

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

Den Haag, 10 oktober 2019
Betreft: Reactie HollandBIO op concept "Monitor Weesgeneesmiddelen in de praktijk 2019"

Geachte mevrouw Dennesen, beste Lianne,

HollandBIO stelt het erg op prijs dat wij een reactie op het conceptrapport "Monitor Weesgeneesmiddelen in de praktijk 2019" mogen geven. Een groeiend aantal bedrijven in onze achterban 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 waardevol, aangezien deze de actuele stand van zaken op het gebied van toegang tot en gebruik van weesgeneesmiddelen in Nederland in kaart brengt. En we zien een aantal bemoedigende ontwikkelingen. Zo wordt de toegankelijkheid van weesgeneesmiddelen belicht en de kostenstijging in relatie tot het aantal verzekerden en het aantal nieuwe middelen weergegeven. Hierbij valt op dat de stijging van alle drie deze indicatoren gelijk op gaat (zie bijlage). Ook zien we mogelijkheden om deze en volgende monitoren (nog) verder te verbeteren. Deze lichten we hieronder verder toe.

Toegankelijkheid weesgeneesmiddelen

In vergelijking met de vorige twee monitors (2017 & 2018) is naast de kwaliteit en betaalbaarheid ook de toegankelijkheid van weesgeneesmiddelen meegenomen in de monitor. Dat is een goede ontwikkeling, want uiteindelijk levert een geneesmiddel alleen gezondheidswinst op wanneer het de patiënt ook daadwerkelijk bereikt. Echter, uit de analyse blijkt dat de doorlooptijden van de in het onderzoek geïncorporeerde 45 weesgeneesmiddelen sterk uiteenlopen (hoofdstuk 4, pagina 23-24). Wij maken ons zorgen. Het huidige systeem voor toelating en financiering werkt voor veel weesgeneesmiddelen niet. Het "one size fits all"-beoordelingskader en -methodologie van het Zorginstituut, GRADE, is ongeschikt voor weesgeneesmiddelen, die juist vaak (zeer) kleine heterogene groepen patiënten met een langzaam progressieve zeldzame ziekte bedienen. De uiteenlopende doorlooptijden zijn een signaal. Het waarom wordt niet verder toegelicht in deze monitor. Wel komt naar voren dat vervolgonderzoek noodzakelijk is om mogelijke redenen voor toegankelijkheids- of beschikbaarheidsproblemen te achterhalen en oplossingen te inventariseren. Wij willen het Zorginstituut nadrukkelijk adviseren om in het vervolgonderzoek (zie sectie 4.5) ook de visie van geneesmiddelenbedrijven mee te nemen. Natuurlijk is HollandBIO bereid te helpen bij het maken van de connectie met de geneesmiddelenbedrijven.

Een mooie kans om in Nederland een innovatief en internationaal toonaangevend adaptief ecosysteem voor weesgeneesmiddelen te creëren, is de nieuwe regeling 'Voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen' die in sectie 6.4 van de monitor kort aan bod komt. Laat deze regeling dienen als dé innovatieve proeftuin voor weesgeneesmiddelen, conditionals en ATMP's en zie binnen deze regeling af van GRADE en het gangbare dichotome pakketbesluit. Verschaf alle geïndiceerde

patiënten direct na registratie vergoede voorwaardelijke toegang en pionier met het vergaren van Real-World-Evidence binnen registers en innovatieve concepten zoals personalised entry programs en adaptive pricing. Aangezien weesgeneesmiddelen slechts 0,50%¹ van het zorgbudget beslaan, zijn de financiële impact en het budgettaire risico van een dergelijke toelating overzichtelijk en beheersbaar. Tevens stimuleert een adaptief ecosysteem onderlinge concurrentie.

Kosten vs. baten

HollandBIO is blij dat in de monitor van 2019 naast de kosten van weesgeneesmiddelen nu ook het aantal middelen en het aantal verzekerden worden vermeld. Deze vertonen voor zowel niet-oncologische weesgeneesmiddelen als oncologische weesgeneesmiddelen een gelijke trend (zie bijlage), waarbij opvalt dat de stijging van totale vergoeding gelijk is aan de stijging van het aantal verzekerden. Echter vlakken trends van zowel totale vergoeding, aantal geneesmiddelen en aantal verzekerden af in de loop van de jaren. Hoewel dit vanuit een kostenooqpunt als positief kan worden beschouwd, is dit vanuit het perspectief van de zeldzame ziekte patiënt, waarvoor er op dit moment nog geen weesgeneesmiddel beschikbaar is, minder positief. HollandBIO wil het Zorginstituut dan ook vragen een analyse uit te voeren naar welk deel van de registreerde weesgeneesmiddelen überhaupt in Nederland geïntroduceerd wordt en wanneer, bij voorkeur nog voor het verschijnen van de monitor 2020.

