



Weesgeneesmiddelarrangement avacopan

Doel arrangement

Doel van deze afspraken is om een passende inzet van avacopan te bevorderen.

Betrokken organisaties

Nederlandse Federatie voor Nefrologie
Nederlandse Vereniging voor Reumatologie
Vasculitis Stichting;
Zorgverzekeraars Nederland;
Zorginstituut Nederland.

Versiebeheer

Datum	Versie
20-03-2025	Definitieve versie
28-01-2025	Aanscherping monitoring
18-12-2024	Herziening samenstelling expertisecentra
01-10-2024	Herziening ORPHA-codes
17-09-2024	Herziening ORPHA-codes
11-09-2024	Concept definitieve versie
02-09-2024	9 ^e versie: aanpassing bewoording inzet één expertiseadvies
28-08-2024	8 ^e versie: inzet één expertiseadvies i.p.v. twee; toevoegen UMCU aan lijst expertisecentra.
26-06-2024	7 ^e versie
14-06-2024	6 ^e versie met wijzigingen vanuit de NVR, aangevuld met wijzigingen vanuit ZIN.
09-04-2024	5 ^e versie o.b.v. feedback WV-en
19-12-2023	4 ^e concept van NFN in afstemming met ARCH en vasculitis stichting, aangevuld met wijzigingen vanuit ZIN.
07-12-2023	Feedback ZN en NZa op expertiseadvies
24-08-2023	3 ^e concept van NFN in afstemming met ARCH en vasculitis stichting
15-08-2023	Feedback van Zorginstituut op 2 ^e concept
07-07-2023	2 ^e concept van NFN in afstemming met ARCH en vasculitis stichting
15-06-2023	Feedback van Zorginstituut op 1 ^e concept
06-06-2023	1e concept van NFN in afstemming met ARCH en vasculitis stichting

Organisatie van zorg en rol expertisecentra

Patiënten met ANCA-geassocieerde vasculitis worden door verschillende medisch specialisten behandeld in zowel regionale als academische ziekenhuizen.

Een aantal ziekenhuizen heeft specifieke expertise ten aanzien van diagnostiek en behandeling van vasculitis en is daarmee aangemerkt als expertisecentrum. Dit kunnen door [VWS-erkende expertisecentra voor zeldzame aandoeningen \(ECZA\)](#)^{1,2} zijn of door [STZ erkende topklinisch expertisecentra \(STZ TEC\)](#).³

Zorginstituut Nederland
Zorg
Geneesmiddelen

Onze referentie
2023023302

Expertisecentra op het gebied van ANCA geassocieerde vasculitis spelen een centrale rol in de gepaste inzet van avacopan. Voor adequate diagnostiek, zorg en behandeling van zeldzame aandoeningen hebben expertisecentra een toegevoegde waarde met korte lijnen naar (aanvullende) expertise in Europa middels de Europese Referentie Netwerken. Het expertisecentrum biedt advies en ondersteuning aan behandelend medisch specialisten in andere ziekenhuizen.

Binnen of in afstemming met een expertisecentrum vinden de volgende beslistmomenten plaats t.a.v. de inzet van avacopan:

- Beoordelen indicatiestelling aan de hand van de Indicatiecriteria
- Evaluatie van het behandel-effect en stoppen van avacopan aan de hand van de Stopcriteria

De beoordeling van de indicatiestelling vindt plaats door of in afstemming met een expertisecentrum. Ofwel doordat de behandeling plaatsvindt in het expertisecentrum, ofwel middels een advies vanuit een expertisecentrum.

Inzet expertiseadvies

De prestatie 'Expertiseadvies'⁴ is ingevoerd om de expertise van erkende expertisecentra voor zeldzame aandoeningen, toegankelijker te maken en om ervoor te zorgen dat meer patiënten sneller de juiste diagnose en behandeling krijgen.⁴ Een expertiseadvies is een "door de hoofdbehandelaar van de patiënt geïnitieerde beoordeling van de gestelde diagnose en/of voorgestelde behandeling, uitgevoerd door een tweede, (onafhankelijke) medisch specialist werkzaam bij een erkend expertisecentrum voor zeldzame aandoeningen".⁴ Door de inzet van het expertiseadvies kan een medisch specialist, werkzaam in een expertisecentrum, adviseren over de juiste diagnostiek en/of behandel(-traject) voor de desbetreffende patiënt. Zowel de start als de evaluatie van het behandel-effect van avacopan valt onder één expertiseadvies. Hierdoor kan de patiënt onder behandeling blijven bij de aanvragend hoofdbehandelaar wetend dat een inhoudelijk expert hierover geadviseerd heeft.

