

Q&A bij de CAR-T nota voor de centra na het verzamelen van de schriftelijke commentaren op de CAR-T nota van 18 augustus

Bilan: aantal reacties: 13

akkoord zondermeer: 2 ; mineure suggesties: 4 ; majeure opmerkingen: 7

Vraag tot aanpassing van de terminologie

*In juni 2025 heeft JACIE formeel beslist om de term JACIE accreditatie te vervangen door **JACIE certificaat**. (suggestie)*

Antwoord: dank voor deze update, de nieuwe bewoording wordt consequent in de nieuwe versie van de nota doorgevoerd.

*Er worden een aantal tekstuele aanpassingen voorgesteld zoals bijvoorbeeld het feit dat het huidige landschap tot mei 2025 gericht was op **B-cel** lymfomen en **B-cel** leukemieën, etc... (suggesties)*

Antwoord: dergelijke tekstuele aanvullingen zijn waardevol om de context correct te schetsen en worden integraal doorgevoerd in de nota.

De insteek van de nota van de ‘veiligheid van de behandeling als primum movens’ wordt door menigeen bevestigd. Er komen in dat kader nog een aantal suggesties zoals de vraag voor vermelding van immune-cell-associated hematological toxicity (ICAHT) als bijwerking. (suggestie)

Antwoord: dergelijke inhoudelijke aanpassingen zijn waardevol en worden doorgevoerd in het document voor zover er consensus is. Het is finaal van belang om een veilige, kwalitatieve en doelmatige therapie aan te kunnen bieden aan de patiënt.

Opmerkingen op de inleidende tekst (kader en vaststellingen)

Vanaf februari 2026 zal voor JACIE een minimale klinische activiteit van drie immuun effector celtherapieën (breder dan CAR-T) vereist zijn. (suggestie)

Antwoord: dit aantal werd inmiddels bevestigd in de FACT-JACIE internationale standaarden voor de toediening van hematopoëtische cellulaire therapie (28 oktober 2025) en is in de nota toegevoegd.

België is vandaag niet nummer 1 wat betreft het aantal centra binnen de BENELUXA samenwerking. (opmerking)

Antwoord: er is momenteel een constante evolutie in de terugbetaalde CAR-Ts en het aantal centra in de EU landen rondom ons, waardoor de cijfers opgevraagd door het Bureau snel gedateerd zijn. België heeft per capita zeker een ruim aantal centra (dat wordt ook in enkele reacties herhaald) maar de vermelding van de koppositie in de nota zal worden geschrapt wegens de tijdelijkheid ervan.

Er wordt opgemerkt dat de EU registratievereiste voor de vergunninghouder om de centra voor elk nieuw product te kwalificeren, tijdrovend is voor het werkveld.

Antwoord: aan Europese vereisten **valt weinig te tornen**. Ingewonnen juridisch advies bevestigt dit.

Er komt een opmerking over de vermelding in de nota dat “budgettaire overwegingen meespelen in de genegotieerde prijs van behandeling maar verder ondergeschikt zijn aan veiligheid en specialisatie”: vrij vertaald is het commentaar hierop dat dit gegeven enkel tot zijn recht komt in een scenario waarbij elke patiënt via bijvoorbeeld een centraal multidisciplinair overlegcomité wordt doorverwezen en er dus geen residueel risico is van onderbehandeling. Zo’n systeem zal tevens ervaring bij de doorverwijzer en het ontvangende expertise-centrum ten goede komen en een betere basis leggen om real world evidence te collecteren.

Ook wordt vermeld dat er bij de hematologen in België geen eensgezindheid is over redenen van eventuele beperkte toegang van patiënten tot CAR-T celtherapie: onvoldoende verwijzing, geografie, weigering van patiënten om van centrum te wisselen...

Antwoord: het CTG Bureau stelt voor deze opmerking te evalueren aan de hand van de gerealiseerde CAR-T aantallen.

