de COHORTBESLISSING

Dossier: 1059

aspaveli

(pegcetacoplan)

1080mg oplossing voor infusie

|  |
| --- |
| **GEMENGDE COHORTE** |

## thErapeutiSCHe indicatiE

Pegcetacoplan in de behandeling van rechthebbenden met complement C3 glomerulopathie (C3G)

## beschrijving van de cohort

|  |
| --- |
| **Cohort beschrijving** |
| Inclusiecriteria |
| 1. De patiënt komt niet in aanmerking voor een klinische studie met pegcetacoplan of een ander onderzoeksgeneesmiddel (IMP) voor de MNP-indicatie.
 |
| 1. De patiënt komt niet in aanmerking voor behandeling of kan niet adequaat worden behandeld volgens de klinische richtlijnen, vanwege problemen met de werkzaamheid en/of veiligheid, met een andere farmaceutische therapie die commercieel beschikbaar is in België EN die wordt vergoed voor de MNP-indicatie.
 |
| 1. Volwassen patiënten van ten minste 18 jaar en adolescente patiënten (12-17 jaar) met een gewicht van ten minste 30 kg.
 |
| 1. Een bevestigde diagnose van C3G (met of zonder eerdere niertransplantatie)\*.
 |
| 1. Bewijs van actieve nierziekte, gebaseerd op een of meer van de volgende criteria:
2. Bij patiënten met een eerdere nierbiopsie (afgenomen binnen 28 weken voorafgaand aan de indiening van de aanvraag voor inclusie in het MNP), ten minste 2+ C3c-kleuring op de nierbiopsie.
 |
| 1. Niet meer dan 50% globale glomerulosclerose of interstitiële fibrose op de meest recent beschikbare biopsie.
 |
| 1. De patiënt heeft een beperkte respons op behandelingsregimes voor C3G die steroïden en mycofenolaatmofetil en/of andere immunosuppressiva kunnen omvatten.
 |
| 1. Ten minste 1 g/d proteïnurie bij een 24-uurs urineverzameling tijdens de screening en een uPCR van ten minste 1000 mg/g bij ten minste 2 spoturinemonsters 's ochtends verzameld tijdens de screening.
 |
| 1. eGFR ≥30 ml/min/1,73 m2 berekend met de creatininevergelijking van de Chronic Kidney Disease-Epidemiology Collaboration voor volwassenen of de Bedside Schwartz-vergelijking voor adolescenten.
 |
| 1. In staat om de vereisten, beperkingen en instructies van de behandeling te begrijpen en op te volgen (zoals beoordeeld door de behandelend arts).
 |
| 1. Bereid en in staat zijn om pegcetacoplan zelf toe te dienen of een aangewezen zorgverlener hebben die de toediening kan uitvoeren.
 |
| 1. Deelnemers boven de wettelijke leeftijd om toestemming te geven, in overeenstemming met lokale regelgeving, moeten bereid en in staat zijn om geïnformeerde toestemming te geven. De wettelijk gemachtigde vertegenwoordiger van deelnemers jonger dan de wettelijk vereiste leeftijd moet bereid en in staat zijn om geïnformeerde toestemming te geven; indien van ETR Aanvraag ASPAVELI (pegcetacoplan) – C3G Page 12 of 49 toepassing moeten deelnemers jonger dan de wettelijk vereiste leeftijd ook toestemminggeven voor behandeling met pegcetacoplan in de setting van dit onderzoek.
 |
| 1. Vaccinaties hebben ontvangen tegen Streptococcus pneumoniae, Neisseria meningitidis (typen A, C, W, Y en B) en Haemophilus influenzae (type B) volgens de aanbevelingen van CSS-HGR voor volwassenen of kinderen met complementdeficiënties en/of immunocompromiserende aandoeningen. Alle patiënten moeten ten minste 2 weken vóór de toediening van pegcetacoplan tegen deze bacteriën worden gevaccineerd, tenzij het risico van het uitstellen van de behandeling groter is dan het risico op het ontwikkelen van een infectie. Als de toediening van pegcetacoplan eerder dan 2 weken na vaccinatie moet worden gestart, moet een profylactische antibiotische behandeling worden gestart en moet de patiënt tot 2 weken na de vaccinatie met geschikte antibiotica worden behandeld.
 |
| 1. Vrouwen in de vruchtbare leeftijd moeten een negatieve zwangerschapstest hebben bij inclusie in dit programma en moeten akkoord gaan met het gebruik van geschikte anticonceptiemethoden voor de duur van het programma en tot minstens 8 weken na de laatste toediening van pegcetacoplan.
 |
| 1. Mannen moeten akkoord gaan met het gebruik van geschikte anticonceptiemethoden en akkoord gaan met het afzien van spermadonatie voor de duur van dit programma.
 |
| Exclusiecriteria |
|  |
| 1. Patiënten die zich hebben teruggetrokken uit of zijn gestopt met een klinische studie met pegcetacoplan.
 |
| 1. C3G secundair aan een andere aandoening (bv. recente infectie, maligniteit, monoklonale gammopathie, een systemische autoimmuunziekte zoals systemische lupus erythematosus, chronische antilichaam-gemedieerde afstoting, of een geneesmiddel), naar de mening van de onderzoeker.
 |
| 1. Overgevoeligheid voor pegcetacoplan of voor een van de hulpstoffen.
 |
| 1. Patiënten met erfelijke fructose-intolerantie.
 |
| 1. Geschiedenis of aanwezigheid van comorbiditeit die, naar de mening van de behandelend arts, een te groot risico zou kunnen vormen bij de toediening van pegcetacoplan.
 |
| 1. Bekende geschiedenis van alcohol- of drugsmisbruik in het afgelopen jaar.
 |
| 1. Zwangere vrouwen of vrouwen die borstvoeding geven.
 |
| 1. Onopgeloste ernstige infectie veroorzaakt door ingekapselde bacteriën waaronder Streptococcus pneumoniae, Neisseria meningitidis en Haemophilus influenzae.
 |
| 1. De patiënt heeft een absoluut neutrofielenaantal lager dan 1000 cellen/mm3.
 |
| 1. Lopende of eerdere deelname aan een onderzoek naar een geneesmiddel binnen 5 terminale halfwaardetijden van het vorige onderzoeksgeneesmiddel of 30 dagen, afhankelijk van welke periode het langst is, na de eerste toediening van pegcetacoplan
 |

