

Vergaderjaar 2013–2014

29 477

Geneesmiddelenbeleid

Nr. 260

BRIEF VAN DE MINISTER VAN VOLKSGEZONDHEID, WELZIJN EN SPORT

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 3 oktober 2013

In mijn brief van 30 januari 2013 (Kamerstuk 29 477, nr. 224) heb ik naar aanleiding van twee adviezen van het College voor zorgverzekeringen (CVZ) over de vergoeding van de weesgeneesmiddelen voor de ziekte van Pompe¹ en de ziekte van Fabry² uw Kamer toegezegd om terug te komen op de vraag of en hoe vergoeding van deze middelen na 2013 zal plaatsvinden.

De geneesmiddelen voor de ziekte van Pompe en ziekte van Fabry zullen ook na 2013 vergoed blijven via het basispakket. Met deze brief informeer ik uw Kamer over de wijze waarop en de voorwaarden waaronder deze vergoeding zal plaatsvinden.

Achtergrond

In de adviezen over de ziekte van Pompe en de ziekte van Fabry d.d. 29 november 2012 adviseerde het CVZ de behandelingen met het weesgeneesmiddel alglucosidase alfa (Myozyme) voor de ziekte van Pompe, respectievelijk de weesgeneesmiddelen agalsidase alfa (Replagal) of agalsidase bèta (Fabrazyme) voor de ziekte van Fabry onder voorwaarden te blijven bekostigen.

Zoals ik in de brief van 30 januari jl. heb aangegeven, heb ik besloten de vergoeding van deze middelen in 2013 via het basispakket te handhaven. Verder heb ik aangegeven dat ik:

- *met de fabrikanten over kostenreductie zou gaan onderhandelen;*
- *afspraken zou maken met behandelaren en patiënten over doelmatige inzet van deze weesgeneesmiddelen;*
- *(Europees) onderzoek door belanghebbende partijen zou oppakken;*

¹ http://www.cvz.nl/binaries/live/cvzinternet/hst_content/nl/documenten/rapporten/2012/rpt211-ziekte-van-pompe.pdf

² http://www.cvz.nl/binaries/live/cvzinternet/hst_content/nl/documenten/rapporten/2012/rpt1211-ziekte-van-fabry.pdf

- zou overwegen om een onafhankelijke commissie in te stellen bij de start en het stoppen van een behandeling.

Onderstaand kom ik op de verschillende onderdelen terug.

Onderhandelingsresultaten

Prijsarrangementen

In mijn brief van 27 november 2012³ heb ik uw Kamer geïnformeerd over mijn besluit om bij pakketbesluiten over dure en weesgeneesmiddelen gebruik te gaan maken van zogenoemde financiële arrangementen.

Een financieel arrangement is een overeenkomst tussen de overheid en een geneesmiddelenfabrikant waarbij een geneesmiddel voor een bepaalde tijd tegen verlaagde kosten via het pakket wordt vergoed. Zoals ik uw Kamer al eerder berichtte moeten dergelijke financiële arrangementen gezien worden als een instrument dat selectief wordt toegepast. Het kan ingezet worden in specifieke gevallen waarbij zorgverzekeraars en zorgaanbieders onvoldoende in staat zijn om lagere prijzen met leveranciers uit te onderhandelen en in gevallen waarbij maatwerk gewenst is bij de pakketbeslissing. Denk hierbij aan (nieuwe) unieke geneesmiddelen die mogelijk een hoog kostenbeslag met zich meebrengen of waarbij het niet zeker is of de hogere prijs gerechtvaardigd wordt door betere behandelresultaten (onzekere kosteneffectiviteit).

In aanloop naar dit beleid ben ik vorig jaar begonnen met het uitvoeren van pilots. Zo heb ik bij mijn vergoedingsbesluit over de nieuwe orale antistollingsmiddelen (NOACs) een prijs-volumearrangement afgesloten voor een periode van drie jaar.