Een suggestie bouwt voort op onderstaande zinsnede uit de nota:

“Allo-SCT is nog steeds de beste proxy als behandeling om de complexiteit van de eerste generatie CAR-Ts mee te vergelijken.”

Namelijk: “ Bij de eerste generatie CAR T zijn de complicaties CRS, ICANS, en ICAHT weliswaar verschillend dan bij allogene stamceltransplantaties, maar de vereiste monitoring van deze complicaties, en de zo nodig snelle escalatie van therapie bij deze nevenwerkingen kunnen alleen geboden worden door hematologische diensten met een belangrijke allogene transplantactiviteit, de bijhorende gespecialiseerde hospitalisatie-afdelingen hematologie, medisch-intensieve zorgen, en navenante medische en verpleegkundige bestaffing. Dit wordt ook geïllustreerd door het rapport van Passweg et al, waaruit blijkt dat in 2025 93% (240/258) van de JACIE-centra die CAR T toedienen ook centra zijn waar allogene SCT wordt toegepast.”

Antwoord: de nota werd aangepast (dit sluit ook beter aan bij de commentaar over het verschillend verloop tussen het allo-SCT en CAR-T proces) (zie volgend tekstkader)

*Er rolden tevens twee belangrijke opmerkingen binnen over **dezelfde vetgedrukte** zinsnede:*

Eenzijds garandeert allogene stamceltransplantatie ontegensprekelijk de infrastructuur en expertise om immune effector cells toe te dienen. Dit zal geen enkele hematoloog contesteren.

Anderzijds worden er in de bredere groep van hematologen en ook specifiek voor het domein van multipel myeloom argumenten contra opgetekend:

-de huidige CAR-Ts zijn autoloog en houden niet het risico in op graft versus host (met hogere kans op sterfte) zoals bij allogene stamceltransplantatie het geval is

-ook de voorbereiding en de te volgen stappen zijn substantieel anders: lymfodepletie bij CAR-T versus conditionering met immunosuppressie bij allo-SCT (een overzicht van de verschillen is te vinden in Ailawadhi S. et al., NCCN-guidelines-for-patients 2025, Guide for patient and caregivers combined)

-CAR-T toediening gebeurt niet per se door dezelfde hematologen als deze die transplanteren.

-gebruik van allogene SCT als benchmark overschat de complexiteit en onderwaardeert de gerichte, gestandaardiseerde aard van autologe CAR-T's. Centra met uitgebreide autologe SCT ervaring zouden hierdoor ook in aanmerking moeten kunnen komen

Antwoord: de argumenten contra zijn bekend maar geven geen directe garantie dat de vereiste infrastructuur en expertise (ondermeer voor het opvangen van de complicaties) onder één dak aanwezig zijn. De nota is gebouwd op een specialisatie-principe en kijkt ook naar een efficiënte verpleegkundige en gecoördineerde omkadering waarbij geweten is dat CAR-T een intensieve verpleegkundige-per-bed ratio heeft (dit laatste is een opmerking van een andere lezer).

Het is niet onmogelijk en ook logisch dat, naarmate de veiligheids- en doelmatigheidsdata van de nieuwe autologe CAR-Ts beter bekend zijn én een zeker verzadigingspunt in de bestaande centra bereikt wordt, eerst verder naar de centra met autologe stamceltransplantaties wordt gekeken.

Er komen twee voorstellen om onderstaande tekst in de nota aan te passen: “er wordt verwacht dat het aantal allo-SCTs in de komende 2 jaar niet zal afzwakken door de komst van CAR-T door het feit dat CAR-T behandeling zich momenteel nog in andere behandellijnen bevindt (dit is een veronderstelling met nood aan periodieke herevaluatie)”

Antwoord: hierna de aangepaste versie:

“De verwachting is dat het aantal allo-SCT niet significant zal verminderen door de komst van CAR-T in de komende 2 jaar, zeker niet in het geval van multipel myeloom, gezien dit in de regel geen indicatie is voor allo- SCT en er dus niet mee in interferentie komt. Er is op dit moment nog steeds een algemene toename van allo-SCTs volgens gepubliceerde EBMT data. Ook Amerikaanse data geven vooralsnog geen daling aan van de autologe en allogene stamceltransplantaties (CIBMTR.org) (deze evolutie dient periodiek te worden opgevolgd).”

