

Zorginstituut Nederland
T.a.v. mw L. Snyders
Postbus 320
1110 AH Diemen

Den Haag, 2 november 2018

Betreft: Reactie HollandBIO op concept "Monitor Weesgeneesmiddelen in de praktijk 2018"

Geachte mevrouw Snyders, beste Laura,

Een groeiend aantal bedrijven in de achterban van HollandBIO, de belangenvereniging van biotech bedrijven in Nederland, houdt zich dag in, dag uit bezig met de ontwikkeling van geneesmiddelen voor patiënten met een zeldzame ziekte. Wij vinden de monitor weesgeneesmiddelen dan ook erg waardevol, aangezien deze de actuele stand van zaken op het gebied van toegang tot en gebruik van weesgeneesmiddelen in Nederland in kaart brengt. Wij stellen het erg op prijs dat we een reactie op het conceptrapport mogen geven!

Weesgeneesmiddelen: de innovatieve kraamkamer van de life sciences sector

Sinds de introductie van de Europese stimuleringsmaatregelen voor weesgeneesmiddelen zetten biotech bedrijven overal ter wereld de schouders onder het onderzoek naar en de ontwikkeling van geneesmiddelen voor patiënten met zeldzame aandoeningen. En met resultaat: de laatste jaren krijgen steeds meer patiënten die lijden aan een zeldzame ziekte weer levensperspectief dankzij de introductie van nieuwe behandelingen. Fantastisch nieuws voor patiënten met een zeldzame aandoening.

Ook patiënten die lijden aan een meer voorkomende ziekte, profiteren op termijn van deze ontwikkeling. Weesgeneesmiddelen zijn namelijk de innovatieve kraamkamer van de life sciences sector: de meest revolutionaire nieuwe technologieën bewijzen zich doorgaans als eerste in het domein van een zeldzame ziekte. Neem genterapie: deze disruptieve behandelwijze bewees zich als eerste in patiënten met een (zeer) zeldzame ziekte. Vandaag de dag zitten de pijplijnen vol met genterapieën gericht op aandoeningen met een hogere incidentie. Kortom: weesgeneesmiddelen zijn de innovatieve koplopers. Niet voor niets werd de Nederlandse Prix Galien, de jaarlijkse prijs voor het meest innovatieve en/of betekenisvolle medicijn, acht van de tien keer gewonnen door een weesgeneesmiddel.

Toegang tot weesgeneesmiddelen loopt spaak

In de regel lopen koplopers als eerste tegen de beperkingen van het reguliere systeem aan. Bij weesgeneesmiddelen is dat niet anders. Steeds meer geneesmiddelen voor zeldzame ziekten schoppen het, mede dankzij maatwerk op Europees niveau, tot registratie. De conceptmonitor maakt echter pijnlijk duidelijk dat de toegang in Nederland hopeloos vastloopt. Sinds het uitbrengen van het rapport Pakketbeheer Weesgeneesmiddelen beoordeelde het Zorginstituut zeventien

weesgeneesmiddelen. In meer dan de helft van de gevallen was het oordeel negatief.¹ Dat moet echt beter wanneer we vandaag, maar vooral ook in de toekomst steeds meer patiënten van een behandeling op maat willen voorzien, hoe zeldzaam of uniek de ziekte ook. Gelukkig hebben weesgeneesmiddelen de potentie om niet alleen koplopers te zijn qua technologie en ontwikkelingswijze, maar ook in innovatieve toelating en vergoeding. Om dat potentieel te verzilveren, is niet alleen een constructieve samenwerking tussen alle betrokken stakeholders nodig, maar ook een andere benadering van weesgeneesmiddelen. Met bovenstaand perspectief in het achterhoofd, reageren wij op enkele punten uit de conceptmonitor weesgeneesmiddelen.

1. Kosten en baten in balans brengen

De conceptmonitor weesgeneesmiddelen focust op dit moment eenzijdig op kosten, terwijl daar op de keper beschouwd geen reden toe is. Wij zouden de getallen en conclusies van de monitor graag in meer context en perspectief zien.

