

Vergaderjaar 2012–2013

**29 477**

**Geneesmiddelenbeleid**

**Nr. 209**

## **BRIEF VAN DE MINISTER VAN VOLKSGEZONDHEID, WELZIJN EN SPORT**

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 27 november 2012

### **Aanleiding**

Afgelopen zomer was er veel maatschappelijke aandacht voor twee concept- pakketadviezen van het College voor zorgverzekeringen (CVZ) over geneesmiddelen voor de behandeling van de ziekte van Pompe en de ziekte van Fabry. In deze concept-adviezen, die ter consultatie lagen bij velpartijen, was sprake van uitstroom van deze geneesmiddelen uit het pakket voor de ziekte van Fabry en de niet-klassieke vorm van Pompe. De inhoud van deze concept-adviezen leidde tot onrust bij patiënten en zorgpartijen.

Binnenkort verwacht ik de definitieve adviezen van het CVZ te ontvangen. Ik zal dat advies eerst bestuderen en vervolgens een standpunt innemen waarover ik u zal informeren. Vooruitlopend daarop hecht ik er aan u door middel van deze brief nader te informeren over de beleidsmatige achtergrond bij deze pakkettoetsing, die onderdeel uitmaakt van het systeem van voorwaardelijke pakkettoelating bij specialistische geneesmiddelen. Ook informeer ik u hierbij over de uitkomst van andere trajecten met voorwaardelijk toegelaten specialistische geneesmiddelen. Tot slot wil ik u een doorkijk geven naar toekomstige pakketadviezen van geneesmiddelen die nog bij het CVZ op de rol staan in het kader van voorwaardelijke pakkettoelating.

### **Waarom voorwaardelijke pakkettoelating bij specialistische geneesmiddelen?**

In mijn brief van 28 maart 2012 (kamerstuk 29 477-168) heb ik u uitgebreid geïnformeerd over mijn beleid met betrekking tot voorwaardelijke pakkettoelating in de geneesmiddelenvoorziening. Veel van de nieuwe geneesmiddelen die tegenwoordig op de markt verschijnen zijn bedoeld voor ernstige, vaak (relatief) zeldzame aandoeningen. Hoewel de geneesmiddelen geregistreerd zijn en dus getoetst op veiligheid/werkzaamheid, zijn er op het moment van het op de markt verschijnen

ook nog veel onzekerheden. Zo moet de in onderzoek bewezen werkzaamheid nog blijken in de medische praktijk en moet nog worden gezien hoe de nieuwe behandeling zich qua therapeutische waarde verhoudt ten opzichte van bestaande behandelingen.

Ook is dan nog niet bekend bij welke patiënten het middel het best tot zijn recht komt en wat de beste plaats van het geneesmiddel in de behandeling is. Tegelijkertijd gaat het vaak om zeer dure behandelingen waarvan de totale uitgavengroei de groei van het zorgbudget overstijgt. Met andere woorden, er is bij nieuwe geneesmiddelen vaak nog onzekerheid of deze nieuwe geneesmiddelen voldoen aan de pakketcriteria.

Het waarborgen van snelle en adequate patiënttoegang, de beloning van innovatie en de zinvolle en verantwoorde inzet van financiële middelen vormt hier – gelet op de onzekerheden – een enorme uitdaging. Met voorwaardelijke pakkettoelating en de inzet van financiële arrangementen kan ik per casus maatwerk bieden en beoog ik deze uitdagingen het hoofd te bieden.

### **Alternatief van voorwaardelijke toelating**

Bij voorwaardelijke pakkettoelating bij specialistische geneesmiddelen gaat het om bewezen werkzame geneesmiddelen en ziet het voorwaardelijke traject toe op het vergaren van meer inzicht in de relatieve therapeutische waarde ten opzichte van de standaard therapie, de effectieve toepassing en de kosteneffectiviteit om zo een definitieve pakketbeslissing te nemen.