Er komt een kritische vraag op welke criteria onderstaande zinsnede is gebaseerd: De bevroagde Belgische centra gaven, in het kader van de informatieronde door het Bureau begin 2025, aan (nog) niet op een verzadigingspunt te zitten en gaven aan ook de capaciteit te hebben om de nieuwe indicatie bij multipel myeloom in eerste instantie te kunnen opvangen”. De vraagsteller acht periodieke evaluatie van de capaciteit op basis van transparante criteria belangrijk (bv. jaarlijks).

Antwoord: de nota verwijst naar een uitspraak in een informatieronde, die verder periodiek zal gestaafd worden aan de hand van de gerealiseerde CAR-T aantallen per centrum. Dit werd inmiddels verduidelijkt in de nota. Recente IMA data bevestigen dat het verzadigingspunt nog niet bereikt is.

Er wordt melding gemaakt van het feit dat de regulering van bepaalde CAR-Ts minder strak geworden is omwille van het inmiddels gekende veiligheidsprofiel (FDA). EMA zou weldra kunnen volgen.

Antwoord: vermoedelijk gaat het hier dan om de versoepeling van de registratievereisten zoals via *risk minimisation* programma's. Het Bureau dankt voor deze mededeling. Het is alvast een goede evolutie maar toch nog net een ander gegeven dan het opvolgen van de zorgkwaliteit en het clusteren van specialisatie in centra. Zie vraag hierna.

Er wordt uitdrukkelijk gevraagd om bij de herevaluatie het onderscheid te maken tussen de veiligheid van de therapie en de zorgkwaliteit in de centra

Antwoord: dat is correct en de nota is ook zo opgemaakt. Veiligheidsdata komen voort uit grondig wetenschappelijk verswerk en datacollectie en dit wordt besproken per CTG dossier. Zorgkwaliteit staat daar enigszins los van maar is bijkomend uitkomstbepalend. Hier kunnen we stellen dat, door de restrictie van het aantal centra vandaag, de zorgkwaliteit in de bestaande centra gaandeweg wordt opgebouwd door deelname aan wetenschappelijk onderzoek in de aanloop naar CAR-T commercialisatie, door een a priori hoog volume aan (andere) complexe therapieën, en door geleverde infrastructurele en personele inspanningen.

Autologe stamceltransplantaties

Een van de geconsulteerden geeft aan dat de criteria te restrictief zijn op het volgende punt (voornaamste citaten vrij uitgelicht):

Historisch gezien is het te begrijpen dat de eerste CAR-T-centra ook allemaal allogene stamceltransplantatiecentra waren: het betrof immers de grote academische centra die betrokken waren bij de eerste klinische studies met celtherapie, en dus al een eerste ervaring hadden opgebouwd. Echter, sinds die eerste beslissing tot terugbetaling heeft CAR-T een enorme evolutie doorgemaakt...Er zijn inmiddels al meer EU centra die enkel een JACIE accreditatie voor autologe stamceltransplantatie hebben én CAR-T toedienen dan de nota aangeeft (interne data van een vergunninghouder). Dit laatste zou ook in België moeten mogelijk zijn...Nieuwe generaties CAR-T's, die momenteel al in studieverband worden onderzocht, zullen een gunstiger risicobatenprofiel vertonen dan de huidige generatie en zullen bijgevolg eenvoudiger en potentieel ambulant kunnen worden toegediend. Hierdoor zal de vergelijking met allogene transplantatie op termijn nog minder van toepassing worden.

