

## Vragen gesteld door de leden der Kamer, met de daarop door de regering gegeven antwoorden

### 331

Vragen van de leden **Agema** en **Gerbrands** (beiden PVV) aan de Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport over *wel of geen deal met Vertex Pharmaceuticals inzake het geneesmiddel Orkambi* (ingezonden 17 oktober 2017).

Antwoord van Minister **Schippers** (Volksgezondheid, Welzijn en Sport) (ontvangen 27 oktober 2017).

#### Vraag 1

Deelt u de mening dat met het geneesmiddel Orkambi voor het eerst bij een erfelijke ziekte als Cystic Fibrosis (CF) de omslag gemaakt kan worden van symptoombestrijding naar oorzakelijke therapie?

#### Antwoord 1

Het klopt dat de werking van Orkambi gericht is op het opheffen van een verstoorde functionaliteit van de cel. Er is dus inderdaad sprake dat de behandeling zich richt op de oorzaak van de ziekte. Dit is niet de eerste keer, ook voor andere erfelijke ziekten bestaan geneesmiddelen die op de oorzaak zijn gericht. Voorbeelden daarvan zijn middelen voor hemofilie, ziekte van Gaucher, de ziekte van Hunter en hypofosfatasia.

#### Vraag 2

Hoe kan het dat u in uw eerste termijn tijdens het vragenuur stelde dat de prijs van Orkambi niet in verhouding staat tot de ontwikkelkosten en dat u daarna na een vraag van een collega-Kamerlid antwoordde dat u de ontwikkelkosten van Orkambi niet weet?<sup>1 2 3</sup>

#### Antwoord 2

Zoals ik in mijn eerste termijn van het debat al aangaf weten wij inderdaad niet of de prijs zich verhoudt tot de ontwikkelkosten. Ik heb aangegeven dat als Vertex kan aantonen dat de prijs zo hoog is vanwege de ontwikkelkosten dat natuurlijk verdisconteerd wordt in wat wij bereid zijn te betalen. Vertex heeft echter geen inzage gegeven in hun ontwikkelingskosten. Daarnaast heb

<sup>1</sup> Kamerstuk 29 477, nrs. 445 en 446

<sup>2</sup> Mondelinge Vragenuur d.d. 10 oktober 2017

<sup>3</sup> Eenvandaag, 11 oktober 2017

<https://eenvandaag.avrotros.nl/gezondheid/item/dure-medicatie-voor-taaislijmziekte-wordt-niet-vergoed/>

ik aangegeven dat de exorbitante hoge prijs zich niet verhoudt met wat de fabrikant er al mee verdient. Omdat Orkambi levenslang moet worden gebruikt is dat uit te rekenen. Verder in het debat heb ik gesteld dat volgens het Zorginstituut, en andere collega instituten de prijs niet in verhouding staat tot de effecten van het medicijn.

#### Vraag 3

Hoe kan het dat u doet alsof de werking van Orkambi een «betrekkelijk bescheiden effect» betreft, waar het een oordeel naar aanleiding van een subjectieve (welke criteria en wie stelt die?) kosten-baten analyse van het Zorginstituut betreft? Deelt u de mening dat dit misinformatie betreft omtrent de spectaculaire «lifechanger» die Orkambi voor CF-patiënten is?

#### Antwoord 3

Ik verwijs hiervoor naar het oordeel van het Zorginstituut Nederland over de therapeutische waarde van Orkambi en het advies dat zij aan mij heeft uitgebracht. Het Zorginstituut heeft dit advies gepubliceerd op haar website. Het Zorginstituut heeft Orkambi beoordeeld op beschikbare medisch-wetenschappelijke gegevens over de effecten van Orkambi. Die gegevens betreffen o.a. het effect op de longfunctie, de kwaliteit van leven, opvlammingen van de ziekte en het voorkomen van ziekenhuisbezoek. Er zijn over Orkambi door de fabrikant geen gegevens geleverd over andere effecten. Het Zorginstituut spreekt in haar adviezen over betrekkelijk bescheiden effecten van Orkambi. Er is sprake van enkele procenten verbetering van de longfunctie. De verbetering van de kwaliteit van leven komt bij de meeste patiënten niet boven de grens van klinische relevantie uit. Er is inderdaad sprake van een vermindering van het ziekenhuisbezoek.

