

Vergaderjaar 2022–2023

**29 477**

**Geneesmiddelenbeleid**

**Nr. 796**

**BRIEF VAN DE MINISTER VAN VOLKSGEZONDHEID, WELZIJN EN SPORT**

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 16 januari 2023

In uw brief van 10 november 2022 vraagt u mij om een reactie op de petitie «Geef ALS patiënten het recht om medicijnen te proberen!».

De indieners van de petitie vragen aandacht voor het zo snel mogelijk kunnen beschikken over potentieel waardevolle geneesmiddelen voor de behandeling van amyotrofe laterale sclerose (ALS) ziekte, liefst nog voordat geneesmiddelen in Europa zijn geregistreerd. In deze brief ga ik in op het pleidooi uit de petitie.

ALS is een progressieve neurologische aandoening met een gemiddelde levensverwachting van circa vijf jaar na het ontstaan van de eerste tekenen. Voor de ziekte is helaas nog geen goede behandeling mogelijk. Ik heb veel begrip voor het verlangen van patiënten en hun naasten om toegang te krijgen tot behandelingen, hoe onzeker en in welk vroeg stadium van ontwikkeling dan ook.

Het ontwikkelen en op de markt brengen van een werkend geneesmiddel is een langdurig proces met grote belangen voor fabrikanten, premiebetalers en bovenal patiënten. Tijd die ALS patiënten vaak niet hebben.

Daarom vind ik het belangrijk om waar dit binnen wet- en regelgeving mogelijk is waardevolle geneesmiddelen in het algemeen, maar voor patiënten in een ernstige situatie in het bijzonder, zo snel mogelijk toegankelijk te maken.

Daarbij gelden in Nederland enkele belangrijke randvoorwaarden die voortkomen uit wet- en regelgeving. Om geneesmiddelen voor patiënten breed beschikbaar te maken, moet er enige duidelijkheid zijn over veiligheid en effectiviteit, de plaats in de behandeling en de kosteneffectiviteit. Alleen dan is in de handel brengen en vergoeding op grond van de Zorgverzekeringswet mogelijk.

De petitie roept allereerst op om geneesmiddelen die ontwikkeld worden en waarbij de eerste onderzoeksresultaten positief zijn, ondanks de afwezigheid van een markttoelating door het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA), beschikbaar te stellen voor patiënten.

Voor geneesmiddelen geldt dat zij alleen verhandeld mogen worden wanneer er sprake is van een markttoelating. Daarop geldt voor schrijvende gevallen wel een uitzondering. Als het gaat om een ernstige aandoening waarvoor geen alternatief geneesmiddel op de markt is en het nog niet geregistreerde geneesmiddel in de toekomst een handelsvergunning zou kunnen worden verleend, zijn er twee mogelijkheden:

1. Een behandelend arts kan een zogeheten artsenverklaring bij de Inspectie Gezondheidszorg en Jeugd (IGJ) indienen.<sup>1</sup>  
Dit maakt het mogelijk om niet in Nederland geregistreerde geneesmiddelen voor individuele patiënten voor te schrijven.
2. De fabrikant van een geneesmiddel kan een verzoek bij het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG) indienen om in aanmerking te komen voor het «gebruik in schrijvende gevallen» oftewel het «compassionate use programma»<sup>2</sup>.  
Dit maakt het mogelijk om een nog niet geregistreerd geneesmiddel dat wel in de toekomst een handelsvergunning zou kunnen worden verleend, te verstrekken aan individuele patiënten.

Daarmee kunnen geneesmiddelen ook al in de onderzoeksfase worden toegediend aan ALS-patiënten. De vergoeding van deze geneesmiddelen kan echter niet plaatsvinden op grond van de Zorgverzekeringswet, omdat zij noch geregistreerd zijn, noch in dit stadium beoordeeld kunnen worden op therapeutische meerwaarde en kosteneffectiviteit.

Ten tweede roept de petitie op om bij de EMA te pleiten voor het al tijdelijk goedkeuren van ALS-medicatie op grond van fase-2 studies, opdat patiënten al vooruitlopend op fase 3-studies toegang kunnen krijgen tot geneesmiddelen.

Hoewel ik de behoefte aan een snelle goedkeuring erg goed begrijp, vind ik het ook belangrijk dat er enige duidelijkheid over de baten-risicobalans en de waarde voor de patiënt is op het moment dat de handelsvergunning wordt verstrekt. Zoals ik het hierboven heb aangegeven, bestaan er routes om al voorafgaand aan EMA-registratie toegang te verlenen tot in ontwikkeling zijnde geneesmiddelen.

Daarnaast zijn er bij de EMA diverse routes die tot een versnelde toelating van belangrijke geneesmiddelen kunnen leiden.

Voor geneesmiddelen die belangrijk zijn voor de publieke gezondheid, in het bijzonder bij een grote therapeutische innovatie, bestaat «accelerated access», een versnelde beoordelingsprocedure<sup>3</sup>. Ook kent de EMA een conditionele markttoelatingsroute, de «conditional approval». Dit is specifiek bedoeld voor (wees-)geneesmiddelen die een grote onvervulde medische noodzaak kunnen dienen. De EMA keurt deze dan op minder data voorlopig goed. In voorkomende gevallen komt dit neer op een voorlopige markttoelating op grond van fase 2-data.

