

Vergaderjaar 2017–2018

29 477

Geneesmiddelenbeleid

Nr. 512

BRIEF VAN DE MINISTER VOOR MEDISCHE ZORG

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 11 juli 2018

In deze brief wil ik uw Kamer informeren over mijn vergoedingsbesluit ten aanzien van het geneesmiddel nusinersen (merknaam: Spinraza), waarover ik vanaf februari 2018 samen met België heb onderhandeld in het kader van de BeNeLuxA samenwerking.

Opname in het basispakket per 1 augustus

Hierbij informeer ik u dat de gezamenlijke onderhandeling met goed gevolg is afgerond. Dit betekent dat nusinersen per 1 augustus 2018 tegen aanvaardbare kosten kan worden toegelaten tot het basispakket voor drie groepen jonge kinderen met spinale musculaire atrofie (SMA) waarvoor het geneesmiddel volgens het Zorginstituut Nederland (hierna Zorginstituut) effectief is.¹

Voorwaardelijke toelating van nusinersen

Helaas vallen lang niet alle SMA patiënten in de groepen waarover het Zorginstituut een positief oordeel heeft gegeven over de effectiviteit. Omdat er bij deze oudere kinderen en (jong)volwassenen volgens het Zorginstituut geen sprake is van bewezen effectieve zorg, wordt nusinersen voor deze patiënten niet in het basispakket opgenomen. Om toch deze patiënten perspectief te kunnen geven op behandeling én de effectiviteit van nusinersen vast te kunnen stellen vraag ik de leverancier en de onderzoekers om zo spoedig als mogelijk een onderzoeksvoorstel in te dienen voor de regeling voor voorwaardelijke toelating. Via deze

¹ De drie groepen waarvoor nusinersen door het Zorginstituut effectief is bevonden:

- SMA met de eerste symptomen op zuigelingenleeftijd (jonger dan 6 maanden) met een ziekte duur korter dan 26 weken bij de start van de behandeling.
- SMA met de eerste symptomen op latere leeftijd (van 6 tot 20 maanden) bij kinderen met een ziekte duur korter dan 94 maanden bij de start van de behandeling.
- presymptomatische zuigelingen met een genetische diagnose van 5q spinale spieratrofie en met 2 of 3 SMN2-kopieën

regeling kunnen veelbelovende behandelingen tijdelijk worden toegelaten tot het basispakket, onder de voorwaarde dat in deze periode de vereiste onderzoeksgegevens worden verzameld om de therapeutische meerwaarde en de (kosten)effectiviteit van de behandeling aan te tonen ten opzichte van de standaardbehandeling voor deze groep patiënten. Na afloop van het onderzoek kan het Zorginstituut bepalen of de behandeling bewezen effectief is en of deze daarmee blijvend tot het basispakket behoort, of niet.

Ik vraag het Zorginstituut mij te adviseren of – op basis van het nog te ontwikkelen onderzoeksvoorstel van partijen – een dergelijk traject wenselijk en mogelijk is binnen de vereisten van de voorwaardelijke toelating. Het is in dit stadium nog niet mogelijk om te bepalen of nusinersen in aanmerking komt voor een traject voor voorwaardelijke toelating, hiervoor dient het onderzoeksvoorstel te voldoen aan diverse criteria.

Bij een traject van voorwaardelijke toelating maken behandelaren, patiëntenorganisaties en de leverancier gezamenlijk afspraken over het doel en de uitvoering van het onderzoek, die vervolgens aan het Zorginstituut worden voorgelegd ter beoordeling of de behandeling in aanmerking kan komen voor de voorwaardelijke toelating. In de onderhandeling met de leverancier van nusinersen heb ik overeenstemming bereikt over zijn bereidheid mee te werken aan dit traject van voorwaardelijke toelating, indien het zover komt dat het onderzoeksvoorstel in aanmerking komt voor deze regeling. Ook heb ik overeenstemming bereikt over een maximering van de kosten van nusinersen gedurende het onderzoek dat mogelijk uitgevoerd wordt in het kader van dit eventuele traject. Om zo snel mogelijk duidelijkheid te kunnen geven aan de patiënten is het noodzakelijk dat het Zorginstituut het onderzoeksvoorstel voor het einde van het jaar ontvangt. Pas na een eventuele positieve beoordeling van het onderzoeksvoorstel door het Zorginstituut zal ik besluiten of nusinersen voor deze patiënten al dan niet beschikbaar kan komen.