**Naast de bovengenoemde criteria uit het MNP dienen de volgende aanvullende voorwaarden te worden vervuld :**

**Inclusiecriteria**

* **\*Bevestigde diagnostiek** van C3G in een nierbiopsie van de natieve nier en/of in de getransplanteerde nier bij recidive, die werd uitgevoerd in de 12 maanden voorafgaand aan de beslissing voor het starten van de behandeling met de specialiteit op basis van iptacopan en/of op basis van pegcetacoplan.
* Behandeld met een maximaal getolereerde dosis van een angiotensine-converterend enzymremmer (ACEi) of een Angiotensine II-receptorblokker (ARB) gedurende een periode van minimaal 3 maanden.
* Verminderde concentratie C3 < 77 mg/dl.

**Exclusiecritiera**

* Geen voorafgaandelijk gebruik van vergoedbare specialiteiten voor de behandeling van C3G, tenzij gedocumenteerde intolerantie en/of contra-indicatie en/of falen van een voorgaande behandeling.

## SPECIALISATIE VAN DE VOORSCHRIJVER

Arts-specialist in de inwendige geneeskunde, houder van de bijzondere beroepstitel in de nefrologie.

## BEDRAG VAN tegemoetkoming

|  |  |
| --- | --- |
| Aspaveli (pegcetacoplan), 1080mg oplossing voor infusie Verpakking van 1 injectieflacon (opm. ziekenhuismilieu) | **Bedrag van tussenkomst (EURO)** |
| Éénmalige tussenkomst voor MNP van gemengde cohorte | 20.000 € |
| Tussenkomst per patiënt per periode van 12 maanden behandeling | 2.500 € |