Een expertiseadvies dient te voldoen aan de declaratievoorwaarden van de NZa. De handreiking Expertiseadvies van de FMS schrijft hierover het volgende:⁴

¹ Centra met een erkenning voor één van de volgende aandoeningen beschouwen we als expertisecentra voor avacopan
ORPHA-52759 Vasculitis
ORPHA-93548 Glomerular disease
ORPHA-156152 ANCA-associated vasculitis
ORPHA-900 granulomatosis with polyangiitis
ORPHA-727 microscopic polyangiitis
ORPHA-97563 pauci-immune glomerulonephritis with ANCA
ORPHA-97564 pauci-immune glomerulonephritis without ANCA

² Het Erasmus MC heeft expertise-erkenningen voor meerdere zeldzame systeemziekten.

³ STZ centra met een erkenning voor één van de volgende aandoeningen beschouwen we als expertisecentra voor avacopan
STZ TEC Vasculitis

STZ TEC Systemische autoimmuunziekten

⁴ [FMS – Handreiking Expertiseadvies](#);

<https://www.nza.nl/zorgsectoren/medisch-specialistische-zorg/registreren-en-declareren>.

Voor de declaratie van het expertiseadvies gelden onderstaande aanvullende voorwaarden:

- het advies is uitgevoerd door een in Nederland door VWS erkend expertisecentrum voor zeldzame aandoeningen (ECZA)⁵;
- de aanvrager heeft, met toestemming van de patiënt, alle benodigde patiëntgegevens en medische informatie gedeeld met het expertisecentrum;
- verslaglegging van het expertiseadvies (zoals de beoordeelde uitslagen en/of geadviseerde behandelopties) is terug te vinden in het medisch dossier van de aanvrager.

De prestatie expertiseadvies kan dus alleen gedeclareerd worden als een expertisecentrum met een ECZA-erkenning is geraadpleegd¹ – en niet bij raadpleging van expertisecentra zonder een ECZA-erkenning.

Omdat ANCA-geassocieerde vasculitis een systemische auto-immuunziekte behelst waarbij meerdere orgaansystemen kunnen zijn aangedaan, en meerdere medische specialismen noodzakelijk zijn, wordt een expertiseadvies vaak met input van meerdere disciplines geformuleerd. De regionale overlegmomenten van Autoimmune Research and Collaboration Hub (ARCH) lenen zich ervoor om tot een expertiseadvies te komen. Hierbij kan gebruik worden gemaakt van het digitaal expertiseconsultatie-portaal.

Indicatiecriteria

Avacopan is geïndiceerd voor ANCA geassocieerde vasculitis (AAV) patiënten, van 16 jaar en ouder, met het klinische subtype GPA of MPA met actieve ziekte, waarvoor een remissie-inductiebehandeling met rituximab en/of cyclofosfamide geïndiceerd is, en waarbij sprake is van ten minste één van de volgende criteria:

1. AAV-patiënten met een hoge, cumulatieve steroïdexpositie (en derhalve verhoogd risico op steroïde-gerelateerde bijwerkingen) zijnde
 - a. Relapsende ziekte: Bekende GPA/MPA-patiënten die na het bereiken van een klinische remissie opnieuw een opvlamming van ziekte krijgen onderbouwd door 1 of meer objectiveerbare klinisch gegeven(s). Een opvlamming kan ontstaan tijdens van immuunsuppressieve onderhoudsbehandeling maar ook na een periode van medicatievrije remissie.
 - b. Therapie-refractaire ziekte: Bekende GPA/MPA-patiënten die persisterende ziekteactiviteit hebben of prednisolon niet onder de 7.5 mg/dag kan afbouwen zonder dat de ziekte terugkeert, onderbouwd door 1 of meer objectiveerbare klinisch gegeven, ondanks intensieve immuunsuppressieve therapie
2. Patiënten met voorafgaand aan het starten van hoge dosis corticosteroiden reeds vastgestelde co-morbiditeit, welke kan verergeren door het gebruik van corticosteroiden:
 - a. Bekende moeilijk instelbare DM2 (HbA1c herhaaldelijk > 55), morbide obesitas (BMI ≥ 35), ernstige osteoporose (o.b.v. botdensitometrie) en/of psychiatrische problematiek.
 - b. Patiënten die reeds in verleden bewezen steroïde-gerelateerde toxiciteit (zoals in a. benoemd) hebben gehad.
3. Patiënten met actieve glomerulonefritis en een snel verslechterende nierfunctie (eGFR < 30 ml/min) ondanks het initiëren van intensieve immuunsuppressieve therapie. N.B. avacopan is gecontraïndiceerd bij eGFR < 15 ml/min.

Zorginstituut Nederland
Zorg
Geneesmiddelen

Onze referentie
2023023302

⁵ <https://www.rijksoverheid.nl/onderwerpen/kwaliteit-van-de-zorg/expertisecentra-zeldzame-aandoeningen>

Het vaststellen van de indicatiestelling vindt per individuele AAV-patiënt plaats door of in afstemming met een erkend expertisecentrum op het gebied van ANCA-geassocieerde vasculitis. Hierbij dient expliciet aangegeven te worden aan welk van de drie criteria een patiënt voldoet. Daarbij is behandeling met avacopan alleen geïndiceerd in combinatie met een rituximab- of cyclofosfamideregime.

