



VSOP

## VOOR ZELDZAME EN GENETISCHE AANDOENINGEN

Zorginstituut Nederland  
t.a.v. L.L. Snyders, Team Monitoring  
[LSnyders@zinl.nl](mailto:LSnyders@zinl.nl)

Soest, 2 november 2018

Referentie: MD\18-068

Betreft: Reactie VSOP op de concept Monitor Weesgeneesmiddelen 2018

Geachte mevrouw Snyders,

De VSOP is de Nederlandse koepelorganisatie van patiëntenorganisaties voor zeldzame en genetische aandoeningen. Vanuit die rol is ons er veel aangelegen dat alle patiënten, die daarvoor in aanmerking komen, daadwerkelijk toegang hebben tot weesgeneesmiddelen. De evaluatie van het pakketbeheer weesgeneesmiddelen middels de Monitor Weesgeneesmiddelen kan daaraan bijdragen. Graag gaan wij dan ook in op uw uitnodiging te reageren op de concept Monitor Weesgeneesmiddelen 2018.

Vorig jaar hebben we een uitgebreide reactie gegeven op de Monitor Weesgeneesmiddelen 2017. De meeste knelpunten genoemd in deze reactie zijn helaas nog actueel.

Wat betreft de uitvoering van het pakketbeheer weesgeneesmiddelen en het afsluiten van weesgeneesmiddelarrangementen, wordt in de huidige monitor de casus eculizumab bij aHUS beschreven. Hierbij is door zorginstituut, behandelaars en patiënten nauw samengewerkt om gepast gebruik van het middel te bewerkstellingen en de gemaakte afspraken in de praktijk te brengen. Dit is gebeurd in het kader van een ZonMw GGG-project cure-iHus. Dit project en het vergelijkbare project betreffende agalsidase bij Fabry hebben de Parel ontvangen van ZonMw GGG. Dat is een mooie erkenning. Een gemeenschappelijk kenmerk van deze twee casussen is het gebruik van een patiëntenregister voor verbetering van de farmacotherapie. Echter, een ander kenmerk is helaas ook dat structurele financiering van deze registers na afloop van het project/arrangement nog niet geregeld is. We roepen u op de continuïteit van deze en komende registers te garanderen.

### **Diagnosegebonden registers voor zeldzame aandoeningen**

Het Zorginstituut heeft van VWS de opdracht ontvangen voor een uitvoeringstoets betreffende '*meer regie op registers*'. Dit onderwerp heeft de hoogste prioriteit voor de 76 lidorganisaties van de VSOP en wij dragen graag bij aan de ontwikkeling ervan. Zoals wij de minister hebben laten weten (zie Brief aan minister Bruins d.d. 23-8-2018) moet de focus echter niet alleen liggen op aandoeningen waar geneesmiddelen voor beschikbaar zijn of zijn te voorzien. Wij pleiten voor een infrastructuur voor registers voor zeldzame aandoeningen die onafhankelijk is van het al dan niet beschikbaar zijn of komen van een medicijn. Dat is o.a. van belang voor inzicht in natuurlijk beloop van de aandoening en het monitoren van de effecten van niet-medicinale interventies.

Wij attenderen u in dit kader graag op de website [www.patiëntenregisters.org](http://www.patiëntenregisters.org) die wij hebben ontwikkeld met steun van het Innovatiefonds Zorgverzekeraars en patiëntenorganisaties en die expertisecentra voor zeldzame aandoeningen handvaten biedt voor bij het opzetten en beheren van registers.

Het is duidelijk uit de beschrijving van de drie casussen in de monitor dat er nog heel wat knelpunten en barrières te overwinnen zijn om te komen tot bruikbare patiëntenregisters. De Europese context is daarbij van belang. We brengen graag het Europese IMD register voor metabole ziekten onder uw de aandacht (<https://www.eimd-registry.org/>) dat via MetabERN (<https://metab.ern-net.eu/>) Europese registers voor 250-300 aandoeningen, gegroepeerd in zeven clusters zal gaan omvatten, waaronder . stofwisselingsziekten die worden behandeld met enzym replacement therapie middelen.

Graag brengen we ook het EMA registries initiative onder uw aandacht waarbij gewerkt wordt aan een gemeenschappelijke dataset en kwalificatie van registers voor de niet oncologische zeldzame aandoeningen cystic fibrosis en hemofilie. Tevens zal de EMA binnenkort een publieke consultatie uitzetten betreffende hun *Reflection paper – Use of patient registries for regulatory purposes*. Het is wenselijk dat de HTA-eisen hierbij aansluiten.

