

Vergaderjaar 2023–2024

29 477

Geneesmiddelenbeleid

Nr. 904

BRIEF VAN DE MINISTER VAN VOLKSGEZONDHEID, WELZIJN EN SPORT

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 3 september 2024

Hierbij stuur ik u de voortgangsrapportage over het jaar 2023 van de voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals die het Zorginstituut Nederland (hierna: Zorginstituut) mij op 23 mei 2024 heeft gestuurd (zie bijlage 1).

De procedure voor voorwaardelijke toelating van weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals* (hierna: VT) is in oktober 2019 door het Zorginstituut en het Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport opgesteld en geïntroduceerd. Dit is de tweede voortgangsrapportage. De voortgangsrapportage over het jaar 2022 is op 1 september 2023 met uw Kamer gedeeld¹.

Patiënten met een vaak ernstige zeldzame ziekte waarvoor nog geen goede behandeling is, kunnen middels deze procedure onder voorwaarden in aanmerking komen voor vergoeding van veelbelovende geneesmiddelen, die vanwege onvoldoende bewijs nog niet voldoen aan de stand van de wetenschap en praktijk.

Eén van de voorwaarden is dat het geneesmiddel is geregistreerd door het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA), met de status van weesgeneesmiddel, *conditional* of *exceptional*. Nadat voldoende bewijs is verzameld om een oordeel te kunnen vormen over de effectiviteit van het geneesmiddel maakt het middel definitief wel of geen onderdeel uit van het basispakket.

Eén keer per jaar wordt er per VT-traject door de onderzoeksgroep en/of de fabrikant een bijeenkomst georganiseerd om de voortgang en relevante tussentijdse bevindingen van het VT-traject te bespreken met alle betrokken partijen. Naar aanleiding van dit jaarlijkse monitoringsmoment beoordeelt het Zorginstituut de voortgang op basis van onder

¹ Kamerstuk 29 477, nr. 851.

meer de patiëntinclusie en haalbaarheid van het onderzoekstraject. Hierover brengt het Zorginstituut een voortgangsrapport uit, waarin ook wordt geadviseerd over eventuele aanpassing of beëindiging van het VT-traject.

De voortgangsrapportage over het jaar 2023 treft u in de bijlage. De belangrijkste bevindingen daaruit benoem ik kort hieronder.

Sinds 2021 zijn de eerste drie VT-trajecten gestart voor vier geneesmiddelen:

- entrectinib (Rozlytrek) en larotrectinib (Vitrakvi)
- recombinant humaan parathyroïd hormoon 1–84 (rhPTH 1–84) (Natpar)
- ataluren (Translarna)

Vitrakvi en Rozlytrek

Het VT traject voor Vitrakvi en Rozlytrek is succesvol afgerond in 2023. Beide geneesmiddelen worden sinds 1 september 2023 vergoed uit het basispakket van de zorgverzekering.

Natpar

Het Zorginstituut heeft eerder geadviseerd om het VT-traject van Natpar voortijdig te beëindigen vanwege een productiestop². Mijn voorganger heeft dit advies opgevolgd en de VT per 1 mei 2024 beëindigd. Behandelaren en patiënten hebben voldoende extra tijd gekregen om over te stappen naar een alternatief.

Translarna

De VT van Translarna loopt tot 1 oktober 2024. Het onderzoek dat nodig is voor de uitspraak over pakketopname bestaat uit een internationale studie die wordt beoordeeld door het wetenschappelijk comité (CHMP) van het EMA.

Op 26 januari 2024 adviseerde de CHMP de handelsvergunning van Translarna niet te vernieuwen vanwege gebrek aan werkzaamheid. Dit houdt in dat, indien de Europese Commissie (EC) het CHMP-advies overneemt, Translarna van de Europese markt wordt gehaald. Daarmee is het ook niet langer mogelijk het middel vanuit VT aan Nederlandse patiënten te verstrekken. Mijn voorganger heeft dan ook, na advies van het Zorginstituut, besloten deze VT te beëindigen zodra de EC het advies van de CHMP heeft overgenomen. In mei 2024 besloot de EC echter om het negatieve advies van de CHMP niet over te nemen. Op dit moment voert de CHMP een herbeoordeling van de data uit. Het definitieve besluit van de EC op basis van de herbeoordeling laat nog tot zeker eind 2024 op zich wachten.

Ik ben, op advies van het Zorginstituut, daarom bezig om deze VT met 1 jaar te verlengen tot 1 oktober 2025. Zodra de EC met een definitief negatief of positief besluit komt wordt de VT beëindigd. Bij een negatieve uitspraak wordt vergoeding vanuit het basispakket beëindigd. Bij een positieve uitspraak volgt een beoordeling van het Zorginstituut en kan het geneesmiddel, wanneer er sprake is van een positief advies en acceptabele prijs, in het basispakket worden opgenomen. Daarmee wordt de VT ook beëindigd.

² Kamerstuk 29 477, nr. 851.

Ik realiseer me dat deze onzekere situatie onwenselijk is, maar ik zie mij hiertoe genoodzaakt en ik ben van mening hiermee de beste situatie voor Nederlandse patiënten te creëren gegeven de genoemde ontwikkelingen.

Toekomstige VT-trajecten

Het Zorginstituut verwacht mij het komende jaar verschillende potentiële VT-kandidaten voor te leggen. In 2023 zijn teduglutide (Revestive), atidarsagene autotemcel (Libmeldy) en risdiplam (Evrysdi) reeds aangemerkt als potentiële VT-kandidaten. Het Zorginstituut verwacht voor deze middelen in 2024 nieuwe VT-trajecten te starten, mits de convenant fase succesvol wordt doorlopen en, voor zover dat niet al is gebeurd, er een financieel arrangement wordt afgesloten.

Tot slot is het Zorginstituut bezig met de tweede evaluatie van de procedure, welke later dit jaar aan uw Kamer zal worden aangeboden.³ De eerste beleidsmatige evaluatie van de VT start dit jaar en wordt volgend jaar met uw Kamer gedeeld.

De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,
M. Agema

³ De eerste evaluatie van het Zorginstituut is in augustus 2022 naar de Kamer gestuurd (Kamerstuk 29 477, nr. 783).