

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

## 2513

Vragen van het lid **Paulusma** (D66) aan de Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport over *ALS en toegang tot medicijnen* (ingezonden 19 april 2023).

Antwoord van Minister **Kuipers** (Volksgezondheid, Welzijn en Sport) (ontvangen 9 mei 2023).

### Vraag 1

Kunt u nader toelichten welke stappen nodig zijn en welke handreikingen worden gedaan om zo snel mogelijk een beslissing te nemen over markttoelating en vergoeding voor de behandeling van de zenuw-/ spierziekte Amyotrofische Laterale Sclerose (ALS)?

### Antwoord 1

De procedure voor markttoelating en vergoeding van geneesmiddelen die voor toepassing bij Amyotrofische Laterale Sclerose (ALS) wijkt niet af van die van andere geneesmiddelen. Allereerst dient de markttoelatingsprocedure bij het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) te worden doorlopen. Dit kan bijvoorbeeld volgens de versnelde beoordeling («accelerated assessment», voor geneesmiddelen waarvan de firma volgens het EMA voldoende heeft aangetoond dat er sprake is van groot maatschappelijk belang en grote therapeutische innovatie<sup>1</sup>).

Het is daarna aan de firma om over te gaan tot introductie van het product in Nederland, waarna intramurale geneesmiddelen vrijwel direct vergoed kunnen worden, tenzij ze voldoen aan de zogeheten sluiscriteria. In dat geval moeten ze beoordeeld worden op hun therapeutische waarde en kosteneffectiviteit door het Zorginstituut. Daarna vindt een prijszonderhandeling met het Bureau Financiële Arrangements Geneesmiddelen plaats.

Om geneesmiddelen voor patiënten breed beschikbaar te maken, moet er enige duidelijkheid zijn over de therapeutische waarde en de kosteneffectiviteit. Alleen dan is vergoeding op grond van de Zorgverzekeringswet uit collectieve middelen mogelijk. Hierop kan ik geen uitzondering maken. Wel hebben alle partijen, waaronder het Zorginstituut, behandelaren, de Minister en niet in de laatste plaats de firma een grote verantwoordelijkheid om patiënten zo snel mogelijk duidelijkheid te geven over de vergoeding van een

<sup>1</sup> Accelerated assessment | European Medicines Agency (europa.eu)

nieuw geneesmiddel. Dit geldt voor de ziekte ALS, maar ook voor andere ziekten waarvoor geen behandeling voorhanden is. Ik ben van mening dat ons systeem voldoende mogelijkheden biedt om ook ALS-patiënten snel duidelijkheid en toegang te geven tot waardevolle geneesmiddelen. Uiteraard zal ik bij ALS en ziekten waarbij de urgentie hoog is, alles doen om binnen de mogelijkheden zo snel mogelijk tot een besluit te komen.

#### Vraag 2

Kunt u aangeven hoe ALS-patiënten en de patiëntenvereniging Stichting ALS Nederland worden betrokken in bovengenoemde stappen?

#### Antwoord 2

Het is van groot belang dat markttoelatings- en vergoedingsbeslissingen op onafhankelijke gronden kunnen worden genomen. Dat betekent dat de formele rol van patiënten en patiëntenverenigingen bij specifieke beoordelingen beperkt is tot consultatie van conceptrapporten van het Zorginstituut. Dit geldt dus ook bij geneesmiddelen voor ALS. Gedurende eventuele onderhandelingen vindt vaak overleg plaats met patiëntenverenigingen om hen te informeren over de voortgang van het proces.

#### Vraag 3

Kunt u aangeven op welke wijze bestaande versnelde procedures zoals de artsenverklaring via de Inspectie Gezondheidszorg en Jeugd (IGJ), het compassionate use programma via het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG) en de accelerated access route via het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) effectief zijn voor geneesmiddelen voor aandoeningen waar nog geen behandeling voor bestaat zoals bij ALS?

#### Antwoord 3

Deze procedures zijn in principe ook voor geneesmiddelen voor behandeling van ALS van toepassing. Voor nadere toelichting verwijs ik u naar mijn brief over dit onderwerp, die ik u op 16 januari 2023 deed toekomen<sup>2</sup>.

#### Vraag 4

Kunt u nader duiden hoe vaak en voor welke aandoeningen het compassionate use programme is ingezet de afgelopen tien jaar?

#### Antwoord 4

Sinds 2013 zijn er door het College ter Beoordeling Geneesmiddelen (CBG) 32 compassionate use programma's goedgekeurd. Voor een volledig overzicht van de producten verwijs ik u naar de website.<sup>3</sup>

#### Vraag 5

Kunt u aangeven welke financieringsbronnen zijn aangewend om geneesmiddelen via het compassionate use programme toegankelijk te maken voor patiënten?