Hoewel ik van mening ben dat deze routes voldoende ruimte bieden voor een snelle beoordeling, blijf ik in internationaal verband streven naar korte

<sup>1</sup> Leveren op artsenverklaring | Geneesmiddelen | Inspectie Gezondheidszorg en Jeugd (igj.nl).

<sup>2</sup> Compassionate use programma | College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (cbg-meb.nl).

<sup>3</sup> Accelerated assessment | European Medicines Agency (europa.eu).

markttoelatingsprocedures in gevallen waar dit essentieel is voor patiënten.

Ten derde pleit de petitie voor het direct beschikbaar stellen en vergoeden van ALS geneesmiddelen zodra zij de «weesgeneesmiddelstatus» toegekend krijgen door de EMA.

Ik veronderstel dat het hier gaat om de situatie die ontstaat zodra een weesgeneesmiddel door de EMA wordt geregistreerd en daarmee ook in Nederland kan worden verhandeld. Daarmee zijn geneesmiddelen direct beschikbaar voor patiënten, maar in bepaalde gevallen nog niet vergoed.

In het belang van de Nederlandse patiënt en premiebetaler moeten we goed bezien of nieuwe dure geneesmiddelen effectief zijn en in hoeverre de kosten ervan acceptabel zijn. Dit kan ook betekenen dat een onderhandeling over de prijs van een geneesmiddel noodzakelijk is. Dat neemt niet weg dat deze procedures zo efficiënt en kort mogelijk moeten zijn.

Het CBG en het Zorginstituut bieden de mogelijkheid om al tijdens de markttoelatingsfase ook een parallelle beoordeling van de therapeutische meerwaarde en kosteneffectiviteit uit te voeren. Dat kan het proces sterk versnellen. Bij het beoordelen van een weesgeneesmiddel houdt het Zorginstituut in de praktijk ook rekening met de bijzondere omstandigheden en de vaak beperkte voorhanden data.

In die gevallen waarin geneesmiddelen voldoen aan de zogeheten sluiscriteria, is een financieel arrangement aangewezen. Gedurende die periode vindt weliswaar nog geen bekostiging op grond van de Zorgverzekeringswet plaats, maar kunnen fabrikanten de kosten voor de behandeling van patiënten op zich nemen. Fabrikanten nemen deze verantwoordelijkheid in mijn ervaring ook.

We hebben de plicht om patiënten zo snel mogelijk duidelijkheid te geven over de vergoeding van een nieuw geneesmiddel. Het is de verantwoordelijkheid van alle partijen, waaronder het Ministerie van VWS en de fabrikant om daarbij oog te houden voor de ernst van de aandoening waarvoor een geneesmiddel is ontwikkeld. Ik ben van mening dat ons systeem voldoende mogelijkheden biedt om ook ALS-patiënten snel duidelijkheid en toegang te geven tot waardevolle geneesmiddelen. Wel blijf ik werken aan het verbeteren van de doorlooptijden van onze beoordelingsprocedures. Om goed zicht te houden op de doorlooptijd van dure geneesmiddelen, kom ik later dit jaar met een dashboard voor de doorlooptijden van (sluis-)geneesmiddelen.

Tot slot roept de petitie op tot verkorte beoordelingsprocedures voor potentiële ALS medicatie met gelijke beoordelingscriteria tussen de EMA en de Amerikaanse Food and Drug Administration (FDA).

Er is structureel overleg tussen marktautoriteiten EMA en de FDA over een groot aantal onderwerpen<sup>4</sup> <sup>5</sup>. Fabrikanten kunnen bij beide instanties al in een vroeg stadium gebruik maken van gezamenlijk wetenschappelijk advies. Dat helpt bij het voorbereiden op de beoordelingsprocedures. De dossiervereisten van de EMA en de FDA zijn in veel gevallen identiek en er vindt actief overleg plaats over beoordelingsprocedures van bepaalde individuele geneesmiddelen. De uitkomsten van de beoordelingsproce-

<sup>4</sup> Are the European Medicines Agency, US Food and Drug Administration, and Other International Regulators Talking to Each Other? – PubMed (nih.gov).

<sup>5</sup> European Commission, EMA and FDA agree new priorities to strengthen their collaboration on medicines | European Medicines Agency (europa.eu).

dures zijn dan ook over het algemeen vergelijkbaar<sup>6</sup>. Ondanks vergelijkbare criteria zijn er in enkele gevallen interpretatieverschillen over de effectiviteit van geneesmiddelen, of leveren fabrikanten verschillende data aan, waardoor de uitkomst van een markttoelatingsprocedure afwijkt. Het is niet altijd mogelijk om deze verschillen te voorkomen.

Wel zal ik het CBG vragen om waar dit zinvol en voor de patiënt waardevol is, in EMA-verband te blijven pleiten voor goede afstemming van wereldwijd gehanteerde markttoelatingsprocedures en -criteria.

De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,  
E.J. Kuipers

---

<sup>6</sup> EMA/FDA analysis shows high degree of alignment in marketing application decisions between EU and US | European Medicines Agency (europa.eu).