

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

Den Haag, 17 november 2021  
Betreft: Reactie HollandBIO op concept "Monitor Weesgeneesmiddelen in de praktijk 2021"

Geachte mevrouw Dennesen, beste Lianne,

HollandBIO stelt het op prijs dat wij een reactie op het conceptrapport "Monitor Weesgeneesmiddelen in de praktijk 2021" mogen geven.

Voor HollandBIO zijn weesgeneesmiddelen de innovatieve kraamkamer van de life sciences sector én de koplopers op weg naar [gezondheid op maat](#). Baanbrekende nieuwe behandelingen bewijzen zich doorgaans als eerste in het zeldzame ziektedomein. Dankzij onze toenemende kennis van de biologische processen die ten grondslag liggen aan ziekte, is onze sector steeds beter in staat geneesmiddelen en therapieën te ontwikkelen die aansluiten op de individuele behandelbehoefte van de patiënt. En dat is hard nodig, want voor heel veel zeldzame ziekten is op dit moment nog geen geneesmiddel beschikbaar. We sluiten ons dan ook helemaal aan bij de inleidende woorden van het Zorginstituut dat de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen van essentieel belang is voor de mensen die lijden aan zeldzame ziekten.

Wij herkennen ook de nodige uitdagingen die deze innovaties met zich meebrengen. Sommige van deze uitdagingen komen in de monitor uitvoerig aan bod: 1) de uitgaven aan niet-oncologische weesgeneesmiddelen blijven stijgen, hoewel het gezien de financiële arrangementen lastig blijft om hier echt iets zinnigs over te zeggen<sup>1</sup>; 2) dataverzameling met behulp van registers is te vrijblijvend en de financiering blijft een knelpunt; 3) competitie door generieken komt nauwelijks van de grond en 4) prijzen dalen in sommige gevallen te beperkt na patentverloop.

Echter, de uitdagingen rondom toegankelijkheid van weesgeneesmiddelen verdienen wat ons betreft meer aandacht in de monitor. De monitor maakt melding van welgeteld één nieuw vergoed niet-oncologisch weesgeneesmiddel in 2020. En dat terwijl er in dat jaar 22 nieuwe weesgeneesmiddelen een EMA-vergunning kregen<sup>2</sup>. We begrijpen dat dit in het geval van weesgeneesmiddelen te maken kan hebben met onzekerheden over effectiviteit en kosteneffectiviteit en dientengevolge complexere en langere beoordelingsprocedures. Kleine

---

<sup>1</sup> In 2020 vielen zeven niet-oncologische weesgeneesmiddelen onder een financieel arrangement. We weten uit [de voortgangsbrief financiële arrangementen 2020](#) dat de gemiddelde korting per arrangement 42 procent bedraagt. De gezamenlijke omzet van deze zeven medicijnen bedroeg 256 miljoen. Gerekend met een kortingspercentage van 42% mogen we hier dus een korting van 108 miljoen euro veronderstellen. Dat zou betekenen dat de totale uitgaven van 462 miljoen euro bijna een kwart lager uitvallen: 354 miljoen. In praktijk zal dit bedrag nog lager liggen, omdat voor veel weesgeneesmiddelen ook decentrale afspraken zijn gemaakt.

<sup>2</sup> [https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/orphan-medicines-figures-2000-2020\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/orphan-medicines-figures-2000-2020_en.pdf)

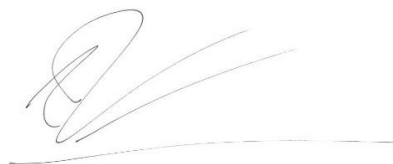
patiëntenpopulaties, heterogene patiëntengroepen en gebrekkige kennis over natuurlijk ziektebeloop zijn inherent aan zeldzame ziektes. Dat kunnen we niet veranderen. Hoe we daar mee omgaan wel.

Wij zijn van mening dat de toegang tot weesgeneesmiddelen in Nederland sneller en beter moet én kan. Juist door slim gebruik te maken van [technologische innovaties](#), waaronder whole genome sequencing en artificial intelligence, zijn we nu al, en in de toekomst meer en meer, in staat om vast te stellen of een behandeling bij een specifieke persoon effectief is. HollandBIO zou graag zien dat we ons nationale toelatingssysteem én onze beoordelingssystematiek daar nu op aanpassen. Want van innovaties die de patiënt niet bereiken, is nog nooit iemand beter geworden. Daarbij moeten we zorgen dat alle routes om een nieuwe behandeling beschikbaar te maken voor de patiënt voor iedereen helder zijn. En dat worden er steeds meer, met initiatieven zoals de regeling voorwaardelijke toelating, de pilot gereguleerde instroom en het Drug Acces Protocol.

De bovengenoemde uitdagingen zijn complex en de hordes niet gemakkelijk uit de weg te ruimen. Wij zijn ervan overtuigd dat communicatie en samenwerking tussen alle betrokken partijen essentieel is. Om toekomstbestendige oplossingen te realiseren waarbij gezondheidswinst, toegankelijkheid én betaalbaarheid hand in hand gaan, zullen we moeten convergeren in plaats van divergeren. Dit hebben we natuurlijk vaker gezegd. Onze visie op mogelijke oplossingsrichtingen hebben we bij verscheidene eerdere consultaties van het Zorginstituut toegelicht. Onze reactie op de Monitor Weesgeneesmiddelen in de praktijk 2021 houden we dit jaar dan ook kort, door te verwijzen naar onze nog steeds actuele inbreng op de voorgaande edities van de [Monitor Weesgeneesmiddelen](#) in de praktijk, onze reactie op de [Monitor Sluisgeneesmiddelen](#) in de praktijk 2021, en onze inbreng in aanloop naar de [evaluatie van de nieuwe procedure Voorwaardelijke Toelating \(VT\)](#) weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals.

Onze belangrijkste vraag is vooral ook een aanbod: hoe kunnen we helpen? Hoe kan het enorme potentieel aan denk-, innovatie- en implementatiekracht dat aanwezig is bij de industrie optimaal worden ingezet om onze gezamenlijke ambitie te realiseren: iedereen de beste behandeling op het juiste moment tegen de juiste prijs. Wij denken, praten én werken graag mee!

Met vriendelijke groet,



Annemiek Verkamman

Directeur HollandBIO