Pompe en Fabry

Het CVZ advies over de vergoeding van weesgeneesmiddelen voor de ziekte van Pompe en de ziekte van Fabry maakt de spanning tussen de gewenste toegankelijkheid en betaalbaarheid goed zichtbaar. Bij onderhavige casus is sprake van zeer zeldzame en ernstige ziekten met beperkte behandelmogelijkheden. De betreffende geneesmiddelen hebben een aangetoonde meerwaarde, hoewel er ook nog veel onzekerheden bestaan, bijvoorbeeld over de mate van het effect op de langere termijn. Patiënten zijn op deze belangrijke middelen aangewezen. De kosten van behandeling voor beide aandoeningen samen genomen bedragen op dit moment circa € 60 miljoen per jaar. Bij benadering driekwart daarvan komt voor rekening van het geneesmiddel bij de ziekte van Pompe. De kosten per (volwassen) patiënt kunnen bij beide aandoeningen oplopen tot enkele tonnen per jaar. Het gaat bij Pompe, respectievelijk Fabry bij benadering om 114 en 70 patiënten.

Gelet op het voorgaande is een kritische benadering van de prijzen van deze geneesmiddelen aangewezen. Een prijsarrangement is een geschikt instrument om zowel de verzekerde zorg als de betaalbaarheid daarvan te waarborgen. Ik kan u dan ook mededelen dat ik met de beide bedrijven voor de beschikbare middelen een arrangement ben aangegaan.

Prijsarrangementen Myozyme, Fabrazyme en Replagal

Mede op advies van het CVZ ben ik met de betrokken geneesmiddelleveranciers Genzyme en Shire in gesprek gegaan over een kostenreductie

³ Kamerstuk 29 477, nr. 209.

van de betreffende geneesmiddelen. Mede dankzij de constructieve houding van beide fabrikanten en de bereidheid om tot een bevredigend resultaat te komen, ben ik tot arrangementen gekomen zonder beperkingen op te hoeven leggen aan de voorschrijfvrijheid van de behandelaar of de mate van voorschrijven. De arrangementen hebben dus voor de behandelaar, noch de patiënt invloed op de wijze van voorschrijven of de te volgen therapie.

De fabrikanten hebben de voorwaarde bedongen dat arrangementsprijzen en nadere financiële details uit concurrentiële overwegingen vertrouwelijk zouden blijven. Zonder tegemoet te komen aan de voorwaarde van vertrouwelijkheid van prijsgegevens was het mijn inziens niet mogelijk geweest om een aanzienlijke kostenbesparing te realiseren. Hoewel ik te allen tijde streef naar zo groot mogelijke transparantie, acht ik in dit geval het belang van de gewenste toegang tegen aanvaardbare kosten groter dan het tegemoetkomen aan de transparantiebehoefte. Zonder geheimhouding kan ik deze arrangementen niet aangaan en resteren mij als enige opties uitsluiting van de middelen van vergoeding, ofwel continuering van vergoeding tegen hoge kosten.

Het arrangement dat ik heb gesloten ten aanzien van het geneesmiddel Myozyme voor de ziekte van Pompe is van toepassing op de jaren 2014 tot en met 2016.

Bij de ziekte van Pompe is sprake van grote verschillen in benodigde dosering per patiënt. De fabrikant heeft zich bereid getoond om de kosten van behandelingen van patiënten die zijn aangewezen op bovengemiddeld hoge doseringen, te compenseren. Gepaard met een aanvullende afspraak over aanvullende kostenbesparingen bij toekomstige volumegroei leidt dit tot een substantiële verlaging van de behandelkosten. Voor de periode na 2016 zal worden bezien of instrumenten zoals een arrangement nog aangewezen zijn om de vergoeding te continueren.

