



VSOP

VOOR ZELDZAME EN GENETISCHE AANDOENINGEN

Zorginstituut Nederland
Team Evalueren & Monitoring
t.a.v. L. Dennesen,
evaluatieprogramma@zinl.nl

Soest, 11 oktober 2019

Referentie: MD\19-046

Betreft: Reactie VSOP op de concept Monitor Weesgeneesmiddelen 2019

Geachte mevrouw Dennesen,

De VSOP is de Nederlandse koepelorganisatie van (momenteel 77) 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 deze jaarlijkse Monitor Weesgeneesmiddelen kan daaraan bijdragen. Graag gaan wij dan ook in op uw uitnodiging te reageren op de Monitor Weesgeneesmiddelen 2019.

Allereerst complimenten voor het inzicht dat deze uitgebreide rapportage geeft in het verloop, en geleerde lessen, van weesgeneesmiddel-arrangementen.

Pagina 14

Het valt ons op dat er slechts één patiënt met de ziekte van Gaucher is geïnterviewd. De reden daarvan wordt niet vermeld, maar in ieder geval pleiten wij voor een nauwere betrokkenheid van patiëntenorganisaties bij het opzetten, monitoren en evalueren van weesgeneesmiddel-arrangementen. Dat vereist een structurele aanpak (en financiering).

Hoofdstuk 3

Mede naar aanleiding van de herbeoordeling van MPS-geneesmiddelen (pagina 7) vragen wij ons af of veldpartijen voldoende toegerust zijn om tijdig effectieve weesgeneesmiddelen-arrangementen af te sluiten en prijsonderhandelingen te voeren. We zijn op de hoogte van de lopende discussie over triage van middelen uit de horizonscan. Wij pleiten voor uniforme kaders en regie vanuit het Zorginstituut en hopen in de volgende Monitor, of eerder, meer te vernemen over de effectiviteit van decentrale weesgeneesmiddelen-arrangementen versus centrale arrangementen.

Pagina 17, 19

Vraag: Wat is de reden dat niet alle acht academische centra deelnemen aan de CUREiHUS-studie?
Vraag: Hoe kunnen de raden van bestuur, gezien het gezondheidsbelang en maatschappelijk belang, worden aangespoord aanvragen voor dergelijke studies snel te behandelen?

Hoofdstuk 4

Wat betreft het onderzoek naar de toegankelijkheid is het opvallend dat van de 17 vergoede GVS middelen er maar 10 de patiënt bereikt hebben (pagina 53). We zijn benieuwd naar de reden daarvoor.

Voor een selecte groep van middelen zal nu nader onderzoek volgen. Wij hebben meegewerkt aan het gerapporteerde onderzoek en zijn graag bereid een bijdrage te leveren aan het vervolg.

Paragraaf 6.2: Regie op registers

Wat betreft de knelpunten die genoemd worden in deze - en de voorgaande - monitors vragen we opnieuw aandacht voor de ontwikkeling en financiering van diagnosegebonden registers voor zeldzame aandoeningen. Het Zorginstituut gaat in het project Regie op Registers eerste instantie uit van een gefaseerde aanpak voor dure geneesmiddelen. Wij pleiten echter nadrukkelijk en met spoed voor de ontwikkeling van een landelijke infrastructuur voor registers voor zeldzame aandoeningen, onder beheer van erkende expertisecentra, die onafhankelijk is van het al dan niet beschikbaar zijn van een medicijn. Dat is van groot belang voor inzicht in natuurlijk beloop van de aandoening, het monitoren van de effecten van ook niet-medicinale interventies en de kwaliteit van leven. Tevens garandeert dit dat, in geval van een duur weesgeneesmiddel, een weesgeneesmiddelenarrangement snel opgestart kan worden. Het operationeel zijn van het [European Platform on Rare Disease Registration](#) kan daarbij faciliteren.

Ons valt de vrijblijvendheid op die onderdeel uitmaakt van het beleid: van de expertisecentra wordt veel extra inzet verwacht om een weesgeneesmiddelarrangement succesvol te laten zijn, zonder dat zij van adequate middelen worden voorzien. Dat geldt ook voor de patiëntenorganisaties waarmee in dit kader wordt samengewerkt. In de conclusie op pagina 35 benoemt u expliciet het knelpunt van de financiering van de registers voor monitoring van de weesgeneesmiddelarrangementen.

Vraag: Is het Zorginstituut bereid dit onder de aandacht van de minister van VWS te brengen?

