

verslag

80
ACP

Datum
23 september 2019

Onze referentie
2019047224

Omschrijving	Adviescommissie Pakket
Vergaderdatum	20 september 2019, 12.00 uur
Vergaderplaats	vergaderzaal Kentaurus
Aanwezig	Romke van der Veen Carla Hollak Jos Schols Marcel Verweij Cor Oosterwijk Heleen Dupuis Marcel Canoy Jacqueline Zwaap (secretaris) Angèl Link (plv. secretaris, verslag)
Afwezig	Carina Hilders Jan van Busschbach

1 Opening en mededelingen

5 De voorzitter heet iedereen welkom bij de vergadering van de ACP. Jan van Busschbach en Carina Hilders zijn verhinderd. Er staat één onderwerp op de agenda, namelijk de monitor weesgeneesmiddelen. Hiervoor heeft zich één inspreker gemeld namens de Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen, de heer Bertens. Verder zijn er geen mededelingen.

10 2 Verslag van de vergadering van 28 juni 2019 (79)

Een lid heeft een opmerking bij het verslag. Zij licht toe dat zij met haar opmerking niet bedoelde te zeggen dat zij een financieel of zakelijk belang had bij het agendapunt over melanomen, maar dat zij zich buiten de discussie hield vanwege haar persoonlijke betrokkenheid bij het onderwerp. Het verslag wordt op 15 dit punt aangepast. De voorzitter stelt het verslag vast.

20 3 Stukken ter kennisgeving

De voorzitter geeft aan dat deze stukken niet ter behandeling voorliggen, maar de leden wel de gelegenheid hebben om vragen te stellen. Er zijn geen vragen.

4 Monitor weesgeneesmiddelen in de praktijk

In het kader van mogelijke conflicterende belangen geeft de voorzitter aan dat twee leden uit de commissie hun betrokkenheid bij dit agendapunt willen toelichten. Carla Hollak licht toe dat zij hoofd is van het expertisecentrum waar

25 ook de behandeling van de ziekte van Gaucher plaats vindt, één van de
onderwerpen uit dit rapport. Er loopt een traject om deze weesgeneesmiddelen
over te hevelen van het GVS naar de intramurale setting. Daarbij zal ook een
prijsonderhandeling gaan plaats vinden, waarbij het UMC Amsterdam een belang
30 heeft. Zij zal aan tafel blijven om vragen over dit onderwerp te behandelen, maar
terughoudend zijn in de discussie. De voorzitter legt uit dat haar deskundigheid op
gebied van de weesgeneesmiddelen juist een reden is waarom zij in deze
commissie zit. De voorzitter zal de onafhankelijke advisering bewaken en
ingrijpen wanneer belangen naar zijn idee een rol gaan spelen. Ook Cor
35 Oosterwijk is vanuit zijn rol als directeur van de VSOP betrokken bij de
weesgeneesmiddelen. De voorzitter licht toe dat deze rol ook bekend is bij de
commissie en ook één van de redenen is waarom hij in deze commissie zit. Het
kan echter geen kwaad om deze betrokkenheid bij een onderwerp in de
vergadering te noemen. De voorzitter ziet het als zijn taak om onafhankelijke
40 advisering te borgen.

De voorzitter nodigt een medewerker van het Zorginstituut uit om het onderwerp
kort in te leiden. Zij doet dit aan de hand van een presentatie (bijlage 1). Een van
de leden vraagt zich af hoe het onderhandelen door zorgverzekeraars gaat en of
het onderhandelde bedrag dan voor alle verzekeraars geldt. De medewerkster
45 antwoordt dat de zorgverzekeraars dit gezamenlijk doen en dat dat bedrag dan
inderdaad voor alle verzekeraars geldt. Een ander lid voegt eraan toe dat de ACM
een uitspraak heeft gedaan dat gezamenlijk onderhandelen door zorgverzekeraars
in dit geval is toegestaan. Daarnaast vraagt het lid zich af of er een verklaring is
dat Nederland zich in een middenpositie bevindt wat betreft doorlooptijden van
50 beoordelingen. De medewerkster geeft aan dat de verschillende landen
verschillende zorgsystemen kennen. In sommige landen stromen
weesgeneesmiddelen zonder beoordeling in of worden ze pas na enige tijd
beoordeeld. Landen met een dergelijk systeem zullen dus altijd sneller zijn. Bij het
toegankelijkheidsonderzoek zal tijdens de verdiepingsfase gekeken worden wat
55 redenen zijn geweest voor het niet op de markt verschijnen of de lange duur tot
beschikbaarheid voor de Nederlandse patiënt. Een ander lid vraagt zich ook af hoe
de doorlooptijden zich verhouden tot de doorlooptijden van niet-
weesgeneesmiddelen. De medewerkster geeft aan dat dit geen deel uit maakt van
het onderzoek maar dat er wel publicaties zijn over doorlooptijden van
60 geneesmiddelen in den brede. Zij verwacht dat het Zorginstituut hierover wel wat
kan zeggen. Er zijn geen verdere vragen.