Voor de geneesmiddelen Fabrazyme (van Genzyme) en Replagal (van Shire) zijn arrangementen overeengekomen voor de jaren 2014 en 2015, die leiden tot een substantiële kostenverlaging over het huidige volume en aanvullende kostenverlagende afspraken over eventuele volumegroei. Bij deze specifieke geneesmiddelen acht ik zorgverzekeraars en zorgaanbieders na deze periode vooralsnog zelf in staat om in de markt een aanvaardbaar kostenbeslag te realiseren.

Gepast gebruik

In het kader van het goed gebruik van voornoemde middelen is overleg gevoerd met de behandelend artsen van de behandelcentra van de ziekten van Pompe en Fabry en de betrokken patiëntenorganisaties. Met goed gebruik bedoel ik dat alleen die patiënten voor wie het op grond van diagnostische en klinische overwegingen aannemelijk is dat zij baat hebben bij de behandeling, in een optimale dosering met deze dure geneesmiddelen worden behandeld.

De behandeling voor de ziekte van Pompe is geconcentreerd in het Erasmus Medisch Centrum te Rotterdam (Erasmus MC); behandeling van de ziekte van Fabry vindt plaats in het Academisch Medisch Centrum te Amsterdam (AMC). Dat houdt in dat deze centra volledig verantwoordelijk zijn voor de behandeling van alle patiënten in Nederland met de ziekte van Pompe of de ziekte van Fabry.

Beide expertisecentra behandelen de patiënten op basis van met internationale samenwerking totstandgekomen behandelprotocollen. Op mijn verzoek heeft het Kennisinstituut van Medisch Specialisten (KiMS);

onderdeel van de Orde van Medisch Specialisten) beoordeeld of deze protocollen evenwichtig zijn en voldoende onafhankelijk tot stand zijn gekomen. Het KiMS concludeert dat de behandelprotocollen op zorgvuldige wijze tot stand zijn gekomen en voldoen aan de criteria voor goede protocollen en richtlijnen. Ter optimalisering van de respectievelijke behandelprotocollen heeft het KiMS nog enkele aanbevelingen gedaan. De behandelaren van de ziekten van Pompe en van Fabry hebben aangegeven voor het einde van het jaar aan alle aanbevelingen gevolg te geven. In aanvulling daarop werken zij met de betreffende beroeps-groepen aan officieel erkende richtlijnen die naar verwachting binnen zes maanden tot stand zullen komen.

Daarnaast erkennen beide expertisecentra het belang van stringentere waarborgen voor gepast gebruik van deze dure geneesmiddelen. Beide centra hebben thans onderzoeksprogramma's lopen om toenemend inzicht te krijgen in de behandeling van deze ziektes. Het garanderen van goede start- en stopcriteria voor de behandeling met deze geneesmid-delen vormt daar een belangrijk aandachtspunt in. Bij de ziekte van Fabry wordt bijvoorbeeld onderzoek gedaan naar genetische voorspellers die kunnen aangeven of behandeling met deze weesgeneesmiddelen zal aanslaan.

Gelet op de continue inzet op de verdere ontwikkeling van de behandeling en de internationale focus op onderzoek van de expertisecentra concludeer ik dat er consensus is dat er nog ruimte is voor optimalisering van de behandeling van deze ziekten, en dat naar de huidige stand van zaken de behandeling door deze expertisecentra uitstekend is gewaarborgd. Deze expertisecentra vervullen internationaal een voortrekkersrol. Op het uitvoeren van onderzoek kom ik verderop in deze brief terug.

Ook de patiëntenverenigingen hebben gepast gebruik van deze geneesmiddelen hoog op de agenda staan. Zij achten het van belang dat de toegang tot deze geneesmiddelen is geborgd voor patiënten die er baat bij hebben. Ook zijn zij zich bewust van het belang van een goede inzet van middelen met een dergelijk hoog kostenbeslag. De patiëntenverenigingen ondersteunen onderzoek naar optimalisatie van de behandelingen en promoten dit ook actief richting hun achterban.

