

Ontheffing verplichting betaling registratiekosten geneesmiddelen tegen zeldzame aandoeningen

7 januari 2003/Nr. GMT/G 2344184

De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport, maakt bekend gebruik te maken van de mogelijkheid ontheffing te verlenen van de verplichting tot het betalen van registratiekosten, als bedoeld in artikel 23 a, vierde lid, van het Besluit Registratie Geneesmiddelen indien aan de volgende criteria is voldaan.

1. Het betreft een geneesmiddel dat in één of meer andere landen van de Europese Gemeenschap dan Nederland is geregistreerd.
2. Het geneesmiddel is bestemd voor toepassing bij een levensbedreigende of ernstige chronisch-invaliderende ziekte.
3. Het betreft een geneesmiddel bestemd voor een ziekte die in Nederland niet meer dan één per 200.000 burgers treft, met dien verstande dat dit aantal:
 - a. bij chronische ziekten betrekking heeft op de prevalentie;
 - b. bij ziekten met een kort beloop betrekking heeft op de jaarlijkse incidentie
 - c. bij vaccinaties betrekking heeft op de te vaccineren doelgroep.

*De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,
A.J. de Geus.*

Toelichting

Patiënten met zeldzame ziekten hebben vaak geen geneesmiddelen ter beschikking omdat deze middelen óf niet bestaan óf niet in Nederland geregistreerd zijn. De Europese Gemeenschap heeft het probleem van het gebrek aan goede geneesmiddelen voor deze patiënten onderkend en wil de ontwikkeling van geneesmiddelen tegen zeldzame ziekten stimuleren. Uitgangspunt daarbij is dat patiënten met een zeldzame ziekte recht hebben op geneesmiddelen met een goede balans tussen werkzaamheid en veiligheid – evenals dit het geval is bij geneesmiddelen voor de meer frequent voorkomende ziekten.

De EG heeft daartoe in Verordening (PbEG L 18) 141/2000 inzake de weesgeneesmiddelen een aantal stimulerende maatregelen vastgesteld, waarbij tevens – krachtens artikel 9, lid 2 – lidstaten regelmatig moeten rapporteren aan de Europese Commissie over elke maatregel die zij eventueel getroffen hebben ter stimulering van weesgeneesmiddelen of geneesmiddelen die als zodanig kunnen worden aangewezen. De Raad voor Gezondheidsonderzoek doet in zijn Advies Orphan Drugs (weesgeneesmiddelen) aan de Minister van VWS een aantal aanbevelingen (advies nr. 16, april 1998) teneinde de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen te bevorderen en de situatie van patiënten met zeldzame ziekten te verbeteren. De Minister van VWS heeft haar standpunt over dit advies gegeven in de brief van 31 maart 2000 aan de Tweede Kamer (kamerstukken II, 1999-2000, 26 800 XVI, nr. 80).

Voortvloeiend uit deze aanbevelingen en uit de Verordening weesgeneesmiddelen is het volgende van belang. Van een aantal zeer zeldzame en ernstige ziekten is bekend dat er wel geneesmiddelen tegen bestaan maar dat deze niet in Nederland geregistreerd zijn, daarentegen wel in één of meerdere lidstaten van de EU. Deze geneesmiddelen komen op grond van dit laatste gegeven niet meer in aanmerking voor aanwijzing en registratie als weesgeneesmiddel in de EG. Fabrikanten van deze middelen zijn niet geneigd deze middelen in Nederland te registreren onder andere vanwege de hieraan verbonden registratiekosten. Indien een farmaceutisch bedrijf een dergelijk geneesmiddel wil laten registreren, hetgeen wenselijk is met oog op een goede documentatie van gegevens over werkzaamheid en veiligheid, zal dit via de onderlinge erkenningsprocedure plaatsvinden. Indien een bepaald geneesmiddel voor een zeldzame aandoening in geen van de lidstaten van de EU geregistreerd is, heeft het de voorkeur dat een bedrijf de beslissing neemt zijn product in alle lidstaten laat registreren.

De Verordening weesgeneesmiddelen vormt hiertoe een kader, maar uiteindelijk is deze beslissing ter beoordeling aan het betreffende bedrijf. In de huidige situatie kunnen de niet geregistreerde geneesmiddelen wel voorgeschreven en geïmporteerd worden. Hiervoor zijn een artsenverklaring nodig en toestemming van de hoofdinspecteur van de inspectie voor de gezondheidszorg nodig, krachtens artikel 54, lid 1, onder d, Besluit bereiding en aflevering farmaceutische producten (BBA).

Krachtens artikel 23 a, lid 4, BRG kan de Minister van VWS, met het oog op bevordering van de volksgezondheid, vrijstelling verlenen aan een fabrikant van het betalen van registratiekosten voor een bepaald geneesmiddel.

Door middel van de nieuwe beleidsregel geeft de Minister van VWS criteria aan op basis waarvan fabrikanten aanspraak kunnen maken op ontheffing van de verplichting tot het betalen van registratiekosten. Het criterium over de ernst van de ziekte sluit aan bij de regelgeving binnen de EG inzake weesgeneesmiddelen. Het criterium over het aantal patiënten sluit aan bij de norm die het College voor zorgverzekeringen aangeeft bij de beoordeling door de zorgverzekeraars van ongeregistreerde geneesmiddelen en de daarbij vermelde indicaties met het oog op aanspraken krachtens de Ziekenfondswet en tevens sluit dit criterium aan bij de uitwerking die aan het begrip prevalentie gegeven wordt in document COMP/436/01 getiteld 'Points to consider on the calculation and reporting of the prevalence of a condition for orphan designation', ter inzage via de website van de Europese registratieautoriteit (EMA): <http://www.emea.eu>. Dit document ligt ook ter inzage bij de bibliotheek van het Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport, Parnassusplein 5 in Den Haag.

*De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,
A.J. de Geus.*