Betere afstemming van het weesgeneesmiddelenbeleid en het beleid t.a.v. expertisecentra voor zeldzame aandoeningen en Europese Referentie Netwerken (in het kader van de [richtlijn Grensoverschrijdende zorg](#)) is o.i. hard nodig.

Er zullen gedurende het project 'Regie op Registers' een aantal pilots worden uitgevoerd, waarvan tenminste één voor een weesgeneesmiddel. Het is twijfelachtig of dit voldoende informatie oplevert voor deze belangrijke categorie. We pleiten daarom voor uitbreiding van het aantal pilots en vragen daarbij in het bijzonder aandacht voor de diverse genterapie-producten uit de monitor (bijlage 6: sluismiddel Luxturna voor oogaandoeningen, sluismiddel Zynteglo voor thalassemie en producten voor hemofilie, spierziekten en stofwisselingsziekten). Op 10 april jl. heeft de VSOP samen met de Patiëntenfederatie Nederland, de Nederlandse Federatie van Kankerpatiëntenorganisaties en Spierziekten Nederland in een bijeenkomst bij het Zorginstituut al aandacht gevraagd voor wijze waarop deze middelen beoordeeld zullen worden door het Zorginstituut en hoe de bekostiging geregeld zal worden door de zorgverzekeraars. Hierop zien we graag vervolg?

Wat betreft de gegevens in bijlage 6 is het voor de inschatting van de budgetimpact van genterapieën van belang voortaan ook het totale aantal patiënten dat voor genterapie in aanmerking komt te vermelden, alsmede het aantal nieuwe patiënten per jaar. Het gaat in de meeste gevallen om een eenmalige behandeling in plaats van levenslang gebruik van medicatie.

Paragraaf 6.4: voorwaardelijke toelating

Mede naar aanleiding van de voorwaardelijke toelating voor Nusinersen voor patiënten van 9,5 jaar en ouder (pagina 20): Diverse deskundigen zijn van mening dat er geen reden is het uitgangspunt 'stand van wetenschap en praktijk' enkel en alleen te baseren op, soms willekeurige, leeftijdsgrenzen die de farmaceut heeft gehanteerd in de klinische studies. Een wetenschappelijke grond voor de leeftijdsgrens ontbreekt en er is geen reden om de twijfelen aan de effectiviteit van het middel bij patiënten ouder dan 9,5 jaar.

Vraag: Ziet het Zorginstituut naar aanleiding van deze casus reden na te denken over een andere interpretatie van de 'stand van wetenschap en praktijk'?

Europese samenwerking

De Europese samenwerking op het terrein van (wees)geneesmiddelen komt in de Monitor nauwelijks aan de orde. Indien weesgeneesmiddelen in het kader van BeneluxAI of EUnetHTA, worden beoordeeld, is onduidelijk wat dit betekent voor de raadpleging van artsen- en patiënten organisaties zoals beschreven in het pakketbeheer weesgeneesmiddelen.

Vraag: Blijft in dat geval een scopingbijeenkomst bij de start van de beoordeling bestaan? En hoe verloopt het WAR/ACP traject?

Verder zou het goed zijn meer inzicht te verkrijgen hoe het Nederlands weesgeneesmiddelenbeleid, met name aanpak middels weesgeneesmiddelen arrangementen, zich verhoudt tot de Europese Referentie Netwerken.

Wat betreft de rapportage over aHUS in Bijlage 1; Privacy

Bij weesgeneesmiddelarrangementen voor zeer kleine aantallen patiënten bestaat de kans dat de gegevens in de rapportage tot de persoon herleidbaar zijn. Hoe voorkomt u dat dit een drempel is voor patiënten om deel te nemen en hoe wilt u daar mee omgaan i.h.k.v. publicatie van de rapportage?

Pagina 34-5.

Wat betreft de constatering dat na aflopen van de marktexclusiviteit de prijzen niet vanzelf dalen: Wij steunen het initiatief om nieuwe prijsonderhandelingen met de fabrikant(en) te starten, zoals aangekondigd voor de middelen voor Gaucher. Het is raadzaam om te bekijken of het onderzoek naar gepast gebruik gefinancierd kan worden uit de gerealiseerde besparingen zodat de kwaliteit van zorg niet onder druk komt te staan. Tot nu toe is de rol van patiëntenorganisaties bij inkooponderhandelingen en ook gepast gebruik beperkt. Wij raden aan patiëntenorganisaties hierbij te betrekken zodat hun expertise ook meegenomen wordt en dat er ook aandacht is voor behandellast en stimuleren van therapietrouw.

Met vriendelijke groet,



Dr. Mariette Driessens, beleidsmedewerker VSOP

m.driessens@vsop.nl