

**EMBARGO – 07-03-2013 // 1483 woorden**

**Strikte criteria en lagere prijzen nodig**

## **WEESGENEESMIDDELEN: EU-BELEID NOODZAKELIJK**

Steeds meer 'weesgeneesmiddelen' worden tot de Europese markt toegelaten voor één van de 6.500 verschillende ziekten die minder dan één procent van de bevolking treffen. Vanwege het geringe aantal patiënten, het langdurige onderzoek en de specialistische kennis, is de prijsstelling van deze medicijnen extreem hoog. De toelating tot het vergoedingspakket van verzekeraars is mede daardoor problematisch. Elk land afzonderlijk stelt daar eigen regels voor op, waardoor een 'verdeel-en-heers' tactiek van de zijde van de fabrikanten ontstaat. Door het aanscherpen van de internationale regelgeving, toelatingseisen en boetes kunnen de prijzen van 'weesgeneesmiddelen', 'biologicals' en 'biosimulants' beter op Europees niveau en tevens stringenter worden aangepakt.

### **Weesgeneesmiddelen**

De omzet van wereldwijde markt voor weesgeneesmiddelen omvat 40 miljard euro in 2012, ongeveer 6 % van de gehele mondiale medicijnverkoop. Hun aantal en de daarbij behorende kosten blijven echter voortdurend te stijgen. Inmiddels behoort al 25% van de 39 nieuwe tot de V.S. toegelaten medicijnen in 2012 tot deze soort geneesmiddelen.

Zo verkreeg Roche recentelijk toestemming om het nieuwe borstkankermedicijn Perjeta in de EU te lanceren<sup>1</sup>. In Nederland wordt ieder jaar borstkanker ontdekt bij ongeveer 13.000 vrouwen en 100 mannen. Perjeta dient in combinatie met Herceptin te worden voorgeschreven. In de VS kost een kuur van 18 maanden ongeveer 145.000 euro<sup>2</sup>. De kosten voor Nederland worden geschat op bijna 600 miljoen euro. Deze uitgave alleen vergt al een 10% van het totale geneesmiddelenbudget. In de zomer van 2013 wordt de markttoelating van Glybera in Duitsland verwacht, dat door de Nederlandse firma UniQure is ontwikkeld. Het gaat om 'alipogeen tivoparvec', de eerste gentherapie tegen 'lipoproteïne lipase deficiëntie (LPLD)', dat een ernstige stofwisselingsziekte is. Het aantal te behandelen patiënten wordt op één tot twee personen per miljoen inwoners geschat en gaat per kuur meer dan 750.000 euro per patiënt kosten<sup>3</sup>. Een extra uitgave voor VWS vantenminste 13 miljoen euro voor ongeveer 25 patiënten.

Recentelijk ontstond er in Nederland commotie over medicijnen voor de ziekte van Pompe (Myozyme/Alglucosidase alpha) en de ziekte van Fabry (Fabrazyme /algalsidase béta; Replagal /agalsidase alfa). Aan deze ziektes lijden in Nederland respectievelijk 140 en 400 patiënten<sup>4</sup>. Op de toelatingslijst van de EUCERD (European Union Committee of Experts on Rare Diseases) staan de Fabrymedicijnen sinds 3 augustus 2001 en de Pompemedicatie sinds 2006. Pas op 25 juni 2007 laat het College van Zorgverzekeringen (CvZ) deze middelen toe tot het verzekeringspakket<sup>5</sup> in de verwachting dat patiënten met de ziekte van Pompe drie maanden langer leven, na een 15-jarige behandeling. De kosten per gewonnen levensjaar zouden 15 miljoen euro bedragen.<sup>6</sup> Onduidelijk is waarom bij de toelating tot het verzekeringspakket in 2007 het CvZ onvoldoende op epidemiologische en levenskwaliteit verbeterende aspecten heeft gelet<sup>7</sup>. Nog merkwaardiger is dat deze medicatie nog eens 5 jaar later in 2012, ineens te duur zou zijn.

### **Toename patiënten en kosten**

De huidige discussie over alle tot Nederland toegelaten 'weesgeneesmiddelen'<sup>8</sup>, 'biologicals' en 'biosimulants' dient te worden gerelativeerd. Immers, in 2007 waren er 3.418 patiënten die op deze soort medicatie waren aangewezen. In 2011 is het aantal gebruikers verdubbeld naar 7.438 gebruikers. De ermee gemoeide kosten stegen weliswaar van 68 miljoen euro in 2007 naar 160 miljoen euro in 2011. Het aandeel ervan op het totale jaarlijkse medicijnenbudget, vergt slechts een schamele 3% en is dus een uiterst gering deel van de totale extramurale uitgaven<sup>9</sup>. Als deze uitgaven worden afgezet tegen de afnemende kosten per verzekerde in dezelfde periode, lijkt deze discussie over de weesgeneesmiddelen erg gekunsteld te zijn.