De voorzitter nodigt de heer Bertens, die namens de Vereniging van Innovatieve
Geneesmiddelen (VIG) zal inspreken, uit aan tafel. Hij vraagt of hij nog andere
65 belangen heeft dan het feit dat hij werkzaam is voor de VIG. Dat is niet het geval.
Zijn inspreektekst is bijgevoegd als bijlage 2 bij dit verslag. De voorzitter vraagt
of de leden nog vragen hebben voor de spreker. Een lid heeft een vraag voor
het Zorginstituut, namelijk waarom de industrie niet wordt uitgenodigd voor de
ronde tafel weesgeneesmiddelen en de bijeenkomsten om te komen tot
70 weesgeneesmiddelen-arrangementen. Een medewerker antwoordt dat de ervaring
heeft geleerd dat de partijen zich dan minder vrij voelen om te spreken. Om die
reden is er tot nu toe voor gekozen om alleen de primaire partijen uit te nodigen.
Een ander lid vraagt de spreker waarop zijn zorgen gebaseerd zijn dat er teveel
sprake zou zijn van verknoping van de prijsonderhandeling en de inhoudelijke
75 kant van het arrangementen bij decentrale arrangementen? Hij legt uit dat het
Zorginstituut bij centrale arrangementen optreedt als onafhankelijke partij. Bij

80 decentrale arrangementen heeft de industrie geen zicht hoe deze tot stand komen en is er dus geen onafhankelijke partij, zoals het Zorginstituut, betrokken. Het lid vraagt of de VIG concrete signalen heeft ontvangen hierover. Hij geeft aan dat hij het antwoord op die vraag schuldig moet blijven en dat hij het antwoord bij de consultatiereactie zal meenemen. Er zijn geen verdere vragen. De voorzitter bedankt de heer Bertens voor zijn inbreng.

85 De voorzitter opent de discussie. Een lid heeft een suggestie voor het stuk over toegankelijkheid. Je kunt kijken naar de toegankelijkheid van een middel of naar de zorg als geheel. Een middel is misschien wel toegankelijk maar vergoeden ervan gaat misschien wel ten koste van toegankelijkheid elders in de zorg. Hij geeft de suggestie om deze kant van toegankelijkheid ook een plaats te geven in het rapport. Een ander lid vindt het rapport heel informatief, maar niet informatief
90 genoeg. Zo zou zij bijvoorbeeld van de duurste tien middelen graag inzichtelijk hebben wat de effectiviteit is op de lange termijn. Dus met betrekking tot vraag 2 aan de commissie zou zij graag zien dat de volgende monitor meer inzicht geeft in de effectiviteit op de lange termijn van een aantal zeer dure middelen. Een ander lid deelt deze mening. Een andere wens van hem zou zijn om een bredere
95 discussie te voeren over wat er met de prijs gebeurt van middelen die uit patent gaan. Nu staat het alleen voor de Gaucher middelen geconcludeerd, maar hij zou deze discussie graag breder voeren. Een vraag die hij heeft is of de periode van marktexclusiviteit nog wel nodig is, als we zien dat prijzen na die periode eigenlijk nauwelijks dalen. En als we dat zien is, zou dat wat hem betreft een reden zijn om
100 te gaan herbeoordelen. Een ander lid zou graag meer inzicht willen in wat er gebeurt bij de arrangementen. Doen ze wat ze moeten doen, zijn er harde criteria afgesproken en komt de pakketvraag om de hoek kijken? Het is van belang dat fabrikanten data ter beschikking gaan stellen voor analyses die kunnen worden uitgevoerd door het expertisecentrum. Dat komt niet van de grond en dat moet
105 inzichtelijk worden om te kunnen verbeteren. Een ander lid concludeert wederom dat de werkelijkheid minder maakbaar is dan de ACP in haar adviezen verwacht. Het komt nog steeds voor dat registraties niet van de grond komen en dat ziekenhuizen en patiënten niet mee willen werken aan dataverzameling. Hij heeft het gevoel dat weesgeneesmiddelen nauwelijks op het netvlies staan bij
110 ziekenhuizen. Dat heeft ook gevolgen voor de berekeningen waarop de ACP zijn adviezen baseert. De ACP stelt eisen aan de vergoeding van dure weesgeneesmiddelen, maar partijen hebben daar nauwelijks middelen voor. Hij is van mening dat er condities geschept moeten worden, zodat ziekenhuizen dit goed kunnen organiseren. Een ander lid deelt deze visie, maar stelt de vraag wat de rol van de ACP hierin is. Het andere lid vraagt zich af of er geen onderzoek moet komen naar de knelpunten bij de uitvoering van de arrangementen. Registreren aan de bron zou ideale wereld zijn, maar een lid geeft aan dat zij dit voorlopig nog niet ziet gebeuren. Een medewerker geeft aan dat de
115 uitvoerbaarheid van registers een onderdeel is van de uitvoeringstoets 'Regie op registers'. Het Zorginstituut gaat met behulp van partijen de knelpunten in kaart brengen. Het eerdere lid zou graag zien dat de horizonscan een signaalfunctie krijgt voor het opzetten van registers. Op deze manier kan er al data over zeldzame aandoeningen beschikbaar komen voordat een middel op de markt komt. Een ander lid deelt deze mening. Nu zijn partijen altijd achteraf bezig. Het
120 vroeg starten met een register geeft partijen ook de gelegenheid tijdig na te denken over doelmatige inzet van het middel dat eraan komt. Het zou een mooie pilot zijn om dit eens een paar keer te proberen.