(Europees) onderzoek

Ook in de Europese Gemeenschap staat het onderzoek naar zeldzame ziekten, waaronder weesziekten, hoog op de agenda. Vanwege de relatief kleine patiëntengroepen is het juist op dit terrein efficiënt om Europees samen te werken. De Europese Commissie en twaalf lidstaten, waaronder Nederland, hebben hun krachten verenigd in het netwerk E-rare. Het doel van E-rare is om fragmentatie in onderzoek naar zeldzame ziekten in Europa te verminderen en multidisciplinaire samenwerking te bevorderen en te versterken. De deelnemende landen, waaronder Nederland, laten een deel van hun nationale onderzoeksgeld via dit programma lopen. Vanuit het zevende EU kaderprogramma voor onderzoek is ruim € 184 miljoen geïnvesteerd in 43 projecten. Met dit onderzoek zijn onder meer zestien klinische studies voor weesgeneesmiddelen gestart. Bovendien is in 2011 het International Rare Diseases Research Consortium, een internationaal samenwerkingsverband, gestart.

Naast wetenschappelijk onderzoek wordt ook intensief samengewerkt op het gebied van kennis delen over zeldzame ziekten. Zo biedt Orpha.net een overzicht van de beschikbare expertise en lopende onderzoeken in Europa. De Europese Commissie ondersteunt registers van zeldzame ziekten en is bezig met de oprichting van een Europees platform voor de

registratie van zeldzame ziekten en een Europees Reference Network, met de insteek dat kennis makkelijker kan reizen dan patiënten.

Nederland neemt volop deel aan deze verschillende Europese initiatieven, onder meer via subsidies vanuit ZonMw. Het CVZ heeft mij daarnaast geadviseerd om de internationale aanpak die de expertisecentra in het verleden reeds hebben vertoond verder te ondersteunen. Dit houdt in het opzetten van (Europees) onderzoek naar voorspellende factoren en start- en stopcriteria en daarnaast het organiseren van een transparant systeem. Door de expertisecentra in het Erasmus MC en het AMC wordt een significante bijdrage geleverd aan internationaal onderzoek in de vorm van uitwisseling van patiëntdata. Het Erasmus MC (Pompe) neemt deel aan internationale uitwisseling van patiëntdata via registers. Het AMC (Fabry) werkt aan de uitwisseling van datasets met behandelcentra in onder meer het Verenigd Koninkrijk en Duitsland. Financiering daarvan vindt onder meer plaats via het ZonMw-programma Goed Gebruik Geneesmiddelen (programma GGG). Dergelijke datavergaring en -verwerking in meerdere landen acht ik, gelet op de kleine patiëntpopulaties, van belang, omdat de optimalisatie van de effectiviteit op deze wijze uitvoeriger kan worden onderzocht. Reeds bestaande registraties opgezet door de farmaceutische bedrijven zelf zijn volgens behandelaren niet altijd toereikend.

Ik constateer dat de onderzoekers en behandelaren van de ziekte van Pompe en ziekte van Fabry elkaar internationaal weten te vinden. Het lijkt mij dan ook logisch om het initiatief tot Europese samenwerking bij hen te laten. Via bijvoorbeeld ZonMw zijn er fondsen beschikbaar om onderzoek en de samenwerking daarin te faciliteren. Ik ondersteun de initiatieven die de behandelaren van de ziektes van Pompe en Fabry hebben genomen om in bredere zin de evaluatie van weesgeneesmiddelen te helpen verbeteren, waaronder de organisatie van een internationale conferentie die mede vanuit ZonMw wordt gefinancierd. Bij de inhoudelijke invulling van de conferentie zullen ook het CVZ, ZonMw, het European Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD), de nationale registratieautoriteiten en het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) worden betrokken.