Evaluatie van het behandelresultaat

Bij elke individuele patiënt dient het behandelresultaat geëvalueerd te worden. Bij deze beoordelingsmomenten dient de klinische effectiviteit geëvalueerd te worden, namelijk in hoeverre klinische remissie is bereikt. Bij twijfels of vragen over de effectiviteit van de behandeling of vragen over het stoppen van de behandeling kan de behandelend medisch specialist het expertisecentrum om advies vragen.⁶

Stopcriteria

Op basis van internationale richtlijnen, wordt geadviseerd om de behandeling met avacopan te stoppen binnen 6-12 maanden. Dit aangezien de effectiviteit van het gebruik van avacopan langer dan 12 maanden niet bekend is. De effecten van het stoppen met avacopan zijn echter evenmin bekend.

Gezien de onzekerheid over het meest passende moment om avacopan te stoppen, hanteert de beroepsgroep in het belang van passende zorg de volgende stopcriteria:

- Avacopan kan tussen 6 en 12 maanden gestopt worden indien er een stabiele, complete remissie is bereikt én een adequate onderhoudsbehandeling ter voorkoming van ziekte opvlammingen gestart is;
- Avacopan kan te allen tijde gestopt worden op uitdrukkelijke wens van de patiënt;
- Avacopan kan te allen tijde gestopt worden indien bij een patiënt een zodanige korte levensverwachting ingeschat wordt dat verdere behandeling met avacopan geen toegevoegde waarde heeft;
- Avacopan kan te allen tijde gestopt worden indien er een bijwerking of intolerantie optreedt die gerelateerd wordt aan avacopan.

De behandelend medisch specialist neemt (samen met de patiënt) het besluit om te stoppen met behandeling met avacopan. De behandelend medisch specialist/hoofdbehandelaar signaleert op basis van de stopcriteria wanneer stoppen aangewezen is. Indien er vragen of twijfels zijn over het stoppen van de behandeling met avacopan, kan de behandelend medisch specialist het expertisecentrum benaderen voor advies.⁶

In het EPD wordt, zoals gebruikelijk is, vastgelegd op welk moment in de behandeling(tijd) de behandeling is gestopt en om welke reden. Bij ineffectiviteit van een avacopan-gebaseerde behandelstrategie wordt bepaald of sprake is van een therapie-refractaire ziekte, waarvoor verdere behandeling door een expertisecentrum overgenomen kan worden.

⁶ Voor dit additionele contactmoment dient geen tweede expertiseadvies gedeclareerd te worden. Deze vallen in beginsel onder dezelfde zorgvraag. Zie toelichting [FMS – Handreiking Expertiseadvies](#), pagina 8.

Monitoring

In declaratiedata kan gemonitord worden:

- Of avacopan wordt opgestart bij patiënten die ofwel in behandeling zijn bij een expertisecentrum, ofwel een ECZA-expertisecentrum hebben geraadpleegd voorafgaand aan de initiatie van avacopan middels een expertiseadvies (Za-code 190174 of 190175). Adviezen vanuit expertisecentra zonder ECZA-erkenning zijn niet zichtbaar in declaratiedata.
- Wat de behandelduur is van avacopan in de praktijk.

Mocht uit monitoringsresultaten blijken dat de inzet van avacopan in de praktijk afwijkt van de afspraken, dan zal het Zorginstituut deze monitoringsresultaten delen met de betrokken en hierover met hen in gesprek gaan.

Zorginstituut Nederland
Zorg
Geneesmiddelen

Onze referentie
2023023302

Bijlage 1

De internationale ERA/EULAR (Europese wetenschappelijke verenigingen van Reumatologie en Nefrologie) richtlijn⁷ en het gepubliceerde advies vanuit de werkgroep Immunonefrologie van de ERA (Europese wetenschappelijke vereniging)⁸ gaven de volgende adviezen mee aan de beroepsgroep t.a.v. het gebruik van avacopan:

- 1 EULAR recommendation 6: Avacopan, in combination with RTX or CYC, may be considered for induction of remission in GPA or MPA as part of a strategy to substantially reduce exposure to GCs. Additional commentary:
 - a There are no data on use of avacopan beyond 1 year, so longer-term use cannot be recommended.
 - b We recommend consideration of avacopan in those subgroups that are likely to have enhanced benefit compared with GC therapy, that is, patients at risk of development or worsening of GC-related adverse effects and complications or patients with active glomerulonephritis and rapidly deteriorating kidney function who had better recovery of kidney function with avacopan
 - c In the treatment algorithm it is commented to stop avacopan after duration of treatment of 6–12 months; there are no data on use of avacopan beyond 1 year, so longer-term use cannot be recommended.
- 2 The ERA Immunonephrology working group summarized as follows: the adjunct use of avacopan is effective and safe, with promising effects on kidney recovery and, thus, its use should be encouraged particularly in patients with severe kidney involvement.

Zorginstituut Nederland
Zorg
Geneesmiddelen

Onze referentie
2023023302

⁷ DOI: 10.1136/ard-2022-223764

⁸ DOI: 10.1093/ndt/gfad090