

Weesgeneesmiddelen onder de loep

De zogenaamde ‘weesgeneesmiddelen’ nemen binnen de zorg een steeds prominentere plek in. Zowel qua kosten (een stijging van 45 procent in vier jaar tijd) als in volume: van alle nieuwe geneesmiddelen die op de markt komen krijgt inmiddels 30 procent het label ‘weesgeneesmiddel’. Deze cijfers komen respectievelijk uit de Monitor Weesgeneesmiddelen en de Horizonscan Geneesmiddelen. Een overzicht van de meest opvallende ontwikkelingen, opgetekend uit deze publicaties.

Tekst Edith Bijl

Beeld Wanz

In de jaarlijkse ‘Monitor Weesgeneesmiddelen in de praktijk’ geeft het Zorginstituut inzicht in het gebruik van weesgeneesmiddelen en de daarmee gepaard gaande kostenontwikkelingen. Daarbij richten wij ons voornamelijk op niet-oncologische weesgeneesmiddelen. Weesgeneesmiddelen zijn medicijnen voor zeldzame, vaak ernstige aandoeningen, die in Nederland uit het basispakket worden vergoed. Deze aandoeningen hebben meestal een progressief karakter en kunnen sterk invaliderend of levensbedreigend zijn. Een weesgeneesmiddel kan zorgen voor een betere kwaliteit van leven en maakt soms zelfs het verschil tussen leven en dood.

Kosteneffectiviteit

Toch is vaak onduidelijk wat het effect van een weesgeneesmiddel is op de ziekte en of dat effect op de lange termijn standhoudt. Ook zijn de kosten per patiënt per jaar voor deze groep medicijnen vaak erg hoog, wat leidt tot een ongunstige kosteneffectiviteit en mogelijke verdringing van andere zorg. Met de Monitor Weesgeneesmiddelen scheidt het Zorginstituut duidelijkheid over de inzet en kostenontwikkelingen van weesgeneesmiddelen in het afgelopen jaar of de afgelopen jaren. Daarnaast geven we op onze website ‘Horizonscan Geneesmiddelen’

inzicht in toekomstige kostenontwikkelingen en gebruik van nieuwe geneesmiddelen die in de komende twee jaar op de markt verwacht worden. Daar zitten ook veel weesgeneesmiddelen bij (zie ook het kader). Samen bieden de monitor en de Horizonscan waardevolle informatie die het Zorginstituut – en met name onze AdviesCommissie Pakket – helpt bij de advisering over het vergoeden van bestaande en toekomstige weesgeneesmiddelen.

Het totaal vergoede bedrag voor weesgeneesmiddelen steeg van 235 miljoen (2015) naar 340 miljoen euro (2018/2019) per jaar

Aanhoudende stijging kosten

Informatie uit de monitor en de Horizonscan laat een aanhoudende stijging zien van de kosten voor weesgeneesmiddelen. Zo zien we dat tussen 2015 en 2018/2019 het totaal vergoede bedrag voor weesgeneesmiddelen steeg van 235 miljoen naar 340 miljoen euro per jaar; een stijging van 45 procent. Het aantal behandelde verzekerden steeg over diezelfde periode iets sterker: zo’n 52 procent. Uit de cijfers van de Horizonscan kunnen we opmaken dat deze kosten de

komende jaren zullen blijven stijgen: de Horizonscan verwacht de komende jaren 61 nieuwe niet-oncologische weesgeneesmiddelen of indicatie-uitbreidingen van bestaande weesgeneesmiddelen.

Doorlooptijd

De gemiddelde doorlooptijd van registratie tot beschikbaarheid voor de patiënt varieert sterk. Dankzij de Horizonscan Geneesmiddelen is er nu beter en eerder zicht op wat er aan nieuwe geneesmiddelen aan zit te komen. Die vroegtijdige kennis kan tijdswinst opleveren. Ook initiatieven als de pilot parallelle toetsing (CBG en Zorginstituut toetsen niet ná elkaar, maar tegelijk, parallel) kunnen ertoe bijdragen dat weesgeneesmiddelen nog sneller beschikbaar komen. Dat geldt ook voor een maatschappelijk verantwoorde prijs voor het weesgeneesmiddel: als de minister moet onderhandelen over de prijs van een geneesmiddel kost dat immers tijd. Onderhandelingen zijn echter wel noodzakelijk omdat de gevraagde prijzen vaak niet in verhouding staan tot de beperkte en vaak onduidelijke effecten van een middel.

