

## 10 DUURSTE GENEESMIDDELEN 2019 (NOTA – STUDIE ONAFHANKELIJKE ZIEKENFONDSEN)

Onderstaande tabel geeft een overzicht van de 10 geneesmiddelen met de hoogste uitgaven (ten laste van de verplichte verzekering) **per patiënt** in 2019 bij leden van de Onafhankelijke Ziekenfondsen<sup>1</sup>. Het zijn geneesmiddelen voor behandelingen met een hoge kost, voornamelijk langdurige behandelingen en/of behandelingen voor zeldzame aandoeningen. De totale uitgaven (bij de Onafhankelijke Ziekenfondsen) ten laste van de verplichte verzekering voor deze 10 geneesmiddelen bedragen **25.552.692** euro.

### Belangrijk om te weten

- De uitgaven in de tabel weerspiegelen niet voor alle geneesmiddelen de werkelijke kost voor dit geneesmiddel. Sinds 2010 kunnen bedrijven met het RIZIV een overeenkomst sluiten rond de terugbetaling voor hun geneesmiddel. Dit is het zogenaamde 'art.81' /artikel '111'. Via deze overeenkomsten wordt een (vaak zeer duur) geneesmiddel tijdelijk terugbetaald, terwijl er nog bepaalde onzekerheden bestaan. Dat kan bijvoorbeeld gaan over de klinische doeltreffendheid of de kosteneffectiviteit van het product. De overeenkomst voorziet bepaalde financiële compensatieregels en kan eventueel gekoppeld worden aan het behalen van bepaalde gezondheidsresultaten of aan het verzamelen van bijkomende studiegegevens.
  - Voor de top 10 is het aantal geneesmiddelen onder contract beperkt. Veel van de geneesmiddelen werden al terugbetaald, voor het systeem van de contracten werd ingevoerd. In de tabel staat vermeld of er voor een bepaald geneesmiddel een contract werd afgesloten.
- 3 groepen van geneesmiddelen zijn sterk vertegenwoordigd in de top 20 van de uitgaven: de stollingsfactoren (gebruikt bij specifieke afwijkingen van de bloedstolling zoals hemofilie), de geneesmiddelen gebruikt bij zeldzame stofwisselingsziekten (ziekte van Pompe, ziekte van Fabry...), en nieuwe kankerbehandelingen. Deze aandoeningen treffen relatief weinig mensen, maar de uitgaven per persoon zijn wel zeer hoog.
- In vergelijking met 2018 nemen we geen grote verschuivingen in de top 10 waar. In de top 20 duiken wel een aantal nieuwe moleculen op, die voornamelijk gebruikt worden in de oncologie.

---

<sup>1</sup> De tabel is dus niet te vergelijken met de top 25 van de uitgaven in geneesmiddelen die het RIZIV regelmatig publiceert

