

## Vragen gesteld door de leden der Kamer, met de daarop door de regering gegeven antwoorden

### 2132

Vragen van de leden **Gerbrands** en **Agema** (beiden PVV) aan de Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport over *het niet vergoeden van een medicijn tegen taaislijmziekte*. (ingezonden 1 juni 2017).

Antwoord van Minister **Schippers** (Volksgezondheid, Welzijn en Sport) (ontvangen 19 juni 2017).

Vraag 1 en 2

Bent u op de hoogte van de online actie «Orkambi in het basispakket» en de ruim 76.000 ondersteunende handtekeningen?<sup>1</sup> Zo ja, wat is daarop uw reactie?

Waarom ontnemt u 750 cystische fibrose (CF) patiënten in Nederland de kans op een beter en langer leven?

Antwoord 1 en 2

Ja, ik ben op de hoogte van de petitie.

Het betekent dat veel mensen naar aanleiding van dit besluit bezorgd zijn over de gezondheid van hun naasten, familie en vrienden met cystische fibrose (CF). En dat begrijp ik goed. Ondanks de sterk verbeterde CF zorg zijn de behandelmogelijkheden beperkt en hebben patiënten met CF nog altijd te maken met een sterk verminderde kwaliteit van leven en een veel kortere levensverwachting. Ik ben me er dan ook van bewust dat het besluit deze patiënten direct raakt in hun hoop op een beter leven. Ik heb dan ook alle begrip voor deze actie.

Tegelijk wil ik stellen dat het juist mijn doel en verantwoordelijkheid is om patiënten deze zorg te kunnen bieden binnen het basispakket. Het is echter de prijs van het geneesmiddel die de fabrikant vraagt die aanleiding is tot dit besluit, en die een barrière vormt voor de toegang tot deze behandeling. Het is mijn verantwoordelijkheid om – binnen de grenzen van het zorgbudget – waarborgen te bieden voor toegankelijke, betaalbare zorg van goede kwaliteit. Als we dat willen realiseren zullen we kritisch moeten kijken naar de besteding van dat budget en naar de kosten en de therapeutische waarde van behandelingen. Een besluit over vergoeding van een duur geneesmiddel en de inzet van zorggeld raakt immers behalve mensen die het middel nodig hebben ook mensen die andere zorg nodig hebben. Er is in het geval van Orkambi alle reden om kritisch te zijn, wat maakt dat ik niet anders kan dan te

<sup>1</sup> [https://www.petities24.com/orkambi\\_in\\_het\\_basispakket](https://www.petities24.com/orkambi_in_het_basispakket)

besluiten zoals ik heb gedaan, juist in het belang van iedereen die vroeg of later zorg nodig heeft en er dan op rekent daar ook toegang toe te krijgen. Gezien de ernst van de aandoening en de nog grote behandelbehoefte bij CF is het beschikbaar komen van een nieuwe behandeling voor CF van enorm belang en waardevol voor patiënten en behandelaren. Ik wil me er dan ook voor inzetten dat nieuwe behandelingen voor CF in het pakket komen, dit geldt ook voor Orkambi. Het gegeven dat het Zorginstituut op basis van wetenschappelijke gegevens kritisch is over de effectiviteit van het geneesmiddel en de mate waarin dat is aangetoond betekent niet dat ik het geneesmiddel per definitie niet wil vergoeden. Het gaat hier erom dat ik het geneesmiddel niet zomaar wil vergoeden tegen elke prijs. Indien de prijs maatschappelijk aanvaardbaar is kan het geneesmiddel worden opgenomen in het basispakket.

In het geval van Orkambi is er niet sprake van «zomaar» weer een dure behandeling zoals we die de laatste jaren steeds vaker zien. Zoals uit het advies van het Zorginstituut is gebleken, kost de behandeling op basis van de officiële prijs van de fabrikant € 170.000 per jaar, en het totale macro kostenbeslag kan oplopen tot 125 miljoen per jaar bij behandeling van 750 patiënten. Het is zeer uitzonderlijk dat bij een dergelijk toch aanzienlijk aantal patiënten een dergelijke hoge prijs wordt gevraagd. Binnen het (extramurale) geneesmiddelvergoedingensysteem zou Orkambi op basis van die prijs het geneesmiddel zijn met het hoogste jaarlijkse kostenbeslag. Bij de dure ziekenhuisgeneesmiddelen hebben alleen de zogenaamde TNF-alfaremmers een hoger totaal kostenbeslag dan Orkambi, maar die middelen worden dan wel bij tienduizenden patiënten ingezet. Het kostenbeslag voor Orkambi is dus uitzonderlijk hoog en legt beslag op een zeer aanzienlijk deel van het geneesmiddelbudget. In zo'n situatie verwacht ik dat een fabrikant transparant is over zijn prijsstelling. Het is niet verantwoord iedere willekeurige prijs te betalen die een fabrikant vraagt. Als ik dat wel zou doen zullen de prijzen van nieuwe geneesmiddelen volledig uit de hand lopen en zullen dergelijke behandelingen onbetaalbaar en onbereikbaar worden, of zal andere zorg niet vergoed kunnen worden. Behalve voorgaande vraag over de redelijkheid van de prijs van de fabrikant is ook de vraag van belang of de hoge uitgaven ook in een redelijke verhouding staan tot de gezondheidswinst van de behandeling. Het Zorginstituut is van oordeel dat die kosteneffectiviteitsverhouding ongunstig is, wat volgens het Zorginstituut een gevolg is van het relatief bescheiden effect en de zeer hoge prijs van het geneesmiddel. Dit leidt volgens het Zorginstituut tot verdringing van andere meer kosteneffectieve zorg.

Al het voorgaande leidt ertoe dat ik op dit moment Orkambi niet op verantwoorde wijze kan opnemen in het basispakket. Het uiteindelijke doel van de onderhandeling is om het middel tegen aanvaardbare kosten wel beschikbaar te maken voor de patiënt. Uw Kamer heeft mij ook bij regelmaat ook opgeroepen om scherp te onderhandelen met farmaceutische bedrijven, juist om ervoor te zorgen dat geneesmiddelen toegankelijk blijven voor patiënten. In dit geval heeft de onderhandeling echter niet tot een toereikend en verantwoord resultaat geleid. Dat betreurt ik. Ik ben echter zeker bereid een nieuw en serieus voorstel van de fabrikant opnieuw in overweging te nemen.

### Vraag 3

Welk alternatief kunt u CF-patiënten bieden?

### Antwoord 3

Circa 1/3 van de patiënten met CF komen op grond van hun medische kenmerken in aanmerking voor de behandeling met Orkambi. Het alternatief voor deze groep patiënten is het voortzetten van de huidige standaardbehandeling. De huidige standaardbehandeling is symptomatisch gericht en bestaat uit een combinatie van geneesmiddelen gericht op bestrijding van longinfecties en ontstekingen (antibiotica), klaring van taaislijm (mucolytica) en verbetering van de voedingstoestand (pancreasenzym-suppletie-therapie). Bij patiënten met een slechte longfunctie (FEV1 lager dan 30%) kan een longtransplantatie noodzakelijk zijn of overwogen worden.

#### Vraag 4

Is in de overwegingen ook meegenomen dat naast een verbeterde longfunctie CF-patiënten ook minder vaak opgenomen worden, minder vermoeid zijn en een vermindering van diabetes ervaren? Zo nee, waarom niet?

#### Antwoord 4

Het Zorginstituut heeft alle gepubliceerde gegevens die de fabrikant had aangeleverd gebruikt bij het bepalen van de effectiviteit en kosteneffectiviteit van Orkambi. Het Zorginstituut heeft het effect van de behandeling op kwaliteit van leven, de verbeterde longfunctie en de vermindering van het aantal ziekenhuisopnames voor exacerbaties zeker meegenomen in de analyses. Omdat het effect van Orkambi op diabetes en vermoeidheid niet is gemeten in gerandomiseerde studies (of de resultaten niet zijn gepresenteerd door de fabrikant), is het onbekend of de behandeling resulteert in een afname van de incidentie van diabetes en/of vermoeidheid. Daardoor heeft het Zorginstituut deze effecten niet mee kunnen nemen in de analyses.

#### Vraag 5

Kunt u een overzicht geven van alle landen waar Orkambi wel vergoed wordt?

#### Antwoord 5

Orkambi wordt vergoed in de Verenigde Staten, Oostenrijk, Duitsland, Frankrijk, Ierland, Luxemburg en Denemarken. In de overige landen wordt, voor zover onze informatie strekt, het niet vergoed of lopen er nog onderhandelingen.

#### Vraag 6

Wat is het aandeel van Orkambi op het totale geneesmiddelenbudget?

#### Antwoord 6

Het kader 2017 (stand begroting) voor extramurale geneesmiddelen bedraagt € 4.841 miljoen. Indien de uitgaven aan Orkambi € 125 miljoen bedragen, dan bedraagt het aandeel van Orkambi circa 2,5% van het extramurale geneesmiddelenbudget.

#### Vraag 7

Deelt u de mening dat er een ander procedure moet komen voor het beoordelen van weesgeneesmiddelen zodat we niet elk jaar dezelfde discussie over vergoeding hoeven te voeren?

#### Antwoord 7

Doordat er steeds meer weesgeneesmiddelen op de markt komen tegen vaak hoge prijzen, kunnen de toegankelijkheid en betaalbaarheid ervan onder druk komen te staan. De huidige beoordelingssystematiek voor de beoordeling of een geneesmiddel voor vergoeding in aanmerking komt, biedt goede aanknopingspunten om te beoordelen of een weesgeneesmiddel wel of niet uit het basispakket moet worden vergoed. Het Zorginstituut heeft in haar rapport «Pakketbeheer weesgeneesmiddelen» van 26 oktober 2015 bekeken of er redenen zijn om af te wijken van de toepassing van de pakketprincipes (noodzakelijkheid, effectiviteit, kosteneffectiviteit en uitvoerbaarheid) bij het beoordelen van vergoeding van weesgeneesmiddelen. Het Zorginstituut kwam hierbij tot de conclusie dat vanwege de vaak hoge en ondoorzichtige prijsstelling van weesgeneesmiddelen, het beperkte budget voor de gezondheidzorg en het potentiële verdringingseffect, het niet wenselijk is weesgeneesmiddelen een aparte status te geven. Ik onderschrijf het standpunt van het Zorginstituut. Zoals in de geneesmiddelenvisie is gesignaleerd zien we steeds vaker innovatieve geneesmiddelen die slechts voor een zeer kleine groep mensen geschikt zijn, terwijl ze bij andere patiënten met dezelfde ziekte niets doen. In die visie is ook aangegeven dat ik bekijk hoe we het beste kunnen omgaan met het feit dat er bij weesgeneesmiddelen en «personalised medicine» soms minder en andere type gegevens beschikbaar zijn.

#### Vraag 8

Klopt het dat fabrikant Vertex een significante korting heeft aangeboden op de lijstprijs van 170.000 euro?

Antwoord 8

Ik doe geen inhoudelijke uitspraken over het onderhandelingsproces.

Vraag 9

Wanneer gaat u op het aanbod van de fabrikant Vertex in om weer verder te onderhandelen?

Antwoord 9

Ik heb op 20 juni aanstaande een gesprek met de fabrikant om te praten over een mogelijk vervolg van de gesprekken tezamen met Nederland en België. Dit betekent dat we bereid zijn verder te gaan praten. Of er een vervolg onderhandeling komt zal in belangrijke mate afhangen van de opstelling van de fabrikant.

Vraag 10

Kunt u deze vragen beantwoorden vóór het Algemeen overleg Pakketbeheer voorzien op 22 juni 2017?

Antwoord 10

Ja.