130 De voorzitter vraagt de leden om zich weer te richten op de monitor die voor hen
ligt. Hij concludeert dat de leden niet tot andere conclusies komen dan de
conclusies die reeds in het rapport staan. Hij heeft wel een aantal suggesties
gehoord voor de volgende monitor en vat deze als volgt samen. Graag zou de
commissie meer willen weten over de effectiviteit op de langere termijn van een
aantal dure middelen. Op moment van toelating zijn er altijd veel beloftes over de
135 mogelijke effecten op de lange termijn en de commissie is erg geïnteresseerd in
de vraag of dat in de praktijk ook gevonden wordt. De commissie adviseert om
ook met deze blik te kijken naar de weesgeneesmiddelen-arrangementen die nu
centraal en decentraal lopen of op termijn worden opgesteld. Een ander
140 onderwerp dat de commissie aandraagt is een bredere discussie over het
uitblijven van een aanzienlijke prijsdaling na afloop van de periode van
marktexclusiviteit. Waarbij de commissie zich afvraagt of een systeem met een
periode van marktexclusiviteit wel nodig is als prijzen na de hand niet aanzienlijk
dalen. Het niet dalen van de prijs na aflopen van periode van marktexclusiviteit
145 kan reden zijn om te gaan herbeoordelen. Tot slot concludeert de commissie dat
ook uit deze monitor weer naar voren komt dat het niet vanzelfsprekend is dat de
afspraken die vastgelegd worden in een weesgeneesmiddelen-arrangement in de
praktijk opgevolgd worden. Dit is vaak geen onwil, maar veelal is er sprake van
beperkte middelen om het goed te organiseren. Dit is en blijft een aandachtspunt.
De knelpunten in de uitvoering worden nader onderzocht in het lopende project
150 'Regie op registers'. De eerste stappen worden gezet om in kaart te brengen waar
het precies knelt.

De voorzitter vraagt de leden of zij zich kunnen vinden in deze samenvatting. Dat
is het geval. Het secretariaat zal dit uitwerken tot een advies dat nog zal worden
155 voorgelegd aan de leden. De voorzitter bedankt de medewerkers van het
Zorginstituut voor hun toelichting.

5 Rondvraag en sluiting

160 Geen van de leden maakt gebruik van de rondvraag. De voorzitter bedankt
iedereen voor zijn aanwezigheid en sluit de vergadering.



Zorginstituut Nederland

Monitor weesgeneesmiddelen 2019

ACP 20 september 2019

Angèl Link
Daisy Duell
Marijke Delsing
Laura Snyders
Lisanne Dennessen
Linda van Saase
Lonneke Timmers

| Van goede zorg verzekerd |



3^e Monitor weesgeneesmiddelen

- Focus van deze monitor:
 - Ontwikkeling van de kosten en volume van weesgeneesmiddelen;
 - Selectie weesgeneesmiddelen met een hoog risico basisverzekering (Gaucher);
 - Monitoren de lopende centrale en decentrale weesgeneesmiddelen-arrangementen;
 - Onderzoeken stand van zaken toegankelijkheid van weesgeneesmiddelen in Nederland.
- Doel monitor:
 - Monitoren toepassing weesgeneesmiddelen;
 - Ervaringen met weesgeneesmiddelen-arrangementen delen
 - Rapporteren over (verbeterde) gepast gebruik/kosteneffectiviteit
 - Signaleren/agenderen onderwerpen