Wat betreft de gunstige effecten op de longfunctie en op de kwaliteit van leven stelt het Zorginstituut op basis van studiegegevens van Orkambi dat deze na twee jaar weer wegzakken; er is volgens het Zorginstituut sprake van een tijdelijk effect.

Hoewel er geen gegevens beschikbaar zijn over het effect van Orkambi op de overleving, heeft het Zorginstituut bij de berekening van de kosteneffectiviteit (de kosten-batenanalyse waarnaar u refereert) wel rekening gehouden met de mogelijkheid dat er gunstige effecten op de overleving kunnen zijn. Dit is gebaseerd op extrapolaties waarbij wordt aangenomen dat het vertragen van de verslechtering van de longfunctie leidt tot een langere overleving. Het zorginstituut heeft dus met beduidend meer eindpunten rekening gehouden dan alleen de longfunctie.

#### Vraag 4

Het klopt toch dat u tijdens het vragenuur antwoordde: «Er komt een reeks aan medicijnen aan waarbij we voor hetzelfde dilemma staan»? Is dit de ware reden waarom u, terwijl Orkambi in december al twee jaar toegelaten is, nu uw poot stijf houdt?

#### Antwoord 4

In mijn brief aan de Tweede Kamer heb ik mijn beweegredenen bij dit besluit uiteengezet waaruit blijkt welk dilemma er voor ligt. Deze brief staat niet op zich zelf maar moet worden gelezen in het kader van mijn geneesmiddelenvisie (899467145972 – GMT). Het is niet verantwoord om de exorbitant hoge prijs voor Orkambi zomaar te honoreren. Als ik dat wel zou doen dan zou dit voor mij persoonlijk een gemakkelijker weg zijn. Tegelijkertijd zou dat ook een, in mijn ogen onhoudbare weg zijn omdat we kunnen verwachten dat steeds meer nieuwe innovatieve geneesmiddelen op de markt worden gebracht tegen exorbitante prijzen waarmee deze goede zorg onbereikbaar wordt voor patiënten of dat de financiering van andere zorg in het geding komt. Mijn besluit over Orkambi stond op zich zelf. Ik heb inmiddels met 23 fabrikanten eenzelfde traject doorlopen met succesvolle afloop. Het gaat hier niet om het stellen van een voorbeeld: de prijs en de macrokosten van Orkambi zijn buitengewoon hoog en staan volgens het Zorginstituut niet in verhouding met de effecten.

Vandaag heb ik alsnog een aanvaardbare prijs kunnen overeenkomen met de leverancier van Orkambi. Daarom heb ik vandaag besloten om Orkambi alsnog en per 1 november a.s. tot het basispakket toe te laten. Ik heb daarover uw Kamer zojuist geïnformeerd.

#### Vraag 5

Had u voor deze zeer ver strekkende politieke lijn niet gewoon de steun van een Kamermeerderheid moeten vragen? Welke Kamermeerderheid gaf u het recht een spectaculair levensreddend medicijn twee jaar lang te onthouden aan ernstig zieke kinderen en jongeren?

#### Antwoord 5

Als Minister neem ik besluiten over welke extramurale geneesmiddelen ik opneem in het Geneesmiddelenvergoedingssysteem (GVS) van het basispakket. De procedure om opgenomen te worden in het GVS is vastgelegd in het Besluit zorgverzekering en de Regeling zorgverzekering van de Zorgverzekeringswet. Een onderdeel van de procedure is dat het Zorginstituut mij adviseert over het betreffende geneesmiddel, zo ook bij Orkambi. Het Zorginstituut adviseert hierbij aan de hand van de pakketcriteria. Ik neem bij mijn besluit het advies van het Zorginstituut mee en tevens ook de uitkomsten van de onderhandelingen. Overigens zou ook een besluit om Orkambi wel in het pakket op te nemen ver strekkende gevolgen hebben, zie daarvoor mijn antwoord op vraag 4. Overigens heeft de termijn ook te maken met het uiterst moeizame onderhandelingstraject.

