

Neuroloog Ludo van der Pol over advies Zolgensma:

# “Laat overheid bijdragen aan kosten voor verzamelen behandelingsinformatie”

Zolgensma is met een prijskaartje van 1,9 miljoen euro het duurste medicijn ter wereld. Tegelijkertijd is dit geneesmiddel, dat de oorzaak van spierziekte spinale musculaire atrofie (SMA) aanpakt, erg veelbelovend. Neuroloog Ludo van der Pol van het SMA Expertisecentrum van het UMC Utrecht hoopt ondanks voorbehouden dat Zolgensma snel wordt vergoed.

**Tekst** Noël Houben

**Beeld** De Beeldredactie | Herbert Wiggerman

Elk jaar worden vijftien tot twintig kinderen geboren met de zeldzame spierziekte SMA. Bij hen ontbreekt door een defect gen een eiwit dat de motorische zenuwcellen in leven houdt. Uitval van spieren en uiteindelijk verlamming is het gevolg. Ongeveer de helft van de kinderen heeft SMA type 1. Kinderen met deze ernstigste variant overleden tot enkele jaren geleden vaak nog voor het tweede levensjaar. Dat veranderde begin 2018: toen kwam er met Spinraza een eerste geneesmiddel beschikbaar tegen SMA.

Het nieuwe medicijn Zolgensma richt zich specifiek op jonge kinderen die SMA type 1 hebben of dit waarschijnlijk zullen krijgen. Voor deze gentherapie van farmaceut Novartis is eenmalig een infuus nodig, tegenover drie ruggenprikken per jaar voor Spinraza. Onschadelijk gemaakte virusdeeltjes verspreiden zich vervolgens door het lichaam en brengen extra DNA naar de celkernen. Dit DNA zorgt voor het aanmaken van het ontbrekende eiwit. Uit onderzoek blijkt dat het grootste deel van de kinderen die met Zolgensma zijn behandeld een betere levensverwachting heeft dan SMA-patiëntjes die geen behandeling hebben gekregen. Ook hebben zij soms geen beademingsapparatuur meer nodig en leren zij zonder hulp zitten. Een aantal kinderen dat is behandeld voordat zij symptomen van SMA hadden, kan zelfs lopen.

## **Snel starten met behandeling**

Net als de ouders van kinderen met SMA is Ludo van der Pol blij dat er inmiddels meer-

dere veelbelovende behandelingen zijn tegen deze zeldzame spierziekte. “SMA is daarmee van een dodelijke ziekte een chronische ziekte aan het worden.” Tegelijkertijd maakt hij ook enkele voorbehouden. “Zolgensma klinkt ideaal: één behandeling en dan ben je klaar voor de rest van je leven. Maar het gaat om een erg heftige behandeling. Voor de gentherapie krijgen jonge kinderen een extreem hoge dosis virus toegediend: maar liefst 100 x 1 miljoen x 1 miljoen virusdeeltjes per kilo lichaamsgewicht. Vooral de lever van de baby krijgt het zwaar te verduren. Daarnaast is er nog weinig bekend over de effecten en de veiligheid op de langere termijn. Vervolgonderzoek moet ook aantonen welke therapie het beste werkt voor welke subgroepen in de patiëntenpopulatie. En als premiebetaler heb ik best mijn bedenkingen bij de hoge prijs die de fabrikant vraagt voor Zolgensma. Waar is die op gebaseerd? Ondanks deze mitsen en maren hoop ik dat Zolgensma zo snel mogelijk verzekerde zorg wordt. Ouders wachten hier wanhopig op. Ze zien dat het medicijn in het buitenland wel vergoed wordt. Soms starten ze crowdfunding om die 2 miljoen euro dan maar zelf bij elkaar te krijgen.”