Antwoord: het Bureau begrijpt de vraag naar meer pro-activiteit en het is een logisch gegeven dat bij een nieuwe oefening cascadegewijs naar centra die ervaring hebben met autologe stamceltransplantaties wordt gekeken. Het Bureau wenst de door de geconsulteerde partij gemaakte veronderstellingen eerst nog door meer gepubliceerde data gestaafd te zien.

In verband met het pediatrie luik

Suggestie om te beschikken over een “pediatrie intensieve zorg afdeling met 24u op 24u en 7 dagen per week beschikbare permanentie van een pediatrie intensivist” (suggestie)

Antwoord: deze aanvulling wordt opgenomen in de nota.

Er komt kritiek op het feit dat het pediatrie luik niet formeel besproken is en dat er eigenlijk geen discussie is vandaag over de vier JACIE-geaccrediteerde pediatrie centra. Is er een mogelijkheid om deze invoering over de pediatrie te wissen en apart te houden? (opmerking)

Er komt ook kritiek op de lagere cut-off voor het vereiste aantal allo-SCTs in de pediatrie (tov de vereiste bij de volwassenen)

Antwoord: het is correct dat tijdens het gesprek met de huidig toedienende centra niet in detail is ingezoomd op het pediatrie luik. De aanvulling is erna gekomen op vraag van andere geconsulteerden. Het Bureau kan er dus op twee manieren mee omgaan. Of de pediatrie invoering wissen, of de vereisten toch expliciteren voordat enige onduidelijkheid ontstaat.

VRAAG VAN HET CTG BUREAU:

Daarom herformuleert het Bureau haar vraag: zou men in het algemeen akkoord kunnen gaan met de opgestelde criteria voor de pediatrie (zie CAR-T nota 05/11)?

Motivatie: de doorgedreven specialisatie bij kinderen is nog veel belangrijker vanwege de lager recruiteerbare aantallen. De lagere cut-off waarde moet men in die optiek niet zien als een vereiste van minimale expertise maar een pragmatische keuze om het zeer kleine aantal patiënten te centraliseren en zo de kwaliteit te garanderen.

Bij een wijzigend therapeutisch landschap dienen zaken te worden herzien. Dat is altijd de filosofie in de CTG.

Over de vereiste van een JACIE-certificaat voor immune effector cells én allogene stamceltransplantaties alsook de minimale ervaring/het minimaal aantal toedieningen

Er komt een voorstel (3x) om een minimaal aantal toedieningen van immune effector cells (voldoende hoog!) als vereiste toe te voegen in de criteria voor de centra.

Tegelijkertijd komt een ander voorstel (2x) om tien allogene stamceltransplantaties per jaar te vereisen voor de centra (zoals JACIE het vraagt), met minstens vijf transplantaties bij zowel pediatrische als volwassen patiënten, indien beide type patiënten binnen hetzelfde JACIE-gecertificeerde centrum worden behandeld.

Nog andere voorstellen (3x) beoordelen de vereiste van 24 allogene stamceltransplantaties (in de nota van 18/8) als correct.

Minimale aantallen zijn arbitrair of het gevolg van een politieke keuze (3x). (opmerking)

Antwoord: het Bureau beaamt dat het volgen van de aantallen die JACIE vooropstelt een mogelijke werkpiste kan zijn. Dit zouden dan drie immune effector cel-toedieningen (breder dan CAR-T) én tien allogene stamceltransplantaties (met daarvan minimum vijf bij kinderen in de pediatrische centra) per jaar moeten zijn. Voor het Bureau lijken deze aantallen zeer laag om een standaard toegewezen en ervaren team rond de betrokken patiënt te voorzien, niettemin neemt het Bureau deze suggestie mee naar de toekomst.