Beoordeling van nusinersen en onderhandeling

Nusinersen is voor de behandeling van SMA sinds mei 2017 in de pakketsluis geplaatst. Op 30 mei werd nusinersen tot de Europese markt toegelaten. De beoordeling door het Zorginstituut kon in oktober 2017 beginnen nadat alle benodigde informatie was aangeleverd door de leverancier.

De leverancier van nusinersen stelde het geneesmiddel reeds beschikbaar aan het UMC Utrecht voor de behandeling van 22 kinderen met SMA type 1, de meest ernstige vorm van de ziekte. In mijn brief van 11 december 2017² informeerde ik uw Kamer over de afspraken die ik heb gemaakt met de leverancier om, ter overbrugging van de sluisperiode, ook de toegang mogelijk te maken voor kinderen met SMA type 2 en 3a. De inspanningen van de leverancier en het SMA expertisecentrum van het UMC Utrecht hebben ertoe geleid dat 28 jonge kinderen met een dringende behandelbehoefte tijdens de sluisperiode konden starten met de behandeling. In totaal worden inmiddels 50 kinderen behandeld met nusinersen.

Op 5 februari 2018 heeft het Zorginstituut mij geadviseerd om nusinersen te vergoeden voor de behandeling van de kinderen met SMA waarvoor de effectiviteit kon worden vastgesteld, mits door prijsonderhandelingen de kosteneffectiviteit kon worden verbeterd en de impact op het zorgbudget

² Kamerstuk 29 477, nr. 457

kon worden gereduceerd. Voor de patiënten waarvoor de effectiviteit niet kon worden vastgesteld en het geneesmiddel niet voldoet aan de «stand van wetenschap en praktijk», adviseerde het Zorginstituut mij om, buiten het verzekerde pakket om, afspraken te maken met de leverancier over verder onderzoek.

De gezamenlijke onderhandelingen in België en Nederland hebben er nu toe geleid dat nusinersen voor patiënten in beide landen op korte termijn beschikbaar komt. Onderdeel van het financieel arrangement met de leverancier is dat over de inhoud van de financiële afspraken geen verdere uitspraken kunnen worden gedaan. Wel kan ik aan u melden dat er afspraken gemaakt zijn tot 2021.

Overweging

Ik ben mij er van bewust dat voor patiënten en families van patiënten waarvoor nusinersen niet per 1 augustus 2018 wordt vergoed, dit een teleurstellende uitkomst is. In het bijzonder omdat in omliggende landen soms een andere afweging wordt gemaakt. Ik licht mijn afweging daarom graag verder toe. Ik acht het niet wenselijk om een uitermate duur geneesmiddel als nusinersen tot het basispakket toe te laten als niet door het Zorginstituut is vastgesteld dat het effectieve zorg is. Een belangrijke wettelijke eis die wordt gesteld aan zorg in het basispakket is dat deze bewezen effectief is. Door alleen effectieve zorg van hoge kwaliteit te vergoeden, bewaken we de solidariteit binnen de verzekerde zorg. Indien ik dure geneesmiddelen waarbij dit niet is vastgesteld toelaat tot het basispakket, leidt dit zonder meer tot de verdringing van effectieve en doelmatige zorg. Daarmee gaat dit ten koste van andere patiënten en zorg. Wel wil ik dus in het belang van deze patiënten inzetten op het verkennen van de mogelijkheden van een traject van voorwaardelijke toelating, mits de afspraken en het onderzoek van partijen en oordeel daarover door het Zorginstituut dit traject toelaten binnen de kaders van voorwaardelijke toelating.

Concluderend zal nusinersen per 1 augustus 2018, voorlopig tot 1 januari 2021, worden toegelaten tot het basispakket voor de drie groepen kinderen waarvoor het middel effectief is bevonden door het Zorginstituut. Voor de patiënten die niet vallen in deze drie groepen informeer ik uw Kamer zodra er relevante ontwikkelingen zijn in het voorbereidings-traject naar een eventuele voorwaardelijke toelating.

De Minister voor Medische Zorg,
B.J. Bruins