

Peperduur CDCA vergoed uit basisverzekering

“Alles volgens de regels, maar moreel bedenkelijk”

Het Zorginstituut heeft de minister onlangs geadviseerd om het geneesmiddel CDCA op te nemen in de basisverzekering. “Het medicijn is effectief en er is geen alternatief”, aldus Martin van der Graaff van het Zorginstituut. “Ik heb wel een ongemakkelijk gevoel bij de prijs van CDCA. Producent Leadiant Biosciences opereert binnen de wet, maar vanuit moreel oogpunt kun je er vraagtekens bij zetten.”

Tekst Jos Leijen Beeld Ron Zwagemaker

Waar komt dat ongemak vandaan? Om dat te begrijpen, moeten we terug in de tijd. Al sinds de jaren zeventig worden patiënten behandeld met het geneesmiddel CDCA. Het is een middel voor cerebrotendineuze xanthomatose (CTX), een zeldzame erfelijke stofwisselingsziekte. Patiënten kunnen een enzym niet zelf aanmaken en krijgen daardoor een tekort aan chenodeoxycholzuur (CDCA). Als dit tekort niet wordt aangevuld, kunnen ze allerlei kwalen krijgen, zoals staar, chronische diarree en vroegtijdige dementie. CDCA werd oorspronkelijk ontwikkeld voor galstenen, maar bleek ook bij CTX te werken.

Monopolie

De afgelopen jaren heeft het Italiaanse concern Sigma-Tau een monopolie verworven in de productie van CDCA. NRC beschreef in de krant van 24 augustus hoe het bedrijf dit deed. In 1976 komt CDCA onder de merknaam Chenofalk op de markt. Op de werkzame stof kan geen octrooi worden aangevraagd en al snel gaan ook enkele andere bedrijven een geneesmiddel met CDCA produceren.

Vanaf 2008 neemt het Italiaanse bedrijf Sigma-Tau een voor een de bedrijven over die CDCA produceren. Het is dan al decennia bekend dat CDCA ook helpt bij CTX, en het middel wordt vooral daarvoor gebruikt. Maar die markt is klein. In Nederland gaat het

om circa 55 patiënten. Andere farmaceuten staken de productie en langzaam wordt Sigma-Tau de enige aanbieder.

Weesgeneesmiddel

In 2015 wordt het masterplan van Sigma-Tau duidelijk. Het bedrijf zet dochterbedrijf Leadiant op voor CDCA. Dit bedrijf vraagt bij de Europese toezichthouder voor geneesmiddelen EMA registratie aan van CDCA voor gebruik bij CTX. Dit verandert de situatie drastisch. CTX is een zogeheten ‘weesziekte’, een ziekte die heel weinig voorkomt. Is een medicijn geregistreerd als ‘weesgeneesmiddel’ dan krijgt de producent tien jaar het exclusieve recht om het op de markt te brengen.

Zodra Leadiant de registratie op zak heeft, verhoogt het de prijs van CDCA. Kostte een pilletje tien jaar geleden nog 28 cent, vandaag de dag vraagt de farmaceut 140 euro per pil. Per patiënt komt dat neer op ongeveer 160.000 euro per jaar, afhankelijk van de dosering. Veel is er niet aan te doen. Leadiant mag als enige CDCA op de markt brengen, en alles is volgens de regels.

Magistrale bereiding

Verzekeraars willen de extreemhoge prijzen niet betalen. Omdat patiënten in de knel komen, besluiten hoogleraar stofwisselingsziekten Carla Hollak en ziekenhuisapotheker



Martin van der Graaff:
“Het is wrang dat een monopolist op deze manier misbruik kan maken van de regels”

Marleen Kemper van het Amsterdam UMC om zelf CDCA te produceren. Apothekers hebben de mogelijkheid om zogeheten ‘magistrale bereiding’ te doen. Ze mogen zelf geneesmiddelen bereiden voor hun eigen patiënten. Zo ingewikkeld is het niet om CDCA op maat te verstrekken en het ziekenhuis heeft de kennis en een uitstekend geoutilleerde apotheek om het medicijn te bereiden.

Het Amsterdam UMC haalt de grondstof voor het geneesmiddel in China. Een onafhankelijk gecertificeerd laboratorium controleert de kwaliteit van de ingrediënten. Minister Bruins van Medische Zorg spreekt zijn steun uit voor het initiatief. Het ziekenhuis maakt CDCA tegen kostprijs voor circa 25.000 euro per patiënt per jaar, fors minder dan de 160.000 euro die Leadiant ervoor vraagt. De apotheek maakt afspraken met de zorgverzekeraars over de vergoeding van het geneesmiddel.

Handhavingsverzoek

Leadiant geeft zich echter nog niet gewonnen. Het bedrijf stuurt een brief naar de Inspectie Gezondheidszorg en Jeugd (IGJ) met een ‘handhavingsverzoek’, want de activiteiten van het Amsterdam UMC zouden schadelijk kunnen zijn voor de volksgezondheid. Op 12 juni brengt de Inspectie een bezoek aan het ziekenhuis. De inspecteurs controleren installaties, spreken met betrokkenen en nemen monsters mee. Zes weken later krijgen Hollak en Kemper bericht van de IGJ: er zijn onzuiverheden aangetroffen en zij moeten stoppen met de productie van CDCA. “We waren totaal verrast”, zegt Hollak. “We hadden alles volgens de regels en de specificaties gedaan. Het RIVM heeft de monsters op een dieper niveau onderzocht en vond stoffen die er niet in thuishoren. Wij hebben aangetoond dat het gaat om minieme hoeveelheden andere galzuren, die waarschijnlijk geen kwaad

kunnen. Maar ja, aantonen dat die onzuiverheden onschadelijk zijn voor patiënten vergt grootschalig en mogelijk langjarig toxicologisch onderzoek.”

Carla Hollak: “Ik denk dat we kritisch naar de regels voor weesgeneesmiddelen moeten kijken”

Positief advies

Het Amsterdam UMC is gestopt met de productie van CDCA*, zodat patiënten weer aangewezen zijn op het veel duurdere product van Leadiant. Het bedrijf heeft een aanvraag ingediend om het geneesmiddel in het basispakket te krijgen. Het Zorginstituut zal naar verwachting positief adviseren aan de minister, maar tevens wijzen op het onwenselijke van de gang van zaken. Verder zal het Zorginstituut het ministerie waarschijnlijk oproepen om kritisch te kijken naar dit verdienmodel van de industrie en wegen te zoeken om tegenwicht te bieden. Martin van der Graaff: “Het is wrang dat een monopolist op deze manier misbruik kan maken van de regels.”

Hollak blijft mogelijkheden ondersteunen om zelf CDCA te bereiden. De enige oplossing is dat onderbouwd wordt dat de bijproducten geen kwaad kunnen of dat een grondstoffenleverancier zuiverder materiaal levert. “Ik denk dat we kritisch naar de regelgeving voor weesgeneesmiddelen moeten kijken. Die schiet nu zijn doel voorbij. Dit is niet het eerste geval van misbruik van de regels, en zeker niet het laatste. Dat zou anders moeten.” ●



* Vlak voor het ter perse gaan van deze editie oordeelde de IGJ in de zaak die was ingediend door Leadiant dat het Amsterdam UMC toch het eigen medicijn mag maken. Het moet wel het productieproces aanpassen. De betrokken artsen en apothekers proberen de voorwaarden nu rond te krijgen om het middel zelf te blijven maken.