- De uitgaven aan weesgeneesmiddelen bedragen op basis van de cijfers van de monitor 0,27% van de totale zorguitgaven, of 3,92% van de totale uitgaven aan geneesmiddelen.² Het door de media breed uitgemeten beeld dat de kosten van weesgeneesmiddelen de zorg opblazen, is daarmee op zijn zachtst gezegd overtrokken.
- De monitor licht de stijging in uitgaven aan weesgeneesmiddelen van 45% tussen 2012 en 2016 uit. Uit dezelfde data valt in diezelfde periode een stijging in het aantal behandelde patiënten af te leiden van 38%, maar deze blijft onbelicht.
- De monitor zou daarnaast een nauwkeuriger weergave van de realiteit zijn als zij niet uitgaat van de lijstprijzen, maar de gerealiseerde besparingen uit financiële arrangementen op geaggregeerd niveau verwerkt in de totalen.
- Hoewel geen sinecure om inzichtelijk te maken, verdient de door weesgeneesmiddelen gerealiseerde gezondheidswinst en door patiënten ervaren toegenomen kwaliteit van leven meer aandacht in de monitor. Ook indirecte effecten, zoals dankzij nieuwe behandelingen gerealiseerde besparingen elders in de zorg, op mantelzorg of toegenomen economische productiviteit zouden een plek kunnen krijgen in de monitor.

2. Neem bestaande barrières weg, in plaats van nieuwe op te werpen

De monitor laat zien dat toegang tot weesgeneesmiddelen spaak loopt. Dit is onder meer het gevolg van de barrières die Nederland de afgelopen jaren heeft opgeworpen voor de vergoeding van geneesmiddelen: het systeem bewoog van open instroom, naar risicogericht pakketbeheer, naar de sluis. De conceptmonitor suggereert nu om nog een drempel op te werpen door *alle* weesgeneesmiddelen te beoordelen. Aangezien de traditionele beoordelingsmethodieken van het Zorginstituut simpelweg niet ontworpen, noch geschikt zijn voor weesgeneesmiddelen, laat de uitkomst van die extra beoordelingen zich raden. De grote nadruk op langdurige en grootschalige placebogecontroleerde onderzoeken om therapeutische (meer)waarde aan te tonen past niet bij de inherent kleine patiëntenpopulaties van weesgeneesmiddelen. Ook is een kosteneffectiviteitseis van 80.000 euro per QALY in veel gevallen niet realistisch.

¹ In de vorige weesgeneesmiddelenmonitor (pagina 10-11) bleek dat 10 beoordelingen waren uitgevoerd, waarvan zes negatief. In de huidige monitor gaat het om zeven beoordelingen, waarvan vier negatief.

² In 2016 werd 96 miljard uitgegeven aan zorg. Zie <https://www.cbs.nl/nl-nl/nieuws/2017/20/zorguitgaven-stijgen-in-2016-met-1-8-procent>. Uitgaven aan geneesmiddelen waren 6.579 miljoen (4.639 extramuraal, zie Tweede Kamer, vergaderjaar 2016–2017, 34 550 XVI, nr. 2, 191; en intramuraal geschat 1.940, zie <https://www.nza.nl/actueel/nieuws/2017/12/21/kosten-dure-medicijnen-blijven-stijgen>)

3. Focus op gezondheidswinst boven kostenbesparing bij gepast gebruik initiatieven

De focus van gepast gebruik moet ons inziens liggen op het maximaliseren van gezondheidswinst voor de individuele patiënt en het versnellen, stroomlijnen en versimpelen van toepassing voor alle betrokkenen. Na het lezen van de monitor bekruipt ons echter het gevoel dat de focus van de gepast gebruik initiatieven steeds meer verschuift richting het besparen van behandelkosten. Het verdient de aanbeveling om te monitoren of de inspanningen die gepast gebruik bevorderen, zoals bijvoorbeeld indicatiecommissies en onderzoek naar start-, stop- en herstartcriteria, in verhouding blijven staan tot gerealiseerde gezondheidswinst, ervaren kwaliteit van leven en reductie van behandelkosten.