Verantwoord instromen

Van de niet-oncologische weesgeneesmiddelen die van 2012 tot 2017 zijn geregistreerd, is ongeveer twee derde opgenomen in het basispakket. Afgelopen jaar heeft de Rondetafel Weesgeneesmiddelen (voorzeten door het Zorginstituut en onder leiding van zorgverzekeraars) gewerkt aan een proces voor het verantwoord laten instromen van niet-oncologische weesgeneesmiddelen die niet door het Zorginstituut beoordeeld worden. Daarvoor worden zogenaamde weesgeneesmiddelenarrangementen opgesteld. Dit zijn sets van afspraken met de beroepsgroep om de (kosten)effectiviteit van een bepaald middel te optimaliseren door de kwaliteit van zorg transparant te maken en de kosten te reduceren. Deze set van afspraken is een

De monitor en de Horizonscan bieden waardevolle informatie die het Zorginstituut en de ACP helpt bij de advisering over het vergoeden van weesgeneesmiddelen



voorwaarde voor toelating tot de basisverzekering.

Naast het opstellen van deze afspraken gaan de zorgverzekeraars ook gezamenlijk onderhandelen over de prijs.

Arrangementen

De recent verschenen Monitor Weesgeneesmiddelen biedt inzicht in de voortgang van de diverse weesgeneesmiddelenarrangementen. Over het algemeen constateren wij dat de verschillende beroepsgroepen en veldpartijen de afgelopen jaren hard hebben gewerkt om dure weesgeneesmiddelen op gepaste wijze te laten instromen in de basisverzekering. Als voorbeeld wordt het weesgeneesmiddelarrangement van aHUS (een ernstige nier- en bloedaandoening) aangehaald. Dit arrangement, waar structureel data wordt verzameld, leidt tot gepast gebruik en kostenbesparing in de praktijk. Bij de overige arrangementen is nog te weinig data bekend om conclusies te kunnen trekken over gepast gebruik en langetermijneffecten. Dit zijn bijvoorbeeld de arrangementen voor eculizumab bij de indicatie PNH, en voor SMA, ziekte van Gaucher, NMOSD, Myasthenia Gravis, ziekte van Pompe en MPS I. ●

Horizonscan Geneesmiddelen

Het Zorginstituut beheert de website van de Horizonscan en zorgt ervoor dat er minimaal elk halfjaar een 'marktscan' wordt uitgevoerd. Voor deze scan worden verschillende bronnen gebruikt, zoals de European Medicines Agency (EMA), het College ter beoordeling van geneesmiddelen (CBG), klinische studies, pijnlijverzichten en input van vele betrokken experts. Ook vragen we de farmaceutische industrie om informatie over nieuwe geneesmiddelen en indicatie-uitbreidingen tijdig met ons te delen. De Horizonscan richt zich op de intramurale en extramurale geneesmiddelen en kijkt twee jaar vooruit. Afgelopen maand is een nieuwe marktscan uitgevoerd. Dit leverde onder meer de volgende informatie op:

- De EMA geeft steeds meer geneesmiddelen een speciaal label: inmiddels krijgt bijna 30 procent van alle middelen op de scan het label 'weesgeneesmiddel' en wordt een deel van deze weesgeneesmiddelen (8 procent van alle middelen op de scan) ook bestempeld als ATMP (geneesmiddelen met een zeer geavanceerde techniek, zoals genterapieën).
- Opvallend is het groeiende aantal genterapieën voor de behandeling van hemofilie, een relatief grote patiëntengroep met een weesstatus.
- De scan laat zien dat er veel geneesmiddelen op de markt gaan komen die in combinatie met bestaande geneesmiddelen moeten worden gegeven. Dit is ruim 20 procent van alle middelen op de scan. Omdat deze geneesmiddelen

niet in de plaats van een bestaande therapie worden gegeven maar ernaast, leiden deze middelen tot relatief veel meerkosten.

Tot slot hebben wij bij deze laatste marktscan onderzocht hoeveel tijd er voor geneesmiddelen uit eerdere scans overheen ging vanaf het moment dat ze bij de EMA werden ingediend totdat zij door de EMA geregistreerd werden. Dat duurde voor nieuwe geneesmiddelen gemiddeld dertien maanden. Voor geneesmiddelen die versneld werden beoordeeld was dat gemiddeld negen maanden en voor indicatie-uitbreidingen tien maanden.

Voor meer details:

www.horizonscangeneesmiddelen.nl