Ik wil kort stilstaan hoe mijn beleid eruit had gezien, als ik niet voor het instrument voorwaardelijke toelating had gekozen. Zonder het instrument voorwaardelijke pakkettoelating komt een nieuw geneesmiddel dat niet voldoet aan de pakketcriteria, niet in het pakket. Terwijl het dus heel goed mogelijk is dat zo'n middel, nadat de onzekerheden zijn weggenomen door een voorwaardelijk traject, wel pakketwaardig kan zijn. Patiënten zouden zonder de mogelijkheid van een voorwaardelijk pakkettoelating, een potentieel goed geneesmiddel langere tijd worden onthouden omdat het geneesmiddel eerst aan alle criteria moet voldoen alvorens het toegelaten kan worden tot het pakket. Zeker inzake geneesmiddelen met een (relatief) kleine patiënten populatie kan dat hoge kosten en veel tijd met zich meebrengen. Dit vind ik niet wenselijk. Mede daarom heb ik gekozen voor het instrument voorwaardelijke pakkettoelating.

De andere kant van de medaille is dat als, na een voorwaardelijk traject, blijkt dat een geneesmiddel nog steeds niet voldoet aan de pakketcriteria, uitstroom uit het pakket volgt, terwijl patiënten en behandelaren het wel tot hun beschikking hebben gehad tijdens het voorwaardelijk traject. Hierdoor kan de acceptatie van een negatieve pakketbeslissing voor betrokkenen emotioneel zwaar zijn en zo het draagvlak van dit beleid aantasten.

Een negatieve pakketbeslissing na een voorwaardelijk traject hoort echter bij dit instrument. Zonder uitstroom van geneesmiddelen die niet aan de pakketcriteria voldoen, zou er immers geen sprake zijn van tijdelijke toelating maar van permanente toelating.

### **Wat is voorwaardelijke pakkettoelating**

Met voorwaardelijke pakkettoelating wordt een specialistisch geneesmiddel dat behoort tot de stand van de wetenschap en praktijk, voorlopig

en tijdelijk toegelaten tot het pakket terwijl er nog onzekerheden zijn over de therapeutische meerwaarde, de verhouding tussen de (meer)kosten en de baten (kosteneffectiviteit) en de effectieve toepassing van het nieuwe geneesmiddel. Er zijn dus nog onzekerheden of het geneesmiddel voldoet aan de pakketcriteria.

Via vervolgonderzoek worden deze onzekerheden geadresseerd. Dit uitkomstenonderzoek duurt maximaal vier jaar en wordt door partijen zoals fabrikant en beroepsgroep uitgevoerd.

Dit betekent dat er een praktijkgericht onderzoek op wordt gezet, meestal via patiëntenregistraties, om de (kosten)effectiviteit in de praktijk te onderzoeken.

Met de informatie die het onderzoek oplevert kan na maximaal vier jaar ( $t=4$ ) de definitieve pakketbeslissing genomen worden. Deze definitieve pakketbeslissing kan het volgende inhouden:

- het geneesmiddel blijft in het pakket;
- het geneesmiddel stroomt uit het pakket;
- het geneesmiddel blijft in het pakket, maar onder aanvullende voorwaarden zoals een prijsarrangement, behandelprotocollen of voor een beperkte groep patiënten.

Het onderzoek dat gedaan wordt is niet alleen in het belang voor het pakket-beheer. Ook behandelaren en hun wetenschappelijke verenigingen kunnen de resultaten aanwenden om hun behandelrichtlijnen op te baseren. Hierdoor ontstaan er waarborgen voor een doelmatige inzet van de nieuwe (vaak dure) therapie.

### **Financiële arrangementen en behandelprotocollen**

Bij de definitieve herbeoordeling van een geneesmiddel (na vier jaar) stelt het CVZ onder andere de kosteneffectiviteit van het geneesmiddel vast. Een ongunstige kosteneffectiviteitsratio, bijvoorbeeld als de in de praktijk onderzochte meerwaarde niet zo groot is dat de hoge prijs van het geneesmiddel wordt gerechtvaardigd, kan voor het CVZ aanleiding zijn voor een uitstroomadvies. Als in zo'n geval de behandeling op zich wel effectief is en er zijn geen goede alternatieve behandelmogelijkheden voor de patiënt, is uitstroom uit het pakket geen bevredigende uitkomst.