### **Landelijke expertisenetwerken**

Wat betreft de samenwerking tussen expertisecentra verwijzen wij u graag opnieuw naar de bijlage waarin wij de minister adviseren de erkende expertisecentra een formele rol te geven bij het opstellen van richtlijnen en pakketadviezen betreffende het al dan niet opnemen weesgeneesmiddelen in het verzekerde pakket. Zij zijn daartoe meer deskundig. Idealiter zijn zij wel aangesloten bij de medisch-wetenschappelijke verenigingen. Maar in de praktijk blijkt dit een knelpunt te zijn. Het Zorginstituut kan bijdragen aan het versterken van hun positie.

### **Betrokkenheid van patiëntenorganisaties bij de beoordeling van het zorginstituut zoals beschreven in het pakketbeheer weesgeneesmiddelen**

Sinds publicatie van het 'Pakketbeheer weesgeneesmiddelen' in 2015 zijn er nog niet veel intramurale weesgeneesmiddelen als zodanig beoordeeld. Patiëntenorganisaties hebben dus ook nog beperkte kennis en/of ervaring met deelname aan deze procedures. De VSOP ondersteunt hen daarbij: <https://zeldzameaandoening.nl/support-bij/weesgeneesmiddelen/> en tevens worden vanuit Europa aanbevelingen gedaan betreffende de bijdrage van patiëntenorganisaties op het terrein van HTA: <https://www.eupati.eu/health-technology-assessment/guidance-for-patient-involvement-in-hta/>. Wij nodigen u graag uit hier kennis van te nemen en deze aanbevelingen een plek te geven in uw beleid.

### **Mogelijkheden tot gepast gebruik**

Patiëntenorganisaties moeten kennis hebben over de diverse mogelijkheden tot gepast gebruik om samen met hun behandelaars te komen tot verstandige keuzes. Wij pleiten ervoor om de geleerde lessen m.b.t gepast gebruik, bijvoorbeeld uit ZonMw-projecten, inzichtelijk te maken voor patiëntenorganisaties zodat zij deze kennis kunnen toepassen.

Ook moeten patiëntenorganisaties handvatten krijgen voor het opstellen van een zienswijze over een nieuw geneesmiddel, dat het zorginstituut gaat beoordelen of dat op andere wijze onderdeel wordt van een *managed entry agreement*. Deze zienswijze kan dan besproken worden bij de scoping bijeenkomst die de start vormt van het beoordelingsproces. Graag brengen wij in dit verband de tools voor patiënten en patiëntenorganisaties, ontwikkeld door HTAi, onder uw aandacht.

<https://htai.org/interest-groups/pcig/resources/for-patients-and-patient-groups/>

Bruikbaar is met name de *Patient Group Submission Templates – Generic patient submission templates for an HTA*, dat patiëntenorganisaties bij het formuleren van een zienswijze voor gepast gebruik voor nieuwe middelen. Wij nodigen u graag uit hiervan een Nederlandse versie te ontwikkelen .

### **Anticiperen op toekomstige ontwikkelingen (Bijlage 6 - weesgeneesmiddelen in de Horizonscan)**

Zowel uit de Horizonscan Geneesmiddelen (bijlage 6) als ook het PRIME-initiatief van de EMA blijkt dat er veel innovatieve weesgeneesmiddelen op de markt verschijnen de komende jaren.

Onzes inziens is het huidige proces onvoldoende toegerust om de toegankelijkheid te garanderen en om t.a.v. de kosteneffectiviteit goede afwegingen te kunnen maken. Ook bij de middelen die automatisch instromen en niet beoordeeld worden door het Zorginstituut zijn er namelijk knelpunten door beperkte ruimte in het ziekenhuisbudget. Gezien de urgentie lijkt het ons dan ook noodzakelijk dat het Zorginstituut en relevante veldpartijen op korte termijn om de tafel te gaan om de systematiek van weesgeneesmiddel-arrangementen productoverstijgend onder de loep te nemen.

### **Betreft Bijlage 7 Het advies van de ACP**

In de huidige monitor worden de afspraken bij de middelen voor MPS I, II en VI beschreven (respectievelijk laronidase, idursulfase en galsulfase). De ACP heeft aangedrongen op herbeoordeling van deze middelen en van andere oudere weesgeneesmiddelen waarvoor in het verleden geen beoordeling volgens de huidige inzichten heeft plaatsgevonden. Wij adviseren u in dit kader ook te bezien of de inkoop van deze middelen geregeld kan worden middels landelijke prijsonderhandelingen of prijsonderhandelingen in BeneluxA & Ierland verband. Tevens dient ons inziens haast te worden gemaakt met het opzetten van Europese registers voor aandoeningen waarbij sprake is van *enzyme replacement therapies* of innovatieve therapieën zoals siRNA en gentherapie.



Dr. Mariette Driessens, beleidsmedewerker

[m.driessens@vsop.nl](mailto:m.driessens@vsop.nl)