## Meer info over de verschillende aandoeningen

- **Erfelijke stofwisselingsziekten** zijn ziekten die bijvoorbeeld veroorzaakt worden door een tekort aan een bepaald enzym in de stofwisseling, waardoor er beschadiging optreedt.
  - De behandeling kan gebeuren door het ontbrekende enzym toe te dienen. Eigen aan dit type van geneesmiddelen is dat er weinig behandelingen (en dus ook weinig concurrentie) beschikbaar zijn, omwille van de zeldzaamheid van de aandoening. De kostprijs voor deze weesgeneesmiddelen ligt in veel gevallen zeer hoog. Zelfs als het geneesmiddel al lang op de markt is, daalt de kostprijs niet.
  - De evolutie van de uitgaven in deze klasse van geneesmiddelen is voornamelijk te wijten aan enerzijds een **evolutie van de genetische screenings**. Dan spreken we over een betere detectie van patiënten, waardoor er dus meer patiënten behandeld worden. Anderzijds is er ook de **posologie**, die in veel gevallen afhangt van het gewicht van de patiënt en dus evolueert met de leeftijd.
  - Weesgeneesmiddelen zijn niet alleen beperkt gekend, maar ook **zeer duur**. Voor hun gebruik moeten bepaalde voorzichtigheidsprincipes in acht genomen worden. Omwille van de zeldzaamheid van de aandoening zijn de gegevens over de werkzaamheid dikwijls beperkt.
    - De ernst van de ziekte en de hoge kosten van de behandeling rechtvaardigen wel een tegemoetkoming vanuit de verplichte verzekering naar de patiënt toe, maar optimalisaties van deze vergoeding zijn nog mogelijk.
- **Bloedstollingsfactoren** worden gebruikt bij een aangeboren of verworven tekort aan stollingsfactor, zoals bijvoorbeeld hemofilie A.
  - Globaal gezien is er is een sterke stijging van de uitgaven merkbaar gedurende de laatste jaren. Die stijging is voornamelijk te wijten aan **stollingsfactor VIII** waarmee de patiënten met hemofilie A, de meest voorkomende vorm van hemofilie, worden behandeld. In tweede instantie is de stijging toe te schrijven aan stollingsfactor IX (gegevens RIZIV). De toename van de consumptie van stollingsfactoren wordt ook beïnvloed door **wijzigingen in behandelingsstrategieën voor hemofiliepatiënten**.
  - De **kostprijs voor een behandeling met stollingsfactoren is hoog**. Dit kan gevolgen hebben voor de kostprijs die gebruikt zal worden voor nieuwe geneesmiddelen voor deze aandoening, bv. **de gentherapie**. Het is mogelijk dat voor de prijsstelling van deze nieuwe geneesmiddelen, de huidige kostprijs als referentie wordt voorgesteld.
  - In 2019 werd er een **aanpassing van de voorwaarden voor terugbetaling** doorgevoerd. Die wijziging had een dubbel doel: enerzijds het verbeteren van de zorgkwaliteit dankzij de opvolging en de behandeling van hemofiliepatiënten in een gespecialiseerd centrum, en anderzijds het rationaliseren van de voorschriften en het gebruik van stollingsfactoren. Meer informatie vind je [hier](#). Bij deze herziening van de voorwaarden, werden er ook een aantal prijsdalingen doorgevoerd, onder meer om te compenseren voor de volumestijgingen.
  - Per patiënt kunnen de kosten van jaar tot jaar verschillen, aangezien het gebruik van de stollingsfactoren afhankelijk is van verschillende factoren die van jaar tot jaar verschillend zijn.

- **Geneesmiddelen in de oncologie**

- Geneesmiddelen in de oncologie komen niet voor in de top 10, maar we vinden er wel een aantal terug in de top 20.
- De sterke toename in de kosten is niet alleen duidelijk uit onze cijfers, maar komt ook tot uiting in het recente MORSE-rapport, beschikbaar op de website van het RIZIV<sup>2</sup>. Zo zijn de RIZIV-uitgaven voor de klasse L01X in 2019 gestegen tot meer dan 1 miljard of bijna 40 % van de uitgaven in ziekenhuizen. Er worden ook meer en meer combinatiebehandelingen gebruikt wat de kostprijs van de behandeling doet toenemen.
- Deze toename toont het belang van het beheersen van de uitgaven wat betreft geneesmiddelen, en dit zonder de toegankelijkheid voor de patiënt in gedrang te brengen. Elementen die kunnen bijdragen om de groei van de uitgaven onder controle te houden zijn onder meer het uitvoeren van een horizonscanning en het toewijzen van een maximaal budget voor bepaalde groepen van geneesmiddelen of pathologieën.

---

<sup>2</sup> [https://www.inami.fgov.be/SiteCollectionDocuments/MORSE%20\\_apport\\_gegevens\\_tot\\_2019.pdf](https://www.inami.fgov.be/SiteCollectionDocuments/MORSE%20_apport_gegevens_tot_2019.pdf)