Verderbouwend op bovenstaande kwam nog een suggestie voor herformulering van de criteria:
« JACIE-accreditatie voor immune effector cell-(IEC)therapie

EN

*24 IEC-procedures in de afgelopen 12 maanden **OF** 24 allogene stamceltransplantaties per 12 maanden (gemiddelde van de afgelopen 3 jaren)*

*Bovenstaande zal toelaten dat de huidige CAR-T-centra hun kennis en expertise kunnen consolideren en dat centra die de ambitie koesteren een mogelijkheid krijgen indien zij de desbetreffende JACIE-accreditatie bekomen **én** 24 allogene stamceltransplantaties verrichten (én de drempel is dan dezelfde als het aantal IEC-procedures waardoor deze minder arbitrair gekozen lijkt). »*

Antwoord: de CAR-T nota voor de centra dd. 18 augustus vroeg **een minimale ervaring van twee allogene stamceltransplantaties per maand**, kortom **24 per jaar**, en **geen** minimaal aantal IEC toedieningen. Samengevat komt vervolgens

-drie keer de suggestie om een minimaal aantal toedieningen van IECs toe te voegen en voldoende hoog in te stellen,

-drie keer de suggestie om het minimale aantal van JACIE te volgen (minimaal drie IECs per jaar, IEC slaat ook soms op andere cellulaire behandelingen, niet-CAR-T)

-drie keer het voorstel om de cut-off van allogene stamceltransplantaties zeker voldoende hoog te houden

-twee keer het voorstel om de cut-off van de allogene stamceltransplantaties te verlagen

-drie keer de opmerking dat het invoeren van een minimum aantal allogene stamceltransplantaties arbitrair is

In afwezigheid van een duidelijke consensus bij de bevrageerden, na het opvragen van de gerealiseerde allo-SCT aantallen in de centra in de laatste mature facturatiejaren bij IMA (trendanalyse) en verdere bespreking, is in het nieuwe voorstel het oorspronkelijke criterium hernomen: 28 allo-SCTs op jaarbasis. Tegelijkertijd wordt een overgangperiode tot 2027 ingebouwd voor het behalen van een certificaat voor IECs, zonder een minimaal vereist aantal op te nemen in de criteria voor de centra. Vervolgens volgt het CTG Bureau de statistieken van gerealiseerde aantallen in de centra van nabij op. Een richtsnoer om het aantal gerealiseerde allo-SCTs te rapporteren is opgenomen in de nota.

Er wordt ook opgemerkt dat “het hebben van een JACIE-immune effector cells-certificering én voldoende ervaring met toediening van bispecifieke antilichamen op zich ook getuigt van ervaring met bijwerkingen zoals ICANS en CRS.”

Antwoord: hierbij kan men in twee richtingen gaan: 1. alle centra in België die bispecifieke antilichamen toedienen, toegang geven tot CAR-T; de nota voor de centra volgt deze filosofie niet. Of 2. nadenken over de centralisatie van toedieningen van andere complex-toxische therapieën zoals bispecifieke antilichamen, mits een goede omkadering van de toedienende centra en goede doorverwijsstromen (nomenclatuur/andere...). Het CTG Bureau ervoer voor deze twee extremere opties geen breed draagvlak in haar gevoerde discussies, met uitzondering van de unisono vraag voor een betere logistieke/financiële omkadering voor CAR-T (zie verder p.12).

Verliest een centrum zijn Belgische CAR-T erkenning indien minder dan het vereiste aantal allogene stamceltransplantaties uitvoert ongeacht het aantal CAR-T behandelingen die werden uitgevoerd of enige benchmarking rond outcome van CAR-T celtherapie in dit centrum?

Antwoord: wanneer er consensus is omtrent minimale aantallen en bij gelijkblijvende trend van het aantal wetenschappelijk gefundeerde mogelijkheden voor het uitvoeren van allogene stamceltransplantaties volgens de gangbare wetenschappelijke inzichten is dit effectief het opzet (niet-wenselijk!).

Pathologie

Voorstel om een gediversifieerde terugbetaling toe te staan voor centra in België per domein/pathologie, opgesteld volgens een lijst van mogelijke pathologieën die in aanmerking komen voor CAR-T. Concreet zou dit kunnen inhouden dat niet elk centrum elke pathologie covert (meer doorgedreven specialisatie) met wel een vereist minimaal aantal toedieningen per centrum.