4. Stimuleren van concurrentie

Net als het Zorginstituut baart het ons zorgen dat de concurrentie voor weesgeneesmiddelen onvoldoende op gang komt na het verlopen van het patent. De markt zou haar werk moeten doen, maar doet dit niet bij elk middel. Blijkbaar is de weesgeneesmiddelmarkt op dat front minder aantrekkelijk dan de 'reguliere' geneesmiddelenmarkt. Het verdient nader onderzoek om de exacte oorzaken van uitblijvende concurrentie te achterhalen en aan te pakken. Dat stelt ons in staat om de belangrijke dynamiek van dalende prijzen door concurrentie na patentverloop bij weesgeneesmiddelen gericht te stimuleren. De monitor weesgeneesmiddelen kan hierbij de vinger aan de pols houden.

5. Werk maken van ziekte-specifieke registers

De behoefte aan ziekte-specifieke registers groeit en is breed gedeeld. HollandBIO ziet de 'uitvoeringstoets regie op registers' als een mooie kans om woorden in daden om te zetten. Met het oog op de vele Nederlandse expertisecentra, hun spilfunctie binnen de Europese referentienetwerken én de Nederlandse expertise op het gebied van data en data-infrastructuur, kan Nederland een internationale voortrekkersrol vervullen op het vlak van registers voor zeldzame ziekten. Focus op gezondheidswinst, structurele financiering, ketensamenwerking en de registratielast voor alle betrokkenen en zorgprofessionals in het bijzonder, zijn daarbij belangrijke aandachtspunten.

6. Samenwerking expertisecentra en indicatiecommissies

De conceptmonitor kaart aan dat de samenwerking van expertisecentra en indicatiecommissies beter kan, om een optimale inzet van weesgeneesmiddelen én uniforme vulling van registers te realiseren. Ter verbetering suggereert de monitor om het al dan niet vergoeden van een behandeling wettelijk te koppelen aan de juiste uitvoering van een weesgeneesmiddelenarrangement en aan het correct invullen van een register. Dit is ons inziens niet de manier om samenwerking af te dwingen. De sanctie ligt zo namelijk bij de verkeerde partij: de patiënt. Samenwerking – ook op internationaal niveau binnen de Europese Referentienetwerken (ERNs) – is essentieel om de gewenste hoge kwaliteit van zorg te leveren, zeker bij zeldzame ziekten. Het (wettelijk) verplicht stellen van samenwerking zou daarom wél een legitieme maatregel zijn, met het intrekken van de status als expertisecentrum als passende sanctie.

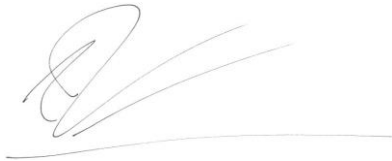
7. Verder werken aan breed gedragen oplossingen

Het moge duidelijk zijn: de moeizame toegang tot weesgeneesmiddelen noopt tot gerichte, structurele oplossingen. HollandBIO leest in de conceptmonitor een hoge bereidheid van alle partijen – van het Zorginstituut tot ziekenhuizen en patiëntenorganisaties – voor samenwerking op

dit vlak. Ook in onze achterban bruist het van de ideeën en initiatieven rond adaptive ecosystems, adaptive pricing en een slimmere inzet van meetmethoden en waardevolle diagnostische tools. We gaan graag met alle stakeholders om tafel om die ideeën uit te werken en te implementeren. Zodat Nederland het beste zorgsysteem van de wereld blijft hebben, waarbij gezondheidswinst, innovatie en betaalbaarheid hand in hand gaan.

Wij hopen dat jullie kans zien bovenstaande punten mee te nemen in het definitieve rapport. Mocht deze brief aanleiding geven tot vragen, dan zijn wij uiteraard bereikbaar voor toelichting.

Met vriendelijke groet,



Annemiek Verkamman
Directeur HollandBIO