	ATC code	Molecule	Naam	Aantal patiënten Onafhankelijke Ziekenfondsen	Kost per patiënt per jaar	Indicatie	Opmerking
1	A16AB08	Galsulfase	Naglazyme®	1	€ 754.622	Langdurige enzymvervangings therapie bij patiënten met een bevestigde diagnose van mucopolysaccharidose VI ( <b>Maroteaux-Lamy-syndroom</b> ), een zeldzame stofwisselingsziekte.	<ul style="list-style-type: none"> <li>- <b>Weesgeneesmiddel</b> voor een zeldzame aandoening (weesziekte). Een weesziekte is een levensbedreigende of ernstig invaliderende ziekte die niet meer dan 5 op de 10.000 mensen treft in de Europese Unie (voor België max. 5000 personen).</li> <li>- Evolutie van de uitgaven in deze klasse van geneesmiddelen is voornamelijk te wijten aan een evolutie van de genetische screenings (betere detectie van patiënten en dus meer patiënten behandeld) en een posologie (dosering) die doorgaans afhangt van het gewicht van de patiënt.</li> <li>- Gebruik beperkt tot ziekenhuizen (niet beschikbaar in de publieke apothekers).</li> <li>- Gezien hun kost enerzijds en de vaak geringe kennis over deze ziektes anderzijds, is de terugbetaling voor deze geneesmiddelen vaak verbonden aan bepaalde voorwaarden.</li> <li>- De aanvragen voor terugbetaling worden onderzocht door een College, samengesteld uit 2 artsen/specialisten in de ziekte en haar behandeling, en adviserend artsen.</li> <li>- Er zijn relatief weinig gegevens over de werkzaamheid en de veiligheid beschikbaar, o.a. omwille van de zeldzaamheid van de ziekte.</li> </ul>
2	A16AB07	Alglucosidase alfa	Myozyme®	10	€ 333.986	Langdurige enzymvervangings therapie (ERT = Enzyme Replacement Therapy) bij patiënten met een bevestigde diagnose van de <b>ziekte van Pompe</b> (aangeboren metabole aandoening). Kan leiden tot toenemende zwakte van o.a. skeletspieren, en de ademhalingspijpen die	<ul style="list-style-type: none"> <li>- <b>Weesgeneesmiddel</b> voor een zeldzame aandoening.</li> <li>- Evolutie van de uitgaven in deze geneesmiddelenklasse is voornamelijk te wijten aan een evolutie van de genetische screenings (betere detectie van patiënten) en een posologie die doorgaans afhangt van het gewicht van de patiënt.</li> <li>- Gebruik beperkt tot ziekenhuizen (niet beschikbaar in de openbare officina).</li> <li>- Gezien hun kost enerzijds en de vaak geringe kennis over deze ziektes anderzijds, is de terugbetaling voor deze geneesmiddelen vaak verbonden aan bepaalde voorwaarden.</li> </ul>

						kunnen leiden tot motorische en respiratoire problemen.	<ul style="list-style-type: none"> <li>- De aanvragen voor terugbetaling worden onderzocht door een College, samengesteld uit artsen/specialisten in de ziekte en haar behandeling, en adviserend artsen.</li> <li>- Er zijn relatief weinig gegevens over de werkzaamheid en de veiligheid beschikbaar, o.a. omwille van de zeldzaamheid van de ziekte.</li> </ul>
3	A16AB02	Imiglucerase	Cerezyme®	5	€ 315.014	Langdurige enzymvervangings therapie bij patiënten met een bevestigde diagnose van niet-neuronopathische (type 1) of chronische neuronopathische (type 3) <b>ziekte van Gaucher</b> (zeldzame aangeboren stofwisselingsziekte).	<ul style="list-style-type: none"> <li>- <b>Zeldzame aandoening.</b></li> <li>- Evolutie van de uitgaven in deze klasse van geneesmiddelen is voornamelijk te wijten aan een evolutie van de genetische screenings (betere detectie van patiënten, dus meer patiënten behandeld) en een posologie die doorgaans afhangt van het gewicht van de patiënt.</li> <li>- Gebruik beperkt tot ziekenhuizen (niet beschikbaar in de openbare officina).</li> <li>- Cerezyme heeft geen weesstatuut.</li> <li>- De terugbetaling verloopt niet via een College.</li> <li>- Er zijn relatief weinig gegevens over de werkzaamheid en de veiligheid beschikbaar, o.a. omwille van de zeldzaamheid van de ziekte.</li> </ul>
4	R07AX02	Ivacaftor	Kalydeco®	5	€ 244.180	Gebruikt bij bepaalde vormen van <b>mucoviscidose</b> .	<ul style="list-style-type: none"> <li>- <b>Weesgeneesmiddel.</b></li> <li>- Terugbetaald sinds 1/02/2016. Dit geneesmiddel is ingeschreven via een overeenkomst tussen het bedrijf en het RIZIV ('art.81/111').</li> <li>- Het gaat om een nieuwe klasse van geneesmiddelen voor de behandeling van mucoviscidose (nieuw werkingsmechanisme). Gebruik beperkt tot ziekenhuizen.</li> <li>- De terugbetaling van dit geneesmiddel is verbonden aan bepaalde voorwaarden.</li> <li>- De aanvragen voor terugbetaling worden onderzocht door een College, samengesteld uit artsen/specialisten in de ziekte en haar behandeling, en adviserend artsen.</li> </ul>
5	A16AX14	migalastat	Galafold®	2	€ 208.805	Patiënten met de ziekte van <b>Fabry</b> (tekort aan $\alpha$ -galactosidase A) (zeldzame erfelijke stofwisselingsziekte) – orale behandeling.	<ul style="list-style-type: none"> <li>- <b>Weesgeneesmiddel</b> voor een zeldzame aandoening.</li> <li>- Evolutie van de uitgaven in deze klasse van geneesmiddelen is voornamelijk te wijten aan een evolutie van de genetische screenings (betere detectie van patiënten, dus meer patiënten behandeld) en een posologie die doorgaans afhangt van het gewicht van de patiënt.</li> </ul>