Voor de volledigheid wijs ik erop dat de eerste vergoedingsaanvraag van de fabrikant in februari 2016 is ingediend. Nadat het Zorginstituut vaststelde dat de onderbouwing van de kosteneffectiviteitsberekening door de fabrikant niet op orde was heeft de fabrikant in oktober 2016 een nieuwe aanvraag gedaan. Nadat het Zorginstituut op 15 december 2016 advies aan mij uitbracht zijn de onderhandelingen (samen met België) in februari 2017 gestart. Afgelopen mei volgde een negatief vergoedingbesluit in Nederland en België waarna ik in juli een nieuwe onderhandeling heb gestart. Ook heeft het Zorginstituut eind deze zomer op mijn verzoek nog eens de meest recente beschikbare onderzoeksgegevens over Orkambi bekeken en mij daarover geïnformeerd zoals ik u ook met mijn brief over het vergoedingsbesluit heb laten weten.

#### Vraag 6 en 7

Heeft u ook tientallen brieven van ouders van CF-patiënten gekregen? Wat doet het met u, dat ze door uw koppigheid ernstig ziek blijven en al twee jaar langer dan nodig geen betere kwaliteit van leven hebben?

Kreeg u de brief van een vader die een dochter van dertien verloor toen ze stikte in haar slaap in een tijd dat er nog geen medicijn was? Hoe denkt u dat al die ouders die nu elke nacht weer vrezen dat hun kind stikt, terwijl er nu wel een medicijn is, oordelen over uw weigering om dit te vergoeden?

#### Antwoord 6 en 7

Ja ik ontvang deze brieven ook en ik hoef u niet uit te leggen dat ik zeer begaan ben met deze ouders en mij hun situatie zeer aantrek. Ik ben dan ook zeer verheugd dat ik het middel alsnog tot het basispakket heb kunnen toelaten

#### Vraag 8

Al deze CF-patiënten zijn allemaal verplicht meeverzekerd voor de zorgverzekering en een arts schrijft dit middel voor, wie bent u of het Zorginstituut om dit te blokkeren?

#### Antwoord 8

Zie mijn antwoord op vraag 5. Per 1 november wordt Orkambi dus alsnog tot het pakket toegelaten.

#### Vraag 9 en 10

Hoe verantwoordt u aan CF-patiënten dat lotgenoten in Duitsland, Denemarken, Ierland, Amerika, etc. Orkambi wel krijgen?

Waarom vergoedde u niet eerst, net zoals uw Europese collega-ministers, het middel Orkambi en bent u daarna een robbertje gaan vechten met de fabrikant?

#### Antwoord 9 en 10

Het is onjuist dat alle collega EU ministers eerst vergoeden en dan onderhandelen. Orkambi is momenteel in zeven EU landen in het pakket, derhalve in 21 van de EU lidstaten niet. Bovendien ga ik niet over de beslissingen die

sommigen mijn collega ministers in andere landen nemen. Het inrichten van een zorgstelsel is een nationale aangelegenheid waarbij ieder land zijn eigen keuzes maakt ten aanzien van de betaalbaarheid en houdbaarheid van het zorgstelsel. Ik heb ervaren dat mijn collega's in diverse andere landen net zo goed worstelen met deze kwestie en dezelfde bezwaren en kritiek hebben wat betreft de hoge en niet onderbouwde prijs van Orkambi. Zo hebben in Ierland onderhandelingen tot twee keer toe niet tot een acceptabele uitkomst geleid en pas daarna wel.

Vraag 11

Waarom is uw reflex op dure geneesmiddelen (waarvan er kennelijk nog zoveel aankomen?) zo verschrikkelijk? Waarom bent u niet heel erg blij voor al die ernstig zieke mensen in ons land die weer hoop kunnen krijgen?

Antwoord 11

Zoals ik in mijn geneesmiddelenvisie ook heb gesteld is het geweldig nieuws dat er nieuwe geneesmiddelen beschikbaar komen voor kwetsbare en ernstig zieke mensen. Ik ben dan ook heel blij voor deze mensen. Daarom doe ik een uiterste inspanning om deze nieuwe geneesmiddelen zo veel mogelijk toe te laten tot het basispakket en bijna in alle gevallen tegen hogere kosten dan bestaande behandelingen, al dan niet na een prijsonderhandeling. Het is mijn verantwoordelijkheid om goede zorg betaalbaar en toegankelijk te houden voor mensen in Nederland. Daar handel ik naar en in de meeste gevallen met succes.