Op dat moment kan een prijsarrangement tussen overheid en fabrikant aangewezen zijn om de kosteneffectiviteit te verbeteren, of de kosten voor de behandeling en de uitgaven te beheersen, zodat het geneesmiddel wel beschikbaar blijft voor de patiënt via het pakket.

Verder zijn waarborgen voor een juiste inzet van zo'n middel van groot belang. Een belangrijk instrument hiervoor is een goed behandelprotocol opgesteld door de behandelaren, eventueel in samenspraak met het CVZ.

Bij financiële arrangementen kan de fabrikant voorstellen doen om de kosten van de behandeling te beperken. Behalve aan een prijsverlaging, kan hierbij worden gedacht aan een variant waarbij de fabrikant het middel tegen kortingen aanbiedt aan instellingen, of een variant waarbij de fabrikant alleen kosten rekent bij succesvolle behandelingen (prijs/prestatieafspraken). Er bestaan diverse varianten van financiële arrangementen. In veel andere landen is ondertussen ervaring opgedaan met deze arrangementen.

Een financieel arrangement kan overigens ook direct bij het beschikbaar komen ( $t=0$ ) aan de orde zijn. In het geval dat de kosteneffectiviteit op voorhand evident ongunstig is, of indien het kostenbeslag van een nieuw geneesmiddel onzeker en potentieel zeer hoog is. Zo heb ik onlangs een

prijsarrangement met fabrikanten van de nieuwe orale anti-stollingsmiddelen afgesproken.

Naast dit financieel arrangement bij de nieuwe orale anti-stollingsmiddelen hebben de wetenschappelijke verenigingen onder leiding van de Orde van Medisch Specialisten een leidraad ontwikkeld om een zorgvuldige introductie van deze nieuwe behandeling te bewerkstelligen. In mijn brief van 13 november (kamerstuk 29 477-207) ben ik uitgebreid op deze casus ingegaan.

Indien er geen bevredigend prijsarrangement tot stand komt of er zijn onvoldoende waarborgen voor een doelmatige inzet via protocollen, dan kan dit reden zijn om een geneesmiddel, dat niet voldoet aan de pakketcriteria, niet in het pakket op te nemen.

### **Internationale samenwerking**

Nederland is niet het enige land dat kiest voor de instrumenten voorwaardelijke toelating en het doen van financiële arrangementen bij geneesmiddelen.

Zowel het CVZ als mijn ministerie participeren in verschillende internationale gremia en werkgroepen op het gebied van uitkomsten onderzoek en financiële arrangementen.

We zijn nog niet zo ver dat er al voorbeelden zijn dat verschillende landen gemeenschappelijk prijsarrangementen met een fabrikant afspreken of een gemeenschappelijk uitkomstenonderzoek opstellen. Maar ik kan mij de meerwaarde voorstellen als dit wel gebeurt. Ik zal daarom de mogelijkheden om op deze gebieden meer internationaal samen te werken intensiever verkennen.

### **Stand van zaken voorwaardelijke pakkettoelating**

Op dit moment bevindt zich een 40-tal geneesmiddelen in een voorwaardelijk traject (zie bijlage \*). Het betreft hier dure specialistische geneesmiddelen die in de periode vanaf 2006 tot dit jaar op de markt zijn verschenen.

Voor al deze geneesmiddelen wordt dus een maximaal vier jaar durend onderzoek uitgevoerd, gevolgd door een definitieve pakketbeoordeling. Sinds begin 2012 heeft het CVZ voor een aantal geneesmiddelen al een definitieve beoordeling afgerond op t=4 en mij hierover geadviseerd. Hier wil ik in het bijzonder de uitkomsten voor het geneesmiddel Xolair (voor een ernstige vorm van astma) en Remicade (voor de toepassing bij de ziekte van colitis ulcerosa) toelichten. Voor beide geneesmiddelen met de eerder genoemde indicaties heeft het CVZ een uitstroomadvies voorbereid. Het CVZ gaf wel tegelijkertijd aan dat de middelen in het pakket kunnen blijven, mits een goed prijsarrangement met de fabrikanten wordt afgesproken.

