

Vergaderjaar 2024–