							<ul style="list-style-type: none"> <li>- Gebruik beperkt tot ziekenhuizen (niet beschikbaar in de openbare officina).</li> <li>- Gezien hun kost enerzijds en de vaak geringe kennis over deze ziektes anderzijds, is de terugbetaling voor deze geneesmiddelen vaak verbonden aan bepaalde voorwaarden.</li> <li>- De aanvragen voor terugbetaling worden onderzocht door een College, samengesteld uit artsen/specialisten in de ziekte en haar behandeling, en adviserend artsen.</li> <li>- Er zijn relatief weinig gegevens over de werkzaamheid en de veiligheid beschikbaar, o.a. omwille van de zeldzaamheid van de ziekte.</li> </ul>
6	A16AB03	Agalsidas e alfa	Replagal ®	4	€ 185.469	Langdurige enzymvervangings-therapie bij patiënten met een bevestigde diagnose van de ziekte van <b>Fabry</b> (tekort aan $\alpha$ -galactosidase A) (zeldzame erfelijke metabole aandoening).	<ul style="list-style-type: none"> <li>- <b>Weesgeneesmiddel</b> voor een zeldzame aandoening.</li> <li>- Evolutie van de uitgaven in deze klasse van geneesmiddelen is voornamelijk te wijten aan een evolutie van de genetische screenings (betere detectie van patiënten, dus meer patiënten behandeld) en een posologie die doorgaans afhangt van het gewicht van de patiënt.</li> <li>- Gebruik beperkt tot ziekenhuizen (niet beschikbaar in de openbare officina).</li> <li>- Gezien hun kost enerzijds en de vaak geringe kennis over deze ziektes anderzijds, is de terugbetaling voor deze geneesmiddelen vaak verbonden aan bepaalde voorwaarden.</li> <li>- De aanvragen voor terugbetaling worden onderzocht door een College, samengesteld uit artsen/specialisten in de ziekte en haar behandeling, en adviserend artsen.</li> <li>- Er zijn relatief weinig gegevens over de werkzaamheid en de veiligheid beschikbaar, o.a. omwille van de zeldzaamheid van de ziekte.</li> </ul>
7	L04AA25	Eculizum ab	Soliris ®	15	€ 184.196	Onder meer gebruikt voor Atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS) en Paroxismale nachtelijke hemoglobinurie (PNH).	<ul style="list-style-type: none"> <li>- <b>Weesgeneesmiddel</b></li> <li>- Gebruik beperkt tot ziekenhuizen (niet beschikbaar in de openbare officina).</li> <li>- Eerste inschrijving in 2009 (PNS, paroxismale nachtelijke hemoglobinurie), later uitbreiding van de indicatie (aHUS, atypisch Hemolytisch-Uremisch Syndroom), die in aanmerking komen voor een niertransplantatie, waarbij het eindstadium nierfalen veroorzaakt wordt door een aHUS). Deze laatste indicatie is terugbetaald via een overeenkomst tussen het bedrijf en het RIZIV ('art.81/111').</li> </ul>