Antwoord: het huidige voorstel is zo opgemaakt dat een diversifiëring per pathologie mogelijk is via de accreditatiestrategie door de firma's en binnen de voorgestelde algemene RIZIV criteria.

Een vergunninghouder vraagt anderzijds of bij het toevoegen van een CAR T-behandelingscentrum (of het schrappen van een behandelingscentrum na een periodieke herevaluatie) de terugbetalingscriteria zullen worden aangepast voor alle CAR T-behandelingen in dezelfde indicatie. De firma vraagt hierbij dat ze over de eventuele toevoeging van een behandelingscentrum zo snel als mogelijk op de hoogte wordt gesteld.

Antwoord: het opzet is dat de vergunninghouder de aanvraag voor een nieuw centrum indient bij de CTG waarna zij de kwalificatie ter plaatse in de erop volgende periode kan verzekeren (product- en indicatiespecifiek). Dat gegeven is dus inherent verbonden aan de strategie van kwalificeren van de firma. Over een mogelijke schrapping, wat niet wenselijk is, zal uiteraard goed moeten worden gecommuniceerd.

Er wordt bevestigd dat het behandelpad van de niet-hematologische indicaties (bv. solide tumoren) in de ziekenhuizen hetzelfde zal zijn.

Antwoord: dank.

Een vergunninghouder vraagt een vroege dialoog met het Bureau in geval van indiening van een CAR-T behandeling in een nieuw ziekte-domein.

Antwoord: de deur van het CTG Bureau staat altijd open voor dialoog.

Permanentie 24/7

Suggestie tot herformulering als volgt: "een medisch intensieve zorg afdeling met 24/7 permanentie door intensivist met ervaring in behandeling ICANS/CRS, en 24/7 bereikbare en oproepbare neuroloog met ervaring ICANS"

Antwoord: dank voor deze herformulering, de aanpassing wordt doorgevoerd.

Opvolging voor en na de CAR-T toediening

“CAR-T producten met hoog risico op bijwerkingen (type voorbeeld Yescarta/Tecartus) waarbij gekozen wordt voor een in-patiënt opvolging (meestal 10 tot 14 dagen na de toediening) naar de meest acute bijwerkingen toe, deze in-patiënt opvolging dan ook thuishoort in de geaccrediteerde centra, gezien dit juist een zeer specifieke aanpak vergt, met nodige training van verpleegkundigen, IZ personeel, neurologen en hematologen en assistenten in opleiding... Na deze acute fase kan de opvolging uiteraard zo snel mogelijk terug toevertrouwd worden aan de verwijzende arts, mits er goede back-up bij problemen is vanuit het CAR-T centrum... Bridging therapie daarentegen (zit ook tussen aferese en voldoende lange opvolging na toediening want komt na de aferese en voor de toediening), gebeurt vaak de facto wel in het verwijzend centrum en dat is veilig als er goede samenwerking is tussen verwijzend en CAR-T centrum.” De vraag is om bovengaaande nog beter te specificeren in de nota. (opmerking)

Antwoord: het CTG Bureau kan zich vinden in een goede afbakening en stelt voor de minimale “essentials” voor een gespecialiseerd centrum in de nota te vermelden, zoals de aferese en de voldoende lange opvolging nadien volgens het toxiciteitsprofiel van elke CAR-T. Het Bureau wenst evenwel geen verplicht aantal dagen of andere afspraken te specificeren want product- en pathologiespecifieke verschillen en ook opgebouwde ervaring kan de opvolging in de loop der jaren doen wijzigen.

Geografisch criterium

Verschillende studies tonen dat de afstand tot een CAR-T-centrum een directe impact heeft op zowel de kans op behandeling als de klinische uitkomst.

