

Den Haag, 29 november 2016

Hierbij mijn reactie op de brief gericht aan de vaste commissie voor Volksgezondheid, Welzijn en Sport van 9 september 2016, met een verzoek van de heer D.M. om hulp bij het verkrijgen van het geneesmiddel Immukine[®] ter vermindering van de symptomen van zijn ziekte.

De heer D.M. lijdt aan de ziekte «Ataxie van Friedreich» (AvF), een zeldzame neurodegeneratieve ziekte. De ziekte manifesteert zich meestal op jonge leeftijd en de verschijnselen worden geleidelijk ernstiger, gepaard met toenemende beperkingen. De heer D.M. geeft aan dat hij heeft meegedaan aan diverse klinische onderzoeken, tot nu echter zonder noemenswaardige effecten op zijn ziekte.

Er zijn helaas nog geen bewezen en goedgekeurde geneesmiddelen die AvF kunnen genezen of de progressie daarvan kunnen tegengaan. De huidige behandeling bestaat voornamelijk uit revalidatie, om de gevolgen van de ziekte zoveel mogelijk te beperken en de patiënt te ondersteunen bij het dagelijks functioneren.

Via publieke, private en industriegebaseerde internationale initiatieven is er al veel (geld) geïnvesteerd in onderzoek naar behandeling van AvF, tot nu toe helaas zonder succes. Ruim 21 geneesmiddelen(groepen) zijn en worden onderzocht als mogelijke behandeling van deze ziekte, waaronder ook Immukine[®]. De werkzame stof van Immukine[®] is interferon gamma 1b. Er is een wetenschappelijke publicatie over een kleine, kortdurende, ongecontroleerde studie met Immukine[®] die is uitgevoerd bij kinderen met AvF. De neurologische symptomen van de ziekte verminderden, maar het geneesmiddel had geen effect op de frataxinespiegel, de belangrijkste klinische maat om de ernst van de ziekteprogressie bij AvF te meten. Deze resultaten van dergelijke kleine studies betekenen niet dat Immukine[®] werkzaam is. Als behandeling van AvF is het geneesmiddel hier ook niet voor geregistreerd.

Immukine[®] is (zowel in Nederland als in andere landen) alleen geregistreerd voor verlaging van de frequentie van ernstige infecties bij chronische granulomateuze ziekte en voor ernstige, maligne osteoporosis.

Immukine[®] is opgenomen in het geneesmiddelenvergoedingensysteem gekoppeld aan de indicaties waarvoor het geregistreerd is. Aan vergoeding vanuit het basispakket zijn dan ook nadere voorwaarden verbonden. De voorwaarden luiden dat Immukine[®] uitsluitend wordt vergoed voor een verzekerde die:

- a. voor het geneesmiddel een medische indicatie heeft waarvoor het geneesmiddel krachtens de Geneesmiddelenwet is geregistreerd, of
- b. voor dat geneesmiddel een niet-geregistreerde indicatie heeft en lijdt aan een ziekte die in Nederland niet vaker voorkomt dan bij 1 op de 150.000 inwoners, de werkzaamheid van dat geneesmiddel bij die indicatie wetenschappelijk is onderbouwd en in Nederland voor die aandoening geen behandeling mogelijk is met enig ander voor die aandoening geregistreerd geneesmiddel.

«Ataxie van Friedreich» komt volgens epidemiologische gegevens in Nederland bij 1 op de 50.000 inwoners voor. Deze prevalentie is hoger, dat wil zeggen de ziekte komt vaker voor dan 1 op 150.000, de eis van de nadere voorwaarden die hierboven staan vermeld. Belangrijker nog is dat er, zoals hiervoor aangegeven, geen wetenschappelijk bewijs is voor de

werkzaamheid van Immukine® (interferon gamma 1b) bij «Ataxie van Friedreich».

Ik hoop u hiermee voldoende geïnformeerd te hebben.

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