Verder kan ik u informeren dat in de volgende projectronde van het programma GGG het deelprogramma registers uitsluitend zal worden gewijd aan financiering van registers voor weesziekten. Dit moet een extra impuls geven aan onderzoek naar de optimale behandeling van weesziekten.

Ten slotte verwacht ik binnenkort het rapport Nationaal Plan Zeldzame Ziekten van ZonMw. Ik verwacht dat dit rapport ook aandacht zal besteden aan de verbetering van (internationaal) onderzoek naar weesindicaties. In mijn standpunt ten aanzien van dit rapport zal ik daar uitgebreider op terugkomen.

Onafhankelijke commissie

In voornoemd advies heeft het CVZ mij tevens in overweging gegeven een onafhankelijke commissie op te richten die behandelend artsen adviseert bij het starten en stoppen van dure behandelingen. De behandeling van de ziekten van Pompe en Fabry is reeds centraal georganiseerd in de expertisecentra van het Erasmus MC, respectievelijk het AMC. Met deze aanpak lopen wij op internationaal gebied voor. Dit heeft niet alleen voordelen voor de specialisering van behandelaren en de kennisvergaring over (met name) deze weesziekten; centralisatie zorgt er ook voor dat Nederland een sleutelpositie inneemt in de internationale samenwerking met behandelcentra in andere landen.

Uit de behandelprotocollen blijkt voorts dat intercollegiale controle in voldoende mate is verdisconteerd in de interne multidisciplinaire indicatiecommissies van de behandelcentra. Aan die deskundigheid kan de overheid geen noemenswaardige meerwaarde leveren. Daar waar het KiMS aanbevelingen heeft gedaan om de onafhankelijkheid van de indicatiecommissies te vergroten, hebben de betrokken expertisecentra reeds toegezegd op korte termijn aanpassingen door te voeren. In het licht van deze bestaande organisatie is inrichting van een centrale onafhankelijke commissie in dezen minder aangewezen.

Conclusie

Voor de continuering van de vergoeding van weesgeneesmiddelen tegen maatschappelijk aanvaardbare kosten zijn meerdere beheersingsinstrumenten van belang, waaronder de inzet van financiële arrangementen voor verlaging van het kostenbeslag en stringente waarborgen voor goed gebruik. Dit onderhandelingstraject onderstreept ook het belang van het maken van goede prijsafspraken met fabrikanten zo mogelijk vóór pakketopname. Het past in mijn beleid om bij nieuwe weesgeneesmiddelen die op de markt gaan verschijnen al in een eerder stadium, te weten bij de marktintroduktie, in te zetten op financiële arrangementen. Van fabrikanten zal in toenemende mate worden gevraagd inzage te geven in de onderbouwing van de prijsstelling. Zoals eerder toegezegd zal ik in een aparte brief aan uw Kamer mijn beleid over financiële arrangementen nader toelichten.

Ik ben alle betrokken partijen erkentelijk voor hun motivatie en inzet om tot een zo goed mogelijk resultaat te komen. De betrokken geneesmiddelleveranciers Genzyme en Shire hebben hun constructieve kant getoond tijdens deze onderhandelingen en de behandelaren nemen een actieve houding aan in de continue verbetering van behandelprotocollen en -richtlijnen. Ik wil mijn waardering uitspreken voor het geduld waarmee de patiëntenorganisaties met deze onzekere tijd zijn omgegaan.

Al met al vind ik dat hier een goed voorbeeld ligt waarmee nu en in de toekomst aan verbetering van de toegang tot en betaalbaarheid van de behandeling van zeldzame ziektes kan worden gewerkt. Bovengenoemde financiële arrangementen vormen samen met de maatregelen voor goed geneesmiddelgebruik de basis om de vergoeding na 2013 via de Zorgverzekeringswet te continueren. Op deze basis heb ik de toegang tot het middel voor de patiënt, een aanvaardbaar kostenbeslag voor de premiebetaler en een redelijke innovatiebeloning voor de industrie willen realiseren.

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