Antwoord: in het nieuwe voorstel is geen geografisch criterium opgenomen. Het CTG Bureau betwist evenwel niet dat, als een behandeling nabij kan worden aangeboden, dit een meerwaarde is voor de patiënt, in het bijzonder voor een zwaar zieke of sociaal minder omringde/behoede patiënt. Het nadelige effect van afstand (patiënten komen niet aan de nodige zorg toe...) zal des te meer spelen in ruraal uitgestrekte gebieden bijvoorbeeld in de VS waar de cut-off van verplaatsing in de studies op 90 mijl of meer ligt (versus 30 mijl in stedelijke gebieden). In deze studies wordt ook de impact van ontoereikende verzekering aangestipt. In die optiek is afstand in België relatief (de verkeersinfarcten even buiten beschouwing gelaten). Kom op tegen Kanker publiceerde in 2024 na een uitgebreide bevraging de bereidheid van de zieke Belgische patiënt om te reizen naar een referentiecentrum en 90% blijkt bereid om een uur te reizen voor een éénmalige behandeling (77% een anderhalf uur). Goede doorverwijzing lijkt dus voor België meer doorslaggevend, samen met het feit dat niemand betwist dat het hier over specialistische zorg van het hoogste niveau gaat. Het regeerakkoord is daarover helder en de CTG kan een mogelijke uitbreiding in de vergoedingscriteria dus enkel gefaseerd benaderen.

Wat betreft de bijkomende omkaderende voorwaarden om als CAR-T centrum te fungeren

Suggestie om deelname aan klinisch onderzoek met een gedefinieerd minimaal aantal CAR-T toedieningen bij kinderen en/of volwassenen, toe te voegen als instapvoorwaarde. Een andere suggestie stelt deelname aan publicaties voor.

Antwoord: in de voorliggende nota is de instapvoorwaarde dat het centrum een track-record kan voorleggen van deelname aan klinische studies met CAR-T, liefst als continuüm en niet eenmalig. Het lijkt verder moeilijk om een minimum aantal toedieningen in studieverband te specificeren gezien patiëntaantallen sterk kunnen variëren in functie van indicatie en bestudeerde populatie (bv. pediatrie). Ook een recruterende vergunninghouder die reageerde geeft aan dat in functie van indicatie/type CAR-T een andere selectie van de centra voor België wordt gemaakt, waarna de nood aan opschaling naar meer centra (niet per se de deelnemende) later nodig blijkt.

Suggestie om aan de centra en haar participerende hematologen te vragen om een opleidingsplan voor te leggen voorafgaand aan toetreding tot de lijst.

Antwoord: het Bureau heeft deze opmerking genoteerd.

Suggestie om als bijkomende voorwaarde in te voeren dat er pas uitbreiding komt als de huidige centra verzadigd zijn en na te vragen aan het centrum wat zijn 'drainagegebied' is.

Antwoord: het Bureau heeft deze opmerking genoteerd. Het aantal gerealiseerde CAR-T toedieningen maakt deel uit van de oefening.

Hoe ziet het RIZIV concreet de organisatie en financiering van het beoogde register voor uitkomst- en veiligheidsdata?

Antwoord: zie vraag en antwoord hierna.

Suggestie om voor de datacollectie verder te bouwen op de bestaande initiatieven zoals 'administrative simplification in real-world data registration for CAR-T therapies'

Antwoord: in de nota is de vereiste van deelname aan registers meer generiek omschreven maar impliceert wel de mogelijkheid tot deelname aan daartoe opgezette initiatieven die door het RIZIV ondersteund worden.

Vraag om de lijst van centra en de criteria voor de centra te publiceren bv. op de RIZIV website, ook – in het voorkomende geval - met diversifiëring per ziekte domein.

Antwoord: deze nota is gestart naar aanleiding van de vraag van iedereen om transparantie te creëren. Het zou dan ook bijzonder lijken dat de finaliteit “in de coulissen” blijft. Het antwoord is dus affirmatief. Bij consensus worden de voorwaarden op gepaste wijze oorkondig gemaakt.