Weesgeneesmiddelen bij de ziekte van Gaucher

Het is zeer positief hoe in deze versie van de monitor, mede door het patiëntenperspectief centraal te zetten, inzichtelijk wordt gemaakt wat weesgeneesmiddelen voor de kwaliteit van leven van patiënten met de ziekte van Gaucher betekenen (hoofdstuk 2). Dat is waar we het uiteindelijk allemaal voor doen. De komst van enzymtherapie heeft het beloop van de ziekte sterk verbeterd en eraan bijgedragen dat er geen miltverwijderingen meer nodig zijn geweest. *"Door de hoge effectiviteit van geneesmiddelen voelen jongere patiënten zich minder ziek [...] Patiënten die beginnen met behandeling voordat er irreversibele schade is ontstaan hebben in het algemeen een normaal leven"*. Wel moet er een kritische kanttekening geplaatst worden bij het feit dat er in het kader van patiëntenperspectief op de toepassing van weesgeneesmiddelen in de praktijk met slechts één patiënt is gesproken. Op basis hiervan kan men geen generieke conclusies trekken. HollandBIO maakt bezwaar tegen publicatie van stigmatiserende woorden als "medicijnschaamte". Een patiënt zou zich nooit moeten schamen voor zijn medicijngebruik.

Weesgeneesmiddelen-arrangementen

De toepassing van weesgeneesmiddelen in de praktijk voor de ziekte van Gaucher: met gecentraliseerde zorg in een expertisecentrum, een indicatiecommissie die zorg draagt voor de optimale behandeling (door toepassing van vastgelegde start- en stopcriteria en lagere doseringen) en registratie van uitkomsten in een register, is volgens HollandBIO een goed voorbeeld van hoe zorg voor zeldzame ziektes geregeld moet zijn. Hierdoor worden geneesmiddelen zorgvuldig ingezet en kunnen de kosten per QALY dalen. Door deze manier van werken te formaliseren in een weesgeneesmiddelen-arrangement kan men zowel de kwaliteit van zorg als de kwaliteit van verzamelde data borgen en mogelijk verbeteren. Het is positief dat veldpartijen het initiatief hebben genomen om ook arrangementen op te stellen voor middelen die een 'laag risico' vormen voor de

¹ Uitgaande van totale vergoeding van 489 miljoen euro aan oncologische en niet-oncologische weesgeneesmiddelen samen in 2017 (zie monitor) en totale uitgaven aan zorg van 97,5 miljard euro in 2017, zie <https://www.cbs.nl/nl-nl/nieuws/2018/22/zorguitgaven-stijgen-in-2017-met-2-1-procent>.

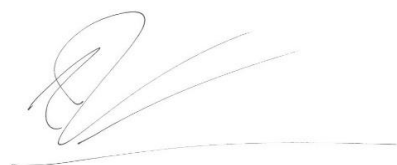
basisverzekering (decentrale weesgeneesmiddelen-arrangementen). Hierbij is het belangrijk dat de zorginhoudelijke aspecten waar het in een weesgeneesmiddelen arrangement om gaat (indicatiecommissie, start- en stopcriteria, registratie in registers) worden geborgd, omdat deze gericht zijn op optimale gezondheidswinst voor de patiënt. We juichen het daarom toe om ook deze resultaten te publiceren in de monitor, om op deze manier het inzicht van de effecten van weesgeneesmiddelen op de praktijk van zorg zo compleet mogelijk te krijgen en te voorkomen dat decentrale weesgeneesmiddelen-arrangementen zich primair richten op financiële afspraken.

Perspectief geneesmiddelenbedrijven ontbreekt

In algemene zin, is wat HollandBIO betreft het ontbrekend perspectief van de geneesmiddelenbedrijven de belangrijkste suggestie voor verbetering. Het is een gemiste kans dat geneesmiddelenbedrijven, als enige partij, niet betrokken zijn bij de Rondetafel Weesgeneesmiddelen, vaak niet aan tafel zitten bij de totstandkoming van weesgeneesmiddelenarrangementen en niet worden geconsulteerd bij het samenstellen van de monitor. Zijn geneesmiddelenbedrijven wel optimaal betrokken? Wanneer je cijfers over specifieke weesgeneesmiddelen noemt, check deze dan actief bij de betreffende fabrikant. Bijvoorbeeld de conclusie dat de prijs van Imiglucerase sinds marktintroductie in 1997 nauwelijks is gezakt moet geverifieerd worden bij Sanofi, vooral omdat de data in de tabel van bijlage 4 iets anders laat zien. Het ontbrekend perspectief van geneesmiddelenbedrijven kan ervoor zorgen dat zaken als specifieke kennis over het weesgeneesmiddel zelf en goede voorbeelden uit andere landen op de achtergrond raken of buiten de oordeelsvorming worden geplaatst. Uitdagingen op het gebied van betaalbaarheid, toegankelijkheid, doorlooptijden, regie op registers, prijsconcurrentie na patentverloop verdienen breed gedragen oplossingen. Deze komen alleen tot stand wanneer de input van alle betrokkenen wordt meegenomen. Let's challenge the status quo together. Today.

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,

A handwritten signature in blue ink, appearing to read 'Annemiek Verkamman'.

Annemiek Verkamman
Directeur HollandBIO