Vraag 12

Is het bod voor Orkambi met een bandbreedte tussen de 34 en 46 miljoen euro afhankelijk van het aantal patiënten afkomstig van het Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport of van de fabrikant?

Antwoord 12

Zoals ik in het vragenuur heb aangegeven betreft dit het laatste bod van het ministerie. Het gaat om een prijs/volume bod waarbij als 444 mensen Orkambi zouden gebruiken 34 miljoen euro en als alle patiënten Orkambi zouden gebruiken 46 miljoen euro zou zijn gemoeid.

Vraag 13

Hoelang lag dit bod al op de onderhandelingstafel? Kunt u dit aantonen?

Antwoord 13

Dit schriftelijk bod is uitgebracht op 1 september jl.

Vraag 14

Is dit bod, wat een prijsreductie betekent van 63%, voor beide partijen acceptabel? Zo ja, waarom is er dan toch geen overeenstemming over de vergoeding? Zo nee, waarom niet?

Antwoord 14

Zoals ik in het debat heb vermeld heeft de prijsreductie van 63% betrekking op het scenario dat er 750 patiënten behandeld zouden worden; in dat geval was ik bereid 46 miljoen euro per jaar te betalen. Het bedrag van 34 miljoen (een gemiddelde korting van 54%) euro heeft betrekking op het scenario dat 444 patiënten in behandeld zouden worden. Er was geen sluitende overeenstemming over deze bandbreedte en ook niet over onderliggende prijs/volume kortingen.

Vraag 15

Klopt het dat het Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport, nadat er overeenkomst was over het bod, met aanvullende voorwaarden is gekomen waaraan de fabrikant niet kan of wil voldoen? Zo ja, wat zijn die voorwaarden? Zo nee, waar zijn de onderhandelingen dan op afgehaakt?

Antwoord 15

Dit is niet juist. Zie ook mijn antwoorden op vraag 12 en 13.

#### Vraag 16

Hoe zag het «pay-for-performance» voorstel van de fabrikant er uit, welke rol speelde het Hubrecht Instituut hierbij en waarom heeft het Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport dit afgewezen? Is dit niet juist een voorbeeld van de samenwerking tussen patiënten, deskundigen en fabrikanten waar we met z'n allen naar streven?

#### Antwoord 16

Ik heb geen pay for performance voorstel ontvangen van de fabrikant. Ik sta open voor een dergelijke aanpak bij financiële arrangementen. Daarbij is het wel noodzakelijk dat tijdens de behandeling eenduidig vast gesteld kan worden dat een behandeling bij een patiënt aanslaat of niet. Dit is in de praktijk vaak lastig, ook bij CF. Ook is het zo dat een pay for performance afspraak niet per se een garantie geeft op redelijke of aanvaardbare macrokosten dan wel op een kosteneffectieve prijs. Overigens is zoals ik in het debat heb vermeld in mijn laatste voorstel een clausule opgenomen dat erin voorziet dat Vertex een wat hogere prijs dan mijn voorgestelde prijs gehonoreerd krijgt in het geval en vanaf het moment dat er een voorspelende diagnostische test (van Hubrecht) beschikbaar zou komen en alleen die patiënten behandeld zouden worden waarvan op basis van de test verwacht wordt dat die baat zouden hebben bij de behandeling. Het betreft een bonus van 10%.

#### Vraag 17

Herinnert u zich dat u in het mondelinge vragenuur van dinsdag 10 oktober 2017 benadrukte dat Orkambi niet geschikt is voor kleine kinderen maar alleen voor kinderen vanaf 12 jaar? Het is toch zo dat er een Europese registratie voor kinderen van 6–11 jaar ligt, in navolging van de Verenigde Staten waar Orkambi al voor deze kinderen beschikbaar is. Wanneer verwacht u dat deze Europese registratie goedgekeurd wordt en verandert dit iets aan uw beoordeling?

#### Antwoord 17

Op dit moment is er sprake van een lopende Europese registratieaanvraag voor de behandeling van kinderen van 6 – 11 jaar. Eventuele goedkeuring van deze indicatie wordt verwacht in de eerste helft van 2018. Zodra deze registratie een feit is zal bij een nieuwe vergoedingsaanvraag door de fabrikant het Zorginstituut mij adviseren over de vergoeding ervan via het basispakket.

