

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

### 1626

Vragen van het lid **Kooiman** (SP) aan de Minister voor Medische Zorg over *het bericht dat medicatie voor botontkalking van de markt is gehaald terwijl het patiënten met Pseudo Xanthoma Elasticum (PXE) nieuwe hoop geeft* (ingezonden 16 maart 2018).

Antwoord van Minister **Bruins** (Medische Zorg) (ontvangen 30 maart 2018)

#### Vraag 1

Wat vindt u ervan dat een bestaand medicijn tegen botontkalking, dat werkzaam is gebleken bij het remmen van de ziekte PXE, in Nederland van de markt is gehaald?<sup>1</sup>

#### Antwoord 1

Zoals ik ook heb geantwoord in de Kamervragen van mevrouw Dijkma, was het geneesmiddel etidronaat geregistreerd voor botgerelateerde aandoeningen, zoals osteoporose. Op het moment dat een handelsvergunninghouder een verzoek tot intrekking van de handelsvergunning bij het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG) indient, bekijkt het CBG of dit problemen zal opleveren voor patiënten. Het CBG overlegt met artsen en apothekers uit het eigen netwerk. Daarbij kijkt het CBG niet alleen naar geregistreerde indicaties maar ook naar ander gebruik. Als uit het netwerk van het CBG blijkt dat een geneesmiddel een belangrijke plek inneemt in een niet geregistreerde indicatie (off-label gebruik), dan neemt het CBG dat ook mee en onderzoekt het CBG welke mogelijkheden er zijn om het geneesmiddel voor de Nederlandse markt te behouden. Dit doet het CBG ook in overleg met de handelsvergunninghouder.

Op het moment dat de handelsvergunningen voor de etidronaat bevattende geneesmiddelen werden ingetrokken, was in het netwerk van het CBG niet bekend dat deze geneesmiddelen mogelijk veelbelovend zijn voor patiënten met pseudoxanthoma elasticum (PXE). Het CBG heeft beoordeeld dat er voor de botgerelateerde aandoeningen voldoende alternatieven beschikbaar zijn. Het CBG heeft het off-label gebruik in patiënten met PXE niet kunnen meenemen in de afweging van het patiëntenbelang. Ik betreur dat het zo is gelopen.

<sup>1</sup> <https://www.volkskrant.nl/wetenschap/wat-als-medicatie-die-in-nederland-op-papier-niet-meer-bestaat-toch-uitkomst-biedt~a4579207/>

#### Vraag 2, 3, 4 en 9

Hoe kan het dat PXE-patiënten die deelnamen aan het onderzoek wel toegang hadden tot het medicijn, maar nu de werking bewezen is het medicijn niet meer mag worden voorgeschreven?

Deelt u de mening dat het vreemd is dat apothekers het middel kunnen bereiden, maar artsen het middel niet meer mogen voorschrijven, omdat het niet langer geregistreerd staat in Nederland?<sup>2</sup>

Staat het middel nog wel geregistreerd bij de European Medicines Agency (EMA) en is het in andere Europese landen nog op de markt?

Wat zijn volgens u de mogelijkheden om het desbetreffende geneesmiddel zo snel mogelijk beschikbaar te stellen voor PXE-patiënten?

#### Antwoord 2, 3, 4 en 9

De afname in de vragen 2 en 3 is niet juist, etidronaat mag nog wel worden voorgeschreven. Een arts is voor de behandeling van een patiënt niet beperkt tot de in Nederland beschikbare en geregistreerde geneesmiddelen. Als een arts vindt dat de behandeling van een patiënt niet mogelijk is met in Nederland beschikbare geneesmiddelen, kan een arts een geneesmiddel uit het buitenland importeren. De Inspectie Gezondheidszorg en Jeugd i.o. (IGJ i.o.) moet toestemming geven voor een dergelijke levering van een geneesmiddel op artsenverklaring.

Etidronaat bevattende geneesmiddelen zijn niet geregistreerd middels een centrale procedure bij de European Medicines Agency (EMA). Er zijn nog wel etidronaat bevattende geneesmiddelen geregistreerd in Griekenland, Spanje en Duitsland. Deze kunnen geïmporteerd worden middels een artsenverklaring (art. 3.17 Regeling Geneesmiddelenwet). Ik weet dat de onderzoekers van het UMCU een dergelijke aanvraag hebben ingediend bij de IGJ.

#### Vraag 5 en 8

Wat vindt u ervan dat de Inspectie Gezondheidszorg en Jeugd i.o. en het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen laten weten dat de aanvraag voor een nieuwe registratie jaren kan duren en veel geld kost?<sup>3</sup>

Is het mogelijk om een verkort traject van toepassing te laten zijn, aangezien er reeds 40 jaar ervaring is met het geneesmiddel?

