergoedbaar zijn, die de vergoeding onderwerpt aan een onderzoek door het betrokken College van artsen, opgericht door de Koning in toepassing van artikel 35bis, §10 van de Wet betreffende de verplichte verzekering voor geneeskundige verzorging en uitkeringen gecoördineerd op 14 juli 1994.

Sans préjudice des dispositions prévues par la procédure susvisée, le médecin-conseil devra, en cas de décision positive:

1. attribuer au bénéficiaire concerné un numéro spécifique, unique, codé de façon à rendre impossible l'identification du bénéficiaire par des tiers. Dans ce numéro doit figurer l'identification de l'organisme assureur ainsi que les dates de début et de fin de période autorisée ;
 2. communiquer au médecin demandeur susvisé le numéro unique attribué à son patient, ainsi que les dates de début et de fin de la période autorisée ;
 3. communiquer au pharmacien hospitalier visé au point d) 2.2. ci-dessus, un document sur lequel figure l'identification du bénéficiaire et du médecin demandeur, avec les dates de début et de fin de la période autorisée.
- f) Le remboursement ne peut être accordé que si le pharmacien hospitalier dispensateur dispose, préalablement à la dispensation d'une copie du document visé au point e) 3. A cet effet, le pharmacien dispensateur doit joindre cette attestation ou cette copie à la facture intégrée individuelle du patient concerné.
- g) Afin de permettre à la Commission de Remboursement des Médicaments d'exécuter les missions définies à l'article 29bis et 35bis de la Loi, notamment en ce qui concerne une modification ultérieure de l'inscription de la spécialité pharmaceutique, le remboursement de la spécialité est accordé pour autant que des données codées, relatives à l'évolution et au devenir des bénéficiaires recevant ce remboursement, puissent être enregistrées et puissent faire l'objet d'une évaluation. Les modalités relatives à la nature des données, à l'enregistrement, à la collecte et à l'évaluation sont fixées par le Ministre sur la proposition de la Commission de Remboursement des Médicaments après avis de la Commission de la protection de la vie privée.

Onafgezien van de voorziene beschikkingen door bovenstaande procedure, zorgt de adviserend-arts, in geval van positieve beslissing:

1. voor het verlenen aan de betrokken begunstigde van een specifiek en uniek nummer, dat zodanig gecodeerd is dat de identificatie van de begunstigde door derden onmogelijk is. Dit nummer moet de identificatie van de verzekeringsinstelling bevatten alsook de data van begin en einde van de toegestane periode;
 2. voor het meedelen aan bovenvermelde aanvragende arts-specialist van het uniek nummer toegekend aan zijn patiënt, alsook de data van begin en einde van de toegestane periode;
 3. voor het bezorgen aan de ziekenhuisapotheker, bedoeld in punt d) 2.2 hierboven, van een document die de identificatie van de begunstigde en de aanvragende arts bevat, alsook de data van begin en einde van de toegestane periode.
- f) De vergoeding kan slechts toegekend worden indien de betrokken ziekenhuisapotheker, voorafgaand aan de aflevering, een kopie van het document bezit bedoeld onder punt e) 3. Met het oog hierop moet de afleverende apotheker dit attest of deze kopie hechten aan de globale individuele factuur van de betrokken patiënt.
- g) Teneinde de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen toe te laten haar taken uit te voeren zoals bepaald in artikel 29bis en 35bis van de Wet, meer bepaald een verdere wijziging van de inschrijving van de farmaceutische specialiteit, wordt de vergoeding van de specialiteit toegestaan voor zover de gecodeerde gegevens over de evolutie en uitkomst van begunstigten die deze vergoeding ontvangen, geregistreerd worden en voorwerp van een evaluatie kunnen worden. De modaliteiten eigen aan de aard van de gegevens, de registratie, de verzameling en de evaluatie worden vastgelegd door de Minister op voorstel van de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen, na advies van de Commissie over de bescherming van de privé-sfeer.