

Wijzigingen in Kaftrio terugbetaling vanaf 1 februari 2023

Hoofdstuk IV, § 11630000 (aangepast)

a) De farmaceutische specialiteit op basis van werkzame bestanddelen ivacaftor, tezacaftor en elexacaftor en de farmaceutische specialiteit op basis van ivacaftor, beiden ingeschreven in de huidige paragraaf, komen in aanmerking voor vergoeding voor een periode van 12 maanden indien ze toegediend worden in een combinatieschema bij een rechthebbende van 12 6 jaar of ouder die lijdt aan mucoviscidose (CF) gediagnosticeerd op basis van :

- de aanwezigheid van 2 CF-geassocieerde mutaties, waarvan ten minste één F508del-mutatie in het CFTR-gen.
- En op basis van de aanwezigheid van:
 - chronische sino-pulmonale ziekte zoals aangetoond door één van de volgende elementen :
 - de gemiddelde éénsecondewaarde (ESW) van de laatste vier driemaandelijke longfunctietesten die lager is dan 80 90% van de referentiewaarde voor de rechthebbende,
 - en/of minstens één gedocumenteerde exacerbatie in de afgelopen 12 maanden (waarvoor behandeling met aanvullende antibiotica nodig was),
 - en/of CF gerelateerde longabnormaliteiten gedocumenteerd door de meest recente thoraxscan (die kunnen bestaan uit bronchiëctasieën, diffuse bronchiale wandverdikking, bronchiolitis ("tree in bud" patroon en "air trapping"), atelectase, longcysten/blaaiesjes, pneumothorax).
 - en/of gastro-intestinale afwijkingen zoals pancreasinsufficiëntie of herhaalde pancreatitis;
 - En/of afwijkingen van de nutritionele status, aangetoond door een lagere body mass index (BMI) dan de referentiewaarde voor de rechthebbende (gedefinieerd als BMI z score < of = -1)
- En die nog geen longtransplantatie onderging.

b) De vergoeding van de betrokken farmaceutische specialiteiten dient te worden aangevraagd door een arts-specialist in de pediatrie of in de pneumologie verbonden aan een door het RIZIV erkend referentiecentrum voor mucoviscidose (code 7891), en verantwoordelijk voor de behandeling.

- 7.89.105.87 Muco-Referentiecentrum Antwerpen
- 7.89.101.91 Universitair Ziekenhuis Brussel Mucoviscidose referentiecentrum

Chapitre IV, § 11630000 (modifié)

a) Les spécialités pharmaceutiques inscrites au présent paragraphe, l'une à base des principes actifs ivacaftor, tezacaftor et elexacaftor, l'autre à base du principe actif ivacaftor, font l'objet d'un remboursement pour une période de 12 mois si elles sont administrées en association chez un bénéficiaire de 12 6 ans et plus, atteint de mucoviscidose (CF) diagnostiquée sur base de :

- La présence de 2 mutations CF associées, dont au moins une mutation F508del du gène CFTR,
- Et le bénéficiaire présente sur base de la présence :
 - d'une maladie chronique sino-pulmonaire, démontrée par un des éléments suivants :
 - la valeur moyenne du volume expiratoire maximal par seconde (VEMS), obtenue lors des 4 derniers tests trimestriels de fonction respiratoire est inférieure à 80 90% de la valeur de référence pour le bénéficiaire,
 - et/ou au moins une exacerbation documentée au cours des 12 derniers mois (nécessitant un traitement par antibiotiques supplémentaires),
 - et/ou des anomalies pulmonaires liées à la CF documentées par le scanner thoracique le plus récent (pouvant inclure des bronchiectasies, un épaississement diffus de la paroi bronchique, une bronchiolite (« tree in bud » et « air trapping »), une atelectasie, des kystes/alvéoles pulmonaires, un pneumothorax).
 - et/ou des altérations gastro-intestinales, telles qu'une insuffisance pancréatique ou une pancréatite récurrente ;
 - et/ou des altérations de l'état nutritionnel, démontrées par un indice de masse corporelle (IMC) inférieur aux valeurs de référence utilisées pour le bénéficiaire (défini comme le score z de l'IMC < ou = -1)
- Et le bénéficiaire n'a pas déjà subi de transplantation pulmonaire.

b) Le remboursement des spécialités pharmaceutiques concernées doit être demandé par un médecin spécialiste en pédiatrie ou en pneumologie, attaché à un centre de référence reconnu par l'INAMI pour la mucoviscidose (code 7891), et responsable du traitement.