Verder wijst de neuroloog op het belang sneller te starten met de behandeling van SMA-patiënten. “Het duurt vaak enige tijd voor verschijnselen van de ziekte zoals ademhalingsproblemen zich openbaren. De zenuwen die dan al zijn aangetast, kunnen we niet meer herstellen. Met soms ernstige beperkingen als gevolg.” Op advies van



**“Als premiebetaler heb ik mijn bedenkingen bij de hoge prijs die de fabrikant vraagt. Desondanks hoop ik dat Zolgensma zo snel mogelijk verzekerde zorg wordt. Ouders wachten hier wanhopig op”**

de Gezondheidsraad voegt het RIVM SMA daarom vanaf oktober 2022 toe aan de hielprik die baby's krijgen. Van der Pol pleit voor vervroeging hiervan. “Hiermee besparen we kinderen en hun ouders veel leed.”

#### **Alle gegevens beschikbaar**

In de aanloop naar het advies van het Zorginstituut over Zolgensma (zie kader) is Van der Pol enkele malen geconsulteerd. Hij sprak onder andere eind april in op de vergadering van de Adviescommissie Pakket (ACP) over Zolgensma. Deze commissie van externe deskundigen toetst de adviezen van het Zorginstituut aan de pakketcriteria en kijkt of de uitkomsten daarvan maatschap-

pelijk wenselijk zijn. Dit resulteert dan in een advies aan de Raad van Bestuur van het Zorginstituut. Van der Pol: “Het Zorginstituut heeft zich voor zijn advies moeten baseren op kleine trials van in totaal slechts honderd patiënten. Wereldwijd zijn er echter al duizend patiënten behandeld met Zolgensma. Ik heb er tijdens de vergadering bij de fabrikant op aangedrongen om alle gegevens beschikbaar te stellen. Deze data zijn niet alleen belangrijk voor de beoordelingen die het Zorginstituut doet. Als artsen kunnen we patiënten hiermee beter behandelen.”

Het verzamelen en analyseren van behandelingsinformatie is belangrijk om de langetermijneffecten van Zolgensma (en Spinraza) in beeld te krijgen, vervolgt de neuroloog. “Wij willen daar als SMA Expertisecentrum zeker onze rol in pakken. Gezien het maatschappelijk belang zou het goed zijn als de overheid bijdraagt aan de kosten hiervan, zo heb ik ingebracht tijdens de vergadering. Misschien dat een deel van de korting die mogelijk wordt bedongen bij de fabrikant hiervoor kan worden ingezet. Dergelijke overheidsfinanciering is trouwens ook hard nodig bij andere zeldzame ziekten.” ●

#### **ADVIES: VERGOED ZOLGENSMA ALLEEN NA PRIJSONDERHANDELING**

Vergoed Zolgensma alleen uit het basispakket na onderhandelingen over de prijs. Die zou met ongeveer 50 procent moeten zakken. Ook zou er prestatie-afhankelijke betaling moeten worden afgesproken als voorwaarde voor vergoeding. Dat adviseerde het Zorginstituut op 7 mei aan de minister voor Medische Zorg.

“Bij Zolgensma zit het Zorginstituut in een spagaat”, zegt bestuursvoorzitter Sjaak Wijma. “Het is een kostbaar medicijn dat een doorbraak lijkt te zijn, maar waarvoor ook nog te weinig bewijs is dat het echt zo goed werkt. We willen Zolgensma best het voordeel van de twijfel geven, maar niet tegen elke prijs. We vergoeden zo'n middel immers uit de premies die we met elkaar opbrengen. We willen dat geld aan zoveel mogelijk goede zorg besteden.” Onzeker is onder andere hoe goed Zolgensma op de lange termijn werkt bij kinderen met SMA. “Om daarover meer zekerheid te krijgen, gaan we de komende jaren gegevens verzamelen via het bestaande SMA-register.”

Het Zorginstituut adviseert om de onderhandelingen samen met België en Ierland te doen. Met deze twee andere landen uit het samenwerkingsverband Beneluxa Initiative heeft het Zorginstituut de beoordeling van Zolgensma gedaan. Als het middel in het basispakket komt, zijn de jaarlijkse kosten ongeveer 11 miljoen euro. Hierin is de besparing meegenomen door het wegvallen van behandeling met Spinraza.