#### Antwoord 5 en 8

De ontwikkeling van een geneesmiddel is een proces dat in duur kan variëren van één tot meer dan tien jaren. Er moeten voldoende data beschikbaar komen om de kwaliteit, werkzaamheid en veiligheid van het geneesmiddel te waarborgen voordat een handelsvergunning wordt verleend. De ontwikkelingsduur hangt af van het feit hoeveel data al beschikbaar zijn. Omdat het hier gaat om een bekende stof, zal de ontwikkeling van etidronaat voor de behandeling van PXE sneller kunnen gaan dan de ontwikkeling van een hele nieuwe stof.

Voor het registratieproces (de beoordeling door de registratieautoriteiten) is een versneld registratieproces mogelijk, waarin de beoordelingsstijd wordt verkort van 210 dagen tot 150 dagen. Deze perioden van 210 dagen of 150 dagen zijn de termijnen zonder klokstops. Een klokstop is een stopmoment in het beoordelingsproces waarbij de firma de tijd heeft om vragen van geneesmiddelenautoriteiten te beantwoorden. In een beoordelingsproces zijn veelal twee klokstops, waarbij de firma binnen 90 dagen de antwoorden moeten indienen. De totale periode wordt dus met maximaal 180 dagen verlengd. Een registratieprocedure neemt minimaal een jaar in beslag.

#### Vraag 6

Acht u het waarschijnlijk dat een nieuw registratietraject – inclusief vereist onderzoek – haalbaar is, gezien het feit dat PXE een zeldzame ziekte is en het aantal patiënten voor een fabrikant te gering is om geld in te investeren?

<sup>2</sup> <https://www.volkskrant.nl/wetenschap/wat-als-medicatie-die-in-nederland-op-papier-niet-meer-bestaat-toch-uitkomst-biedt~a4579207/>

<sup>3</sup> <https://www.volkskrant.nl/wetenschap/wat-als-medicatie-die-in-nederland-op-papier-niet-meer-bestaat-toch-uitkomst-biedt~a4579207/>

#### Antwoord 6

Ik kan niet inschatten of een nieuw registratietraject voor etidronaat voor de indicatie PXE haalbaar is. Er zijn diverse initiatieven om de ontwikkeling van geneesmiddelen voor zeldzame ziekten (de zgn. weesgeneesmiddelen) te stimuleren. Dit bestaat o.a. uit advies tijdens de ontwikkeling van een geneesmiddel, toegang tot de centrale registratieprocedure bij de EMA, en verlaagde tarieven voor het wetenschappelijk advies en de aanvraag voor de handelsvergunning.

Er is overleg geweest tussen VWS en de onderzoekers uit het artikel. Tijdens dit overleg werd duidelijk dat de onderzoekers door enkele partijen benaderd zijn om te overleggen hoe etidronaat voor deze nieuwe indicatie verder kan worden ontwikkeld.

#### Vraag 7

Hoe lang duurt een nieuwe registratietraject voor etidronaat?

#### Antwoord 7

De daadwerkelijke duur van het registratietraject voor een specifiek geneesmiddel kan ik vooraf niet inschatten. Dit hangt af van de beschikbare data in het registratiedossier, de kwaliteit van die gegevens en de vragen die tijdens de beoordeling door de registratieautoriteiten worden gesteld.

#### Vraag 10

Bent u bereid om u in te zetten voor het opnieuw op de markt brengen van het genoemde medicijn tegen botontkalking? Zo ja, hoe gaat u dit doen? Zo neen, waarom gaat u dit niet doen?

#### Antwoord 10

Zoals ik heb geantwoord in de Kamervragen van mevrouw Dijkma, is er overleg geweest tussen het Ministerie van VWS en de onderzoekers uit het artikel. Tijdens dit overleg werd duidelijk dat de onderzoekers benaderd zijn door meerdere firma's die dit geneesmiddel in Nederland op de markt willen brengen. Op dit moment acht ik het daarom niet nodig dat ikzelf ook in overleg treed met de farmaceutische bedrijven.

<https://www.volkskrant.nl/wetenschap/wat-als-medicatie-die-in-nederland-op-papier-niet-meer-bestaat-toch-uitkomst-biedt~a4579207/>

#### **Toelichting:**

Deze vragen dienen ter aanvulling op eerdere vragen terzake van het lid Dijkma (PvdA), ingezonden 13 maart 2018 (vraagnummer 2018Z04609)