Dit laatste is al gebeurd voor het geneesmiddel Xolair. Hiervoor is een zogenoemde pay for performance arrangement gesloten. Kortgezegd houdt dit in dat de geneesmiddelfabrikant zelf voor de kosten opdraait indien het geneesmiddel bij een individuele patiënt niet effectief blijkt te zijn. Bij de ontwikkeling en uitvoering van dit arrangement is de beroepsgroep van longartsen nauw betrokken. De beroepsgroep heeft behandelprotocollen opgesteld met ondermeer duidelijke start- en stopcriteria. En zij hebben indicatoren vastgesteld of de patiënt baat heeft bij de behandeling of dat de behandeling bij de patiënt niet aanslaat. Ook voor het geneesmiddel Remicade wordt op dit moment door het CVZ gewerkt aan een dergelijk arrangement.

Dit zijn twee goede voorbeelden waarin we de kosteneffectiviteit van het geneesmiddel kunnen verbeteren, de potentiële uitgaven aan het geneesmiddel beperken en zo de patiënttoegang kunnen waarborgen.

#### *Geneesmiddelen tegen Pompe/Fabry*

Behalve voor bovengenoemde voorbeelden voert het CVZ ook een t=4 beoordeling voor weesgeneesmiddelen uit bij de ziekte van Pompe en de ziekte van Fabry.

Afgelopen zomer kregen de concept-adviezen, die in het kader van deze beoordeling door het CVZ waren opgesteld voor een veldconsultatie, de nodige maatschappelijke aandacht.

Ik ga in deze brief geen voorschot nemen op deze CVZ-adviezen of op mijn standpunt op deze adviezen. Dat doe ik als de CVZ-adviezen gereed zijn. Maar ik vind het wel belangrijk om u te informeren over de procedure van de beoordeling bij deze geneesmiddelen.

Onderdelen in het adviestraject van het CVZ zijn een therapeutische waarde- bepaling (door de Commissie Farmaceutische Hulp) en een maatschappelijke toets (door de Advies Commissie Pakket) over het concept pakketadvies van het CVZ. Voorafgaand aan de vergadering van de Advies Commissie Pakket vindt er ook een veldconsultatie plaats. De maatschappelijke toets is een essentieel onderdeel van de werkzaamheden door de Advies Commissie Pakket. De vergadering van de Advies Commissie Pakket is openbaar en voor iedereen toegankelijk.

Na de beoordeling door de Commissie Farmaceutische Hulp en de Advies Commissie Pakket is het aan de Raad van Bestuur van het CVZ om mij definitief te adviseren over de pakketbeslissing, eventueel aangevuld met voorwaarden aan die pakketbeslissing. Vervolgens is het aan mij om dit advies beargumenteerd over te nemen of niet. De politieke besluitvorming is dus aan het eind van dit traject.

Ik verwacht op korte termijn de adviezen van het CVZ. Ondertussen heb ik wel de eerste gesprekken met fabrikanten gevoerd of de kosten van de behandeling maatschappelijk aanvaardbaar zijn. Op basis van het CVZ-advies zal ik een standpunt innemen.

#### *Komende beoordelingen door het CVZ*

Zoals gezegd bevindt zich een 40-tal geneesmiddelen in een voorwaardelijk traject. De komende periode zal het CVZ over een aantal van deze middelen een advies uitbrengen. Het is mogelijk dat enkele van deze adviezen ook tot maatschappelijke aandacht leiden.

Volgens het CVZ worden de volgende adviezen binnen enkele maanden afgegeven:

- Adviezen over een drietal weesgeneesmiddelen waar de kosten per behandeling per patiënt tussen de € 300 000 en € 600 000 per jaar bedragen.
- Adviezen over een aantal middelen op het gebied van oncologie.