ACP advies 2018 stand van zaken

- RvB bijna hele advies ACP overgenomen met uitzondering van advies herbeoordelen geneesmiddelen voor MPS I, II en VI
- RvB advies in beraad genomen
- RvB besloten tot tweetrapsraket
 - Partijen in de gelegenheid stellen weesgeneesmiddelen-arrangement op te stellen, kritisch naar start- en stopcriteria kijken;
 - Partijen in de gelegenheid stellen de prijs te onderhandelen.
 - Indien niet het gewenste resultaat zal het Zorginstituut alsnog overgaan tot herbeoordelen

3



Sinds vorige monitor

- Start **Ronde tafel weesgeneesmiddelen**.
 - Informatie uitwisselen;
 - Knelpunten inventariseren;
 - Oplossingen bedenken;
 - Planning en prioritering opstellen weesgeneesmiddelen-arrangementen, in ieder geval MPS, Gaucher, Pompe en Fabry.
- Partijen hebben niet stil gezeten en voor vier weesgeneesmiddelen, die niet door het Zorginstituut beoordeeld zijn, **weesgeneesmiddelen-arrangementen (decentraal)** inclusief prijsonderhandeling opgesteld.

4



Weesgeneesmiddelen ziekte van Gaucher (1)

- Onbehandeld een **ernstige ziekte**. Symptomen: miltvergroting m.a.g. afbraak rode bloedcellen en bloedplaatjes leidend tot bloedarmoede en verhoogde bleedingsneiging. Afwijkingen aan skelet en botpijn.
- Door **komst van weesgeneesmiddelen** kunnen patiënten een **vrijwel normaal leven** leiden (skeletproblemen onomkeerbaar)
- Vier weesgeneesmiddelen geregistreerd:
 - imiglucerase (1997) (153.000 euro pppj)
 - miglustat (2002) (in de praktijk nauwelijks gebruikt)
 - velaglucerase alfa (2010) (168.000 euro pppj)
 - eliglustat (2015) (96.000 euro pppj)
- Expertisecentrum gebruikt **strikte start- en stopcriteria** en een **veel lagere dosering** dan door de fabrikant bepaald.

5



Weesgeneesmiddelen ziekte van Gaucher (2)

- **Nauwelijks in prijs gedaald** na komst concurrentie en verlopen marktexclusiviteit.
- Mogelijk **overheveling** van GVS naar intramuraal
 - Advies ZIN: **prijsonderhandeling**
- Door **tijdelijke tekorten** aanwijzingen subgroep met een nog lagere dosering toe kan of tijdelijk **behandeling staken** totdat biomarkers verergering van de ziekte laten zien
 - Advies ZIN: **onderzoeksbudget beschikbaar** stellen

6



Overige bevindingen

- Tussen 2013 en 2017 heeft een stijging van het totaal vergoede bedrag plaatsgevonden van €195 naar €272 miljoen. Stijging van 39% over 5 jaar met een gemiddelde stijging van 9% jaarlijks.
- Over deze vijf jaar steeg ook het aantal patiënten dat met deze middelen behandeld wordt, van 5000 naar 6900. Dat is een stijging van 38%.
- Toegankelijkheid van weesgeneesmiddelen onduidelijk. Een voorlopige conclusie doorlooptijden lopen sterk uiteen. Veel mogelijke verklaringen voor een langere doorlooptijd. Verdiepingsonderzoek loopt.
- Horizonscan: 57 nieuwe niet-oncologische weesgeneesmiddelen of indicatie-uitbreidingen zijn de komende jaren te verwachten

7



Monitor 2020

- Vervolg onderzoek toegankelijkheid
- Stand van zaken weesgeneesmiddelen-arrangementen
- Tijd en energie steken in totstandkoming weesgeneesmiddelen-arrangementen voor MPS (I, II en VI), Gaucher, Fabry en Pompe en jaarlijkse rapportages in monitor.

8



Vragen ACP

1. Komt u na lezen van de conceptmonitor tot andere conclusies dan reeds beschreven staan?
2. Welk onderwerp zou volgens de ACP in de monitor 2020 (meer) aandacht behoeven?