Voorlopig wil Nederland op deze kosten gaan besparen door de extramurale vergoedingen te schrappen en alleen voor de intramurale receptuur betalen, zoals de TNF-alfaremmers (30.000 patiënten), oncologisch middelen, groei- en fertiliteitshormonen (10.000 gebruikers), bloedarmoedemedicatie, Hiv-remmers en immunoglobulinen<sup>10</sup>. Het is echter nog onbekend of ziekenhuizen deze extra stroom van polikliniekbezoekers wel kunnen verwerken.

### **Heldere besluitvorming nodig**

De verwachting is dat de uitgaven voor dit soort medicatie de komende jaren extreem zal toenemen<sup>11</sup>. Want op deze EUCERD-lijst staan inmiddels al 71 'weesgeneesmiddelen'<sup>12</sup>, waarvan CvZ er slechts 41 tot het verzekeringspakket heeft toegelaten. De druk vanuit patiëntenorganisaties over de toelatingen zal immers toenemen. Zo bestaat EURODIS (Europese organisatie voor zeldzame ziekten) uit maar liefst 31 verschillende patiënten groeperingen<sup>13</sup>.

Zo zouden toekomstige toelatingen steeds vergezeld moeten worden door economische evaluaties, die nu slechts bij 30% van de geneesmiddelenstudies is uitgevoerd<sup>14</sup>. Van de weesgeneesmiddelen zijn momenteel de daadwerkelijke prijzen niet bekend. Officieel vormen de Taxe-prijzen de vergoedingsgrondslag. Maar doordat afzonderlijke landen scherpe onderhandse afspraken maken, ontstaan er lagere interne prijzen. Met als gevolg dat er binnen de Europese Unie een wirwar aan geheime voorwaarden, prestatie, prijs- en kortingsafspraken bestaan.

Tot nu toe wil Nederland veelbelovende specialistische medicijnen voor vier jaar toelaten. Een andere mogelijkheid is om 'no cure no pay'-afspraken met producenten te maken, zoals bij het astmamiddel Omalizumab. Ook zouden doelmatigheidscriteria de kosten kunnen reduceren. Zo lijkt de door het CVZ gestarte discussie over de vergoeding van de Pompe en Fabry medicatie, gebaseerd te zijn op de aanpak van het Engelse National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE). Dat berekent sinds 1999 de kosten en effectiviteit van nieuwe geneesmiddelen. Deze instelling adviseert om sommige medicijnen niet langer te vergoeden, waardoor farmaceutische bedrijven dan uit zichzelf kortingen verlenen<sup>15</sup>.

Naast deze ongebreidelde nationale regelingen, proberen ook grote instellingen zelf de kosten te beperken. Zo weigerde onlangs het 'Memorial Sloan-Kettering Cancer Center' in New York het nieuwe anti-kanker-medicijn Zaltrap (8.500 euro per maand) in haar assortiment op te nemen. Dit medicament verlengt de levensverwachting met 1½ maand evenals Avastin. Directeur dr. P. Bach, meent dat "Nieuw geïntroduceerde medicijnen niet tweemaal zo duur mogen zijn, terwijl zij feitelijk niet beter zijn dan bestaande producten". Over het algemeen, vindt hij dat "Er weinig relatie bestaat tussen de prijzen voor geneesmiddelen en de waarden die zij vertegenwoordigen"<sup>16</sup>.

Om dergelijke manipulaties door de farmaceutische bedrijfstak te voorkomen, is het daarom voor de EU-landen van belang om centrale afspraken op Europees niveau te maken over testen tegen reeds bestaande medicatie in plaats van placebo's, economische evaluaties, prijzen, post-marketing-surveillance en -evaluaties. Die zouden onderdeel moeten vormen van de toelatingscriteria door de EMA (*European Medicines Agency*), dan wel het EU Directoraat Generaal voor 'Public Health'.

Daarnaast dient er in Nederland een discussie over vergoedingsgrondslagen te worden gevoerd. Heldere besluiten zijn nog niet genomen over beoordelingscriteria voor de toelating van kostbare geneesmiddelen tot het vergoedingspakket, zoals Quality's, epidemiologische data, doelmatigheidscriteria, economische analyses en post-marketing gegevens. Het is echter kort dag voordat de discussie over de toelatingen in nog grotere heftigheid zal gaan losbarsten.