- 7.89.105.87 Muco-Referentiecentrum Antwerpen
- 7.89.101.91 Universitair Ziekenhuis Brussel Mucoviscidose referentiecentrum

- 7.89.102.90 Cliniques Universitaires Saint-Luc Centre de référence de la mucoviscidose UCL Saint-Luc
- 7.89.103.89 Hôpital Erasme- Hôpital des Enfants Reine Fabiola Institut de Mucoviscidose ULB
- 7.89.107.85 Centre Liégeois de rééducation fonctionnelle pour la mucoviscidose CHR de la Citadelle
- 7.89.104.88 U.Z. Gent Referentiecentrum voor Mucoviscidose
- 7.89.106.86 Muco-Referentiecentrum Gasthuisberg Leuven UZ Gasthuisberg

De vergoeding, **in geval van toekenning**, is beperkt tot de aflevering door de ziekenhuisapotheker van een door het RIZIV erkend referentiecentrum voor mucoviscidose en voor zover de betrokken ziekenhuisapotheker, vooraleer de specialiteit verstrekt wordt, beschikt over een bewijs van het elektronisch akkoord.

c) Het aantal vergoedbare verpakkingen zal rekening houden met een maximale dagelijkse posologie van:

- twee filmomhulde tabletten die elk 75 mg ivacaftor, 50 mg tezacaftor en 100 mg elexacaftor bevat in combinatie met één tablet die 150 mg ivacaftor bevat voor volwassenen en kinderen met een gewicht **van** > of = 30 kg
- **twee filmomhulde tabletten die elk 37,5 mg ivacaftor, 25 mg tezacaftor en 50 mg elexacaftor bevat in combinatie met één tablet die 75 mg ivacaftor bevat voor kinderen met een gewicht van < 30 kg**

en dit aan een maximum van 13 verpakkingen per jaar voor beide specialiteiten overeenkomstig de bepalingen die in de Samenvatting van de Kenmerken van het Product (SKP) van de betrokken farmaceutische specialiteiten zijn vermeld.

d) De vergoeding wordt toegekend per hernieuwbare periode van maximaal 12 maanden op basis van een elektronische aanvraag, ingediend door de via het e-Health platform geïdentificeerde en geauthentificeerde arts-specialist vermeld onder punt b) hierboven die aldus verklaart:

- dat de betrokken rechthebbende zich op het moment van de aanvraag in de hierboven onder punt a) vermelde situatie bevindt;
- zich ertoe te verbinden de bewijsstukken met betrekking tot de situatie van de rechthebbende (bv. diagnosestelling, klinische presentaties, en indien het een aanvraag tot hernieuwing van de vergoeding betreft, de elementen die betrekking hebben op de klinische evolutie van de rechthebbende ter beschikking te houden van de adviserend-arts op eenvoudig verzoek;
- zich ertoe te verbinden de volgende elementen bij te houden in het dossier van de rechthebbende :

- 7.89.102.90 Cliniques Universitaires Saint-Luc Centre de référence de la mucoviscidose UCL Saint-Luc
- 7.89.103.89 Hôpital Erasme- Hôpital des Enfants Reine Fabiola Institut de Mucoviscidose ULB
- 7.89.107.85 Centre Liégeois de rééducation fonctionnelle pour la mucoviscidose CHR de la Citadelle
- 7.89.104.88 U.Z. Gent Referentiecentrum voor Mucoviscidose
- 7.89.106.86 Muco-Referentiecentrum Gasthuisberg Leuven UZ Gasthuisberg

Le remboursement, **en cas d'octroi**, est limité à la délivrance par un pharmacien hospitalier attaché à un centre reconnu par l'INAMI pour la mucoviscidose et ce pour autant que le pharmacien hospitalier concerné dispose, préalablement à la délivrance des spécialités, d'une preuve de l'accord électronique.

c) Le nombre de conditionnements remboursables tiendra compte d'une posologie journalière maximale de :

- 2 comprimés pelliculés contenant 75 mg ivacaftor, 50 mg tezacaftor et 100 mg elexacaftor ; en combinaison avec 1 comprimé contenant 150 mg d'ivacaftor, pour les adultes et les enfants **de dont le poids est** > ou = 30 kg.
- **deux comprimés pelliculés contenant 37,5 mg ivacaftor 25 mg tezacaftor et 50 mg elexacaftor en combinaison avec 1 comprimé pelliculé contenant 75 mg ivacaftor pour les enfants dont le poids est < 30 kg**

soit un maximum de 13 conditionnements par période de 12 mois pour chacune des deux spécialités conformément aux dispositions mentionnées dans le Résumé des Caractéristiques du Produit (RCP) des spécialités pharmaceutiques concernées.