#### *Academische component*

Naast het traject van voorwaardelijke vergoeding bestaat er de mogelijkheid om via de academische component experimentele zorg te financieren. Ik meld dit nu hier, omdat recent mijn ministerie van het CVZ heeft vernomen dat er enkele geneesmiddelen voor de behandeling van zeer zeldzame ziekten zijn ontwikkeld die zich in een experimentele fase bevinden en daarom nog geen onderdeel zijn van de verzekerde zorg. De therapie is soms zo experimenteel, dat de geneesmiddelen ook nog niet eens zijn geregistreerd. Universitaire Medische Centra hebben aange-

geven de mogelijkheden te verkennen om deze middelen in onderzoeksverband toe te dienen.

Ik ben verheugd om te horen dat er ontwikkelingen zijn in behandelingen van patiënten met zeer zeldzame aandoeningen waar nu geen behandeling voor is. Echter omdat deze middelen nog niet zijn toegelaten in het pakket is er geen financieringsgrond via de zorgverzekeringswet. Vanwege het kleine aantal patiënten, de experimentele fase waarin dergelijke geneesmiddelen zich bevinden en daarmee de nauwe relatie met onderzoek en innovatie, ben ik van mening dat dergelijke middelen in deze fase via de academische component kunnen worden gefinancierd. De Universitaire Medische Centra krijgen immers een academische component om top-referente zorg te kunnen leveren in relatie tot onderzoek en innovatie en om de kosten van hun last-resort functie te kunnen dragen.

### **Afsluitend**

Als ik de eerste ervaringen van voorwaardelijke pakkettoelating nader beschouw kom ik tot de volgende voorlopige bevindingen:

- Voorwaardelijke pakkettoelating biedt de mogelijkheid om de patiënt snel na de markttoelating innovatieve geneesmiddelen beschikbaar te stellen.
- Het voorwaardelijke traject geeft inzicht in plaatsbepaling, de therapeutische meerwaarde en de kosteneffectiviteit van het geneesmiddel en de uitgaven aan het geneesmiddel.
- Goede behandelrichtlijnen of -protocollen zijn van belang voor een juiste inzet van geneesmiddelen. Dit draagt bij om de onzekerheid over kosteneffectiviteit en/of het risico op hoge uitgaven te beheersen.
- Het aangaan van prijsarrangementen is tot nu toe een goede manier om bij onzekerheid over kosteneffectiviteit en/of het risico op hoge uitgaven te pareren. Zoals ook in het regeerakkoord genoemd wordt, zal ik prijs-arrangementen daar waar nodig is inzetten.

Als een patiënt via een voorwaardelijk traject vier jaar een geneesmiddel heeft gebruikt en uit onderzoek blijkt dat de therapeutische waarde en/of de kosten-effectiviteit onvoldoende is, voldoet het geneesmiddel niet aan de pakketcriteria en dient het geneesmiddel (gedeeltelijk) uit te stromen. Dit leidt tot veel onrust, ongeloof, onzekerheid en verdriet zoals deze zomer bij de conceptadviezen van het CVZ over de geneesmiddelen voor de ziekte van Pompe en ziekte van Fabry.

Zonder uitstroom komt voorwaardelijke toelating in de praktijk neer op een definitieve toelating. Dat is onhoudbaar. Politiek, wetenschap, medische beroepsbeoefenaren, farmaceutische industrie, de patiënten moeten zich bewust zijn van de tijdelijke basis van de pakkettoelating en de uitstroombmogelijkheid. Acceptatie en ondersteuning van dit beleid vergroten de slagingskans ervan. Want dit beleid leidt er ook toe dat patiënten sneller toegang hebben tot goede geneesmiddelen die anders niet of later tot hun beschikking zouden komen.

Als ik de pakketadviezen van het CVZ over de geneesmiddelen voor de ziekte van Pompe en ziekte van Fabry heb ontvangen, zal ik deze adviezen zorgvuldig bestuderen en u vervolgens informeren over mijn standpunt hierop.

De minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,  
E. I. Schippers

\*) Ter inzage gelegd bij het Centraal Informatiepunt Tweede Kamer