Geachte leden van de ACP,

Voor u ligt een derde monitor weesgeneesmiddelen. Het is ook de derde keer dat ik een paar woorden tot u mag richten over deze publicatie. Waarvoor opnieuw dank. Dit doe ik graag omdat weesgeneesmiddelen en de zorg voor patiënten met een zeldzame ziekte ons nauw aan het hart ligt. Patiënten met een zeldzame aandoening hebben net zo goed recht op een behandeling als patiënten met een ziekte die meer voorkomt. Gelukkig komt voor steeds meer patiënten een behandeling dichterbij. Gevoed door de al maar toenemende wetenschappelijke kennis over (zeldzame) ziektes en de groeiende technologische mogelijkheden werkt onze industrie volop aan nieuwe behandelingen.

Met deze achtergrond is een publicatie als de monitor een hele belangrijke. Als bron van feitelijke informatie, maar ook om inzicht te krijgen in de zorg voor zeldzame aandoeningen in Nederland. Dit keer is er speciaal aandacht voor de toegankelijkheid van niet-oncologische weesgeneesmiddelen. Hier zijn wij verheugd over. Wij krijgen regelmatig berichten dat de beschikbaarheid van weesgeneesmiddelen in Nederland achter uit gaat. Eerder dit jaar presenteerde een medewerker van marktonderzoeker IQVIA op een congres van Eurordis een verontrustend onderzoek naar de toegankelijkheid van weesgeneesmiddelen in Europa¹. Uit de gepresenteerde data bleek dat slechts circa 38% van de weesgeneesmiddelen toegankelijk was voor Nederlandse patiënten. Hiermee scoort ons land fors minder dan onze buurlanden, het Verenigd Koninkrijk of de Scandinavische landen. We zijn vergelijkbaar met landen als Slovenië en Slowakije.

Wij zijn dan ook heel verheugd met de onderzoeksopdracht aan Zorgvuldig Advies. De eerste fase van hun rapport is vooral een feitelijke analyse van de huidige situatie. Maar ook met een zorgwekkende waarneming: slechts 23 van de 45 onderzochte weesgeneesmiddelen zijn daadwerkelijk beschikbaar gekomen voor Nederlandse patiënten. Interessant is wat de invoering van het pakketbeheer weesgeneesmiddelen in oktober 2015 heeft betekend en of onze analyse dat de instroom sindsdien vooral tot stilstand is gekomen wordt bevestigd. Maar .. we moeten vooral ook vooruitkijken – we zijn benieuwd naar de finale rapportage, waar ook oplossingsrichtingen gepresenteerd worden om de teleurstellende situatie in ons land te verbeteren.

In de monitor zelf vallen ook een aantal zaken op. Ten eerste dat de kostenstijging gelijke trend houdt met het aantal behandelende patiënten. Hier mag best over uitgeweid worden. Wij vinden het daarnaast jammer dat het bedrijfsleven als enige partij niet betrokken is bij de ronde tafel weesgeneesmiddelen of bij de totstandkoming van weesgeneesmiddelarrangementen. Zaken als specifieke kennis over het weesgeneesmiddel zelf en best practices uit andere landen worden zo niet optimaal gedeeld. Verder vragen wij ons af of het Zorginstituut voldoende zicht heeft op de inhoudelijke aspecten van decentraal afgesproken arrangementen. Wij zien daar een risico dat prijsonderhandelingen en inhoudelijke zaken door elkaar gaan lopen. Het zou goed zijn als het Zorginstituut de afgesloten decentrale arrangementen analyseert.

Bij het schetsen van de kostenontwikkeling voor imiglucerase wordt voorbijgegaan aan de kostendaling van circa 20% die in de afgelopen jaren heeft plaatsgevonden door werking van de WGP. Daarnaast leidt het voorschrijven van lagere doses dan in het label staan natuurlijk ook tot lagere kosten. Ik neem aan dat hiervoor in de finale versie van de monitor nog kan worden gecorrigeerd.

¹ http://download2.eurordis.org.s3.amazonaws.com/symposium/2019/Presentations/Breakout_3_Angela_McFarlane.pdf

Daarnaast hebben wij ook vragen over de redenen voor mogelijk toekomstige weesgeneesmiddelarrangementen voor de ziekten van Pompe en Fabry. Deze zijn niet in lijn met de vaststelling in de vorige edities van de monitor dat de werkwijze van de twee expertisecentra bij deze indicaties als voorbeeld kan dienen voor toekomstige arrangementen. Het is correct dat die werkwijze nooit is geformaliseerd als weesgeneesmiddelarrangement maar ik vraag me af of dit nog iets toevoegt.

We hebben ondertussen de uitnodiging gekregen om ook schriftelijk te reageren op de conceptmonitor, waarvoor dank. Dit geeft ons ruimte voor een meer gedetailleerde reactie, waar we nu geen tijd voor hebben. Deze krijgt u tijdig van mij.

Dr. Peter Bertens
Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen
ACP 20 september 2019