8	B02BD03	Factor VIII inhibitor bypassing activity	Feiba	1	€ 159.900	<p>Geactiveerde stollingsfactor. Bevat verschillende stollingsfactoren en wordt gebruikt voor de behandeling en de preventie van bloedingen en als substitutietherapie bij chirurgische ingrepen in geval van hemofilie A met factor VIII-inhibitor en hemofilie B met factor IX-inhibitor. Wordt ook gebruikt bij ernstige levensbedreigende bloedingen bij patiënten zonder hemofilie met verworven inhibitoren tegen factoren VIII, XI en XII.</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Behoort tot de klasse van de <b>stollingsfactoren</b>.</li> <li>- In het algemeen nemen de uitgaven voor dit type van geneesmiddelen de laatste jaren sterk toe. Feiba behoort tot de klasse genaamd 'geactiveerd protrombinecomplex tegen factor VIII-antistoffen' (FEIBA = Factor Eight Inhibitor Bypassing Activity). Gebruik beperkt tot ziekenhuizen (niet beschikbaar in de openbare officina). Deze geneesmiddelen worden niet steeds volgens een vast schema gebruikt, maar gebruik en duur is afhankelijk van verschillende factoren die van jaar tot jaar kunnen verschillen. Ook de kosten kunnen dus van jaar tot jaar verschillend zijn.</li> <li>- Sinds 1/7/2019 is er een betere omkadering van de terugbetaling (voor meer info, zie site <a href="#">RIZIV</a>).</li> <li>- Enkel terugbetaald: <ul style="list-style-type: none"> <li>o als ze wordt toegediend in ziekenhuis bij een patiënt met een ernstige bloeding gekenmerkt door een of meerdere van volgende factoren: levensbedreigend en/of lidmaatbedreigend en/of orgaanbedreigend en/of bloeding in het centrale zenuwstelsel, en lijdend aan hemofilie A, hemofilie B, Von Willebrand type 1,2,3, deficiëntie inzake een stollingsfactor gebonden aan de aanwezigheid van remmers tegen stollingsfactor, de ziekte van Glanzmann (thrombasthenie) met eerdere of huidige ongevoeligheid voor bloedplaatjestransfusie of wanneer bloedplaatjes niet direct beschikbaar zijn, congenitale deficiëntie in proconvertine. Behandeling gebeurt in overleg met referentiecentrum.</li> <li>o als ze zijn voorgeschreven voor de behandeling en het voorkomen van bloedingen die zich voordoen bij patiënten met een deficiëntie inzake een stollingsfactor gebonden aan de aanwezigheid van remmers tegen stollingsfactor indien ze wordt voorgeschreven door een arts-specialist in inwendige geneeskunde, hematologie, pediatrie of pediatrie hemato-oncologie, verbonden aan een referentiecentrum.</li> </ul> </li> </ul>
---	---------	--	-------	---	-----------	---	---

9	A16AB04	Agalsidas e beta	Fabrazyme ®	9	€ 151.161	Voor langdurige enzymvervangingstherapie bij patiënten met een bevestigde diagnose van de ziekte van <b>Fabry</b> ( $\alpha$ - galactosidase A deficiëntie).(zeldzame aangeboren metabole aandoening)	<ul style="list-style-type: none"> <li>- <b>Weesgeneesmiddel</b> voor een zeldzame aandoening.</li> <li>- Evolutie van de uitgaven in deze geneesmiddelenklasse is voornamelijk te wijten aan een evolutie van de genetische screenings (betere detectie van patiënten en dus meer patiënten behandeld) en een posologie die doorgaans afhangt van het gewicht van de patiënt.</li> <li>- Gebruik beperkt tot ziekenhuizen (niet beschikbaar in de openbare officina).</li> <li>- Gezien hun kost enerzijds en de vaak geringe kennis over deze ziektes anderzijds, is de terugbetaling voor deze geneesmiddelen vaak verbonden aan bepaalde voorwaarden.</li> <li>- De aanvragen voor terugbetaling worden onderzocht door een College, samengesteld uit artsen/specialisten in de ziekte en haar behandeling, en adviserend artsen.</li> <li>- Er zijn relatief weinig gegevens over de werkzaamheid en de veiligheid beschikbaar, o.a. omwille van de zeldzaamheid van de ziekte.</li> </ul>
1 0	B02BD02	Coagulati on factor VIII	Recombinate ®, Factane ®, Octanate ®, Refacto ®, Novoeight ®, Nuwiq®, Advate®, Kovaltry®, etc	97	€ 136.283	Verschillende geneesmiddelen voor de behandeling en preventie van bloedingen bij patiënten met hemofilie A (aangeboren factor VIII- deficiëntie).	<ul style="list-style-type: none"> <li>- <b>Stollingsfactor.</b></li> <li>- In het algemeen nemen de uitgaven voor dit type van geneesmiddelen de laatste jaren sterk toe.</li> <li>- Sinds 1/7/2019 is er een betere omkadering van de terugbetaling (voor meer info, zie site <a href="#">RIZIV</a>).</li> </ul>