Periodiciteit van herevaluatie van de criteria

Drie reacties uit farmaceutische hoek vragen om een periodieke herevaluatie van de criteria om het hoofd te bieden aan het sterk evoluerend landschap. Suggesties variëren van jaarlijks tot minstens om de 3 jaar.

Antwoord: de nota alludeert op diverse plaatsen naar de noodzaak van herevaluatie en suggereert 2027 voor een volgende evaluatie. Dit tijdstip houdt het midden tussen ieder jaar en om de drie jaar. Evenwel is CAR-T maar één type behandeling in het geheel van immune effector cell-therapieën en dient de commissie ook voor andere complexe therapieën een voorstel tot terugbetaling te voorzien. Enige pragmatiek is dus aan de orde.

Divers

Pharma.be wil dat de selectiecriteria van de centra onafhankelijk zijn van de CAR-T vergunningsstatus en de ontwikkelaar.

Antwoord: de criteria voor de centra zijn in se productonafhankelijk opgesteld maar los daarvan is de vergunninghouder vandaag na registratie aan een opdracht gebonden namelijk om de centra te kwalificeren. Via de nota met criteria voor de centra weet de vergunninghouder waar dat kan.

Een vergunninghouder vraagt meer expliciete details van de inbedding van de werkgroep contracten in het geheel van deze oefening.

Antwoord: het aspect volume-toename in een CTG aanvraag linkt met de noodzaak voor een contractherziening.

Naar aanleiding van de zinsnede in de nota...

“Vanaf 2027: indicatie-gebonden herevaluatie van de vergoedingsvoorwaarden mogelijk onder voorbehoud dat bevestigende veiligheidsdata voorhanden zijn. Op basis van de voortschrijdende inzichten en de wetenschappelijke evoluties kan een update van de criteria voor de centra worden bestudeerd.”

...wordt de vraag gesteld:

Is de veronderstelling correct dat de eventuele terugbetaling voor ambulante toepassing tot de mogelijkheden kan behoren vanaf 2027?

Antwoord: zekerheden omtrent de veiligheid zijn indirect verbonden met de mogelijkheid tot ambulantisering. Echter staat dit gegeven los van de ambulante tarifiëring in de ziekenhuizen die voor bepaalde aspecten in de opvolging nu al kan geschieden. De nota heeft niet de intentie om dit detail uit te spitten. Zo’n oefeningen maken deel uit van een CTG evaluatie.

Opmerkingen over de bredere context

CAR-T omkadering voor de doorverwijzende en toedienende centra

Hierover wordt meermaals opgemerkt dat een voldoende omkadering (nomenclatuur) “onlosmakelijk samenhangt met de capaciteit(suitbreiding) en het beperken van verlieslatendheid van de bestaande centra.”

Ook vanuit de farmaceutische industrie werd het belang van goede omkadering bij doorverwijzende en toedienende centra onderstreept, ook financieel, en wordt de vraag gesteld welke stappen en tijdslijnen het RIZIV voorziet om medische prestaties rond CAR-T adequaat te honoreren?

Antwoord: op het einde van de nota treedt het CTG Bureau buiten haar bevoegdheden door te wijzen op het feit dat het tijdens haar concertatieronde heel duidelijk werd dat de omkadering voor de centra hiaten in de nomenclatuur/honorering vertoont. Dit wordt door de huidige centra expliciet en meermaals vermeld als een pijnpunt en kan een probleem vormen om een nieuw beleid (van ondermeer terugbetaling) succesvol te doen slagen. Daarom werd het punt in de nota opgenomen als actueel probleem, zeker niet als probleem voor later (in 2027) zoals sommigen bevreesd aankaarten. De suggestie voor uitbreiding van nomenclatuur wordt zonder uitstel overgemaakt aan andere bevoegde instanties die dit aspect verder kunnen exploreren.