d) Le remboursement est accordé par période renouvelable de 12 mois maximum, sur base d'une demande de remboursement électronique introduite par le médecin spécialiste identifié et authentifié par la plateforme e-Health, décrit sous b) ci-dessus, qui ainsi, simultanément atteste :

- que le bénéficiaire concerné se trouve, au moment de la demande, dans la situation visée au point a) ci-dessus;
- de s'engager à tenir à la disposition du médecin conseil les preuves relatives à la situation du bénéficiaire (les éléments relatifs au diagnostic et aux manifestations cliniques susvisées, et, lorsqu'il s'agit d'une demande de renouvellement de remboursement, les éléments relatifs à l'évolution clinique du bénéficiaire,...) sur simple demande;
- de s'engager à conserver dans le dossier du bénéficiaire les éléments qui permettent :

- het boven vermelde, door het RIZIV erkend referentiecentrum voor mucoviscidose waaraan de arts-specialist verbonden is;
 - de betrokken ziekenhuisapotheeker, die samen werkt met het door het RIZIV erkende referentiecentrum voor mucoviscidose.
 - de specifieke mutaties in het CFTR-gen die aan de oorzaak liggen van de aandoening.
- zich ertoe te verbinden om mee te werken aan de registratie en verzameling van de gecodeerde gegevens die betrekking hebben op de evolutie en uitkomst van de betrokken rechthebbende via het Belgisch Mucoviscidose Register.
- e) De rechthebbende dient per periode van 12 maanden behandeling geëvalueerd te worden om na te gaan of de rechthebbende nog steeds in aanmerking kan komen voor vergoeding. De machtiging voor vergoeding van de betrokken specialiteiten kan niet worden hernieuwd indien, in vergelijking met de voorgaande 12 maanden :
- de gemiddelde éénsecondewaarde (ESW) van de laatste vier driemaandelijke longfunctietesten lager is dan 90% van de gemiddelde éénsecondewaarde van het voorgaande jaar, behalve indien hiervoor een alternatieve verklaring bestaat (zoals bijvoorbeeld het optreden van niet-CFTR-modulatorgerelateerde complicaties met impact op de longfunctie).
 - en er geen aantoonbare reductie in het aantal gedocumenteerde exacerbaties is tegenover het jaar voor de start van de behandeling met de CFTR modulator;
 - en er een achteruitgang is van de nutritionele status, zoals gemeten door de BMI, tenzij hiervoor een alternatieve verklaring bestaat (optreden van niet-CFTR-modulatorgerelateerde complicaties);
 - en er een achteruitgang van de levenskwaliteit is, zoals gemeten door middel van de CFQ-R vragenlijst tenzij hiervoor een alternatieve verklaring bestaat (optreden van niet-CFTR-modulatorgerelateerde complicaties).
- f) De gelijktijdige vergoeding met specialiteiten op basis van de actieve bestanddelen tezacaftor of lumacaftor is nooit toegelaten.
- d'identifier le centre de référence susvisé en matière de mucoviscidose reconnu par l'INAMI auquel le médecin spécialiste est attaché;
 - d'identifier le pharmacien hospitalier de référence, collaborant avec le centre de référence reconnu par l'INAMI pour la mucoviscidose.
 - les mutations spécifiques du gène CFTR à l'origine de l'affection.
- de s'engager à collaborer à l'enregistrement et la collecte des données codées relatives à l'évolution et au devenir du bénéficiaire concerné via le Registre Belge de la Mucoviscidose.
- e) Le bénéficiaire doit être évalué par période de 12 mois de traitement pour déterminer s'il est toujours éligible au remboursement. L'autorisation de remboursement des spécialités concernées ne peut pas être renouvelée si, comparativement aux résultats des 12 mois précédents :
- la valeur moyenne du volume expiratoire maximal par seconde (VEMS), obtenue lors des 4 derniers tests trimestriels de fonction respiratoire est inférieure à 90% de la valeur moyenne obtenue l'année précédente, sauf s'il existe une autre explication (occurrence de complications non liées au modulateur CFTR avec impact sur la fonction pulmonaire),
 - et le nombre d'exacerbations documentées n'a pas été réduit par rapport à l'année précédant le début du traitement par le modulateur;
 - et il y a un déclin de l'état nutritionnel, tel que mesuré par l'IMC, sauf s'il existe une autre explication (occurrence de complications non liées au modulateur CFTR) ;
 - et la qualité de vie s'est dégradée sur base d'un questionnaire tel que le CFQ-R , sauf s'il existe une autre explication (occurrence de complications non liées au modulateur CFTR).
- f) Le remboursement simultané avec les spécialités à base du principe actif tezacaftor ou lumacaftor n'est jamais autorisé.