---

<sup>1</sup> Reuters; Roche gets EU approval for breast cancer drug Perjeta; Reuters-Zürich; 5 maart 2013;

<http://www.reuters.com/article/2013/03/05/us-roche-perjeta-idUSBRE92407O20130305?feedType=RSS&feedName=healthNews>

<sup>2</sup> Simon, S.; "FDA Approves Perjeta to Treat Advanced Breast Cancer"; 13 JUNI 2012; AMERICAN CANCER SOCIETY;

<http://www.cancer.org/cancer/news/fda-approves-perjeta-to-treat-advanced-breast-cancer>

<sup>3</sup> Hirschler, B.; "Analysis: Entering the age of the \$1 million medicine; the Western world's first drug to fix faulty genes promises to

- 
- transform the lives of patients with an ultra-rare disease that clogs their blood with fat. The only snag is the price”; Reuters; London; 3 januari 2013; 9:14am EST; <http://www.reuters.com/article/2013/01/03/us-rarediseases-idUSBRE9020C120130103?feedType=RSS&feedName=healthNews>
- <sup>4</sup> Elst, van der, A.; Thiel, van, E.; “Maak aparte financiering voor deze middelen; CVZ-bestuursvoorzitter over vergoeding medicijnen Pompe en Fabry”; CVZ magazine; Diemen; jrg. 15; nr. 3; okt. 2012; p. 13.  
<http://cvz.nl/binaries/content/documents/cvzinternet/nl/documenten/rubriek+zorgpakket/cfh/voorwaardelijk-toegelaten-geneesmiddelen.pdf>
- <sup>6</sup> Rijken, J.J.; “Een goedkope discussie over dure geneesmiddelen”; Redactioneel; Tijdschrift voor Gezondheidsrecht; jrg. 36; nr. 7; p. 547.
- <sup>7</sup> Rijnen, A.; “Medicijnen werken, maar we weten nog te weinig; Carla Hollak over dure medicijnen Pompe en Fabry”; CVZ magazine; oktober 2012; p. 14 – 15.
- <sup>8</sup> Aymé, S.; Rodwell, C.; eds., “2012 Report on the State of the Art of Rare Disease Activities the Netherlands of the European Union Committee of Experts on Rare Diseases”, July 2012; ISBN : 978-92-79-25355-3  
DOI : 10.2772/50554 <http://www.eucerd.eu/wp-content/uploads/2012/09/2012ReportStateofArtRDActivitiesNL.pdf>
- <sup>9</sup> <http://www.gipdatatabank.nl> ; totale kosten weesgeneesmiddelen (extramuraal) periode 2007 – 2011.
- <sup>10</sup> Rutten-van Molken, M.; Uyl, C.; “Naar gepast gebruik van geneesmiddelen”; Economisch Statistische Berichten; jrg. 97, 5 oktober 2012; p. 87-93.
- <sup>11</sup> Aymé S., Rodwell C., eds., “2012 Report on the State of the Art of Rare Disease Activities in Europe of the European Union Committee of Experts on Rare Diseases”, July 2012. ISBN : 978-92-79-25355-3  
<http://www.eucerd.eu/upload/file/Reports/2012ReportStateofArtRDActivities.pdf>
- Buitenbeschouwing blijft verder de categorie ‘dure geneesmiddelen’ die veel alleen intramuraal mogen worden voorgeschreven. De jaarlijkse consumptie door 306.495 patiënten kost zo’n € 1,355 miljard; € 4.400,-. Pp/pj. Zie: [www.gebu.nl](http://www.gebu.nl) (dure geneesmiddelen).
- <sup>12</sup> [http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/list\\_of\\_orphan\\_drugs\\_in\\_europe.pdf](http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/list_of_orphan_drugs_in_europe.pdf)
- <sup>13</sup> Commission of the European Communities; “Communication from the Commission to the European Parliament, the Council, the European Economic and Social Committee and the Committee of the Regions on rare diseases: Europe's challenges”; Brussels; 11 October 2008; com(2008) 679 final <http://www.eurordis.org>
- <sup>14</sup> Koopmans, M.; Severens, H.; Franken, M.; “Internationale aspecten bij de besluitvorming inzake geneesmiddelenvergoeding”; Economisch Statistische Berichten, jrg. 97, 5 oktober 2012; p. 36 -39.
- <sup>15</sup> Hirschberg, B.; “Analysis: Creative drug pricing flourishes in hard-up Europe”; Reuters ; London ; 24 Oct 2012; 5:54 am ; <http://www.reuters.com/article/2012/10/24/us-pharmaceuticals-europe-pricing-idUSBRE89N0GQ20121024?feedType=RSS&feedName=healthNews>
- <sup>16</sup> Pollack, A.; “Sanofi Halves Price of Cancer Drug Zaltrap After Sloan-Kettering Rejection”; New York Times; 8 november 2012  
<http://www.nytimes.com/2012/11/09/business/sanofi-halves-price-of-drug-after-sloan-kettering-balks-at-paying-it.html?emc=tnt&tntemail=y&pagewanted=print>