#### Vraag 18

Deelt u de mening dat voor de beoordeling van de kosteneffectiviteit van een geneesmiddel structureel patiënten en behandelaars moeten worden betrokken? Zo ja, waarom is dat niet gebeurd bij Orkambi? Zo nee, waarom niet?

#### Antwoord 18

Het Zorginstituut berekent de kosteneffectiviteit als de balans tussen alle kosten van het middel en alle opbrengsten van het middel, afgezet tegen de effecten op de gezondheid van de patiënten. Die opbrengsten omvatten bijvoorbeeld ook de financiële baten van (gedeeltelijke) terugkeer naar werk. In klinische studies kunnen patiënten zelf aangeven in hoeverre hun kwaliteit van leven verbetert. Bij de gezondheidseffecten weegt het Zorginstituut ook deze verbeteringen in de kwaliteit van leven mee. Op dit punt is de inbreng van patiënten dan ook structureel geregeld. Dit is ook het geval geweest bij de beoordeling door het Zorginstituut van Orkambi.

Behandelaars zijn uiteraard betrokken bij de klinische studies waarop het Zorginstituut zijn berekeningen baseert. In de aanpak van het Zorginstituut worden behandelaren en patiënten ook actief betrokken. Enerzijds omdat zij bij iedere wetenschappelijke beoordeling van het Zorginstituut geconsulteerd worden en anderzijds om dat deze betrokkenen ook ruimte krijgen voor inbreng en inspraak in de maatschappelijke toetsing door de Adviescommissie Pakket (ACP). In het geval van Orkambi heeft de Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting daar ook gebruik van gemaakt.

Vraag 19

Waarom spreekt het Zorginstituut Nederland over slechts enkele percentages verbetering van de longfunctie, terwijl het in werkelijkheid gaat om een aanzienlijke verbetering van de levensverwachting en de kwaliteit van leven voor kinderen van wellicht tientallen jaren?

Antwoord 19

Volgens het Zorginstituut berusten alle uitspraken over langer leven door Orkambi op extrapolaties. Er zijn nog geen gegevens die onderbouwen dat gebruik van Orkambi leidt tot een verlengd leven. Er wordt dan aangenomen dat een gunstig effect op de longfunctie (dan wel een vertraagde verslechtering van de longfunctie) een indicatie is voor een langere overleving. Deze aanname heeft het Zorginstituut wel degelijk meegenomen in haar analyse van de kosteneffectiviteit van Orkambi.

Vraag 20

Wanneer verloopt het patent op Orkambi en welke prijsreductie treedt er gemiddeld op nadat een patent op een duur geneesmiddel verloopt?

Antwoord 20

De exacte datum van het patentverloop is mij niet bekend. Uit het vergoedingsaanvraag van de fabrikant kan worden afgeleid dat er nog vele jaren sprake zal zijn van een unieke marktpositie voor Orkambi. Kortingen bij patentverloop over generieke alternatieven voor biologische geneesmiddelen (biosmilars) zullen per product verschillen en zijn niet openbaar. Bij de zogenaamde chemische generieke geneesmiddelen daalt de prijs vaak aanzienlijk (met wel 80–90%).

Vraag 21

Kunt u uitleggen waarom u zich juist bij dit geneesmiddel zo hard opstelt terwijl andere dure geneesmiddelen zonder veel discussie zijn vergoed?

Antwoord 21

Zie mijn antwoorden op vragen 3 en 4. Ik heb me bij dit geneesmiddel niet anders op dan bij andere geneesmiddelen.

Vraag 22

Wat is uw finale beoordeling van de gevoerde onderhandeltactiek, waarbij veel patiënten langdurig en onnodig medicatie is onthouden? Ging het hier om een politieke of om een inhoudelijke beslissing?

Antwoord 22

Zie mijn antwoord op vraag 4.

Vraag 23

Bent u bereid deze vragen te beantwoorden voor uw vertrek of schuift u dit liever door naar de volgende Minister(s) van Volksgezondheid, Welzijn en Sport?

Antwoord 23

Bijgaand treft u mijn antwoorden aan.