#### Antwoord 5

De kosten van niet-geregistreerde geneesmiddelen die zijn bestemd voor onderzoek, of die in compassionate use programma's aan patiënten worden verstrekt voorafgaand aan de markttoelating, komen ten laste van de sponsor van het onderzoek, of de firma het geneesmiddel heeft ontwikkeld.

#### Vraag 6

Kunt u de oorzaken duiden van verschillen in tijdsduur met betrekking tot markttoelating via het Amerikaans geneesmiddelen agentschap (de FDA) en het EMA?

---

<sup>2</sup> Kamerstuk 29 477, nr. 796

<sup>3</sup> <https://www.cbg-meb.nl/onderwerpen/hv-compassionate-use-programma/overzicht-goedgekeurde-cup>

#### Antwoord 6

Er is geen duidelijke conclusie te trekken over de verschillen in beoordelingsduur. De markttoelatingsautoriteiten FDA en EMA hebben verschillende procedures en werkwijzen. Naast verschillen in de procedures, kan het feit dat de FDA vaker versnelde beoordelingsprocedures voor nieuwe, potentieel baanbrekende geneesmiddelen inzet, daarin een rol spelen. Daarnaast dienen bedrijven geneesmiddelen vaak eerder in bij de FDA dan bij het EMA.

#### Vraag 7

Kunt u stapsgewijs toelichten waar in het proces van ontwikkeling van een geneesmiddel, tot markttoelating, tot vergoeding en ten slotte tot daadwerkelijk toegang tot een medicijn voor de patiënt versnelling en verbetering mogelijk is en op welke wijze hij zich hiervoor inzet?

#### Antwoord 7

De beleidsinzet in de gehele keten van ontwikkeling tot vergoeding en beschikbaarstelling van geneesmiddelen is zeer divers. Op hoofdpunten licht ik enkele belangrijke initiatieven toe.

Ten aanzien van innovatie zie ik kansen op het terrein van Future Affordable and Sustainable Therapies (FAST), waarover ik de Tweede Kamer samen met de Minister van Economische Zaken en Klimaat met regelmaat bericht<sup>4</sup>. Dit initiatief moet innovatieve therapieontwikkeling versterken door samenhang aan te brengen in de inzet van stimulerende instrumenten die we nu al in Nederland hebben. Door meer samenhang aan te brengen in publieke investeringen op het gebied van innovatie therapieontwikkeling hoop ik een bijdrage te leveren aan de versnelling van de ontwikkeling van waardevolle innovatieve en betaalbare therapieën.

De Europese Commissie heeft op 26 april haar voorstel voor aanpassing van de Europese geneesmiddelenwetgeving gepubliceerd<sup>5</sup>. Een van de voorstellen is om de markttoelatingsprocedure bij het EMA te versnellen. Momenteel stelt het kabinet de BNC-fiche op waarin de voorgestelde herziening van de EU farmaceutische wetgeving wordt geanalyseerd en beoordeeld.

Rond de vergoedingsprocedure van nieuwe, dure geneesmiddelen blijf ik werken aan het verbeteren van de doorlooptijden van de vergoedingsprocedure. Een voorbeeld daarvan is de mogelijkheid tot het doen van een parallelle procedure, waarbij een beoordelingsprocedure voor vergoeding door het Zorginstituut al tijdens de markttoelatingsfase mogelijk is.

Ook optimaliseer ik de zogeheten sluisperiode, waarin onderhandeld wordt over de prijs van een geneesmiddel. Dit doe ik mede in overleg met geneesmiddelenfabrikanten. Om deze procedure hebben zowel firma's als overheid een verantwoordelijkheid om zo snel mogelijk tot een goede overeenkomst te komen. Hoewel geneesmiddelen die tijdens deze periode door de firma beschikbaar gesteld worden, nog niet vergoed worden, nemen firma's deze verantwoordelijkheid wel op zich. Dit valt hen te prijzen. Om goed zicht te houden op de doorlooptijd van dure geneesmiddelen en de mogelijkheden om daarin versnelling aan te brengen, kom ik later dit jaar met een dashboard voor de doorlooptijden van (sluis-)geneesmiddelen. Voor de zomer doe ik u een brief toekomen waarin ik nader inga op maatregelen om te komen tot een meer toekomstbestendig stelsel voor de toelating van nieuwe dure geneesmiddelen. Daarin besteed ik ook aandacht aan het verkorten van de tijd tot de patiënt.

<sup>4</sup> Kamerbrief voortgang expertisecentrum FAST en afronding Life Sciences & Health actieprogramma | Kamerstuk | Rijksoverheid.nl

<sup>5</sup> Reform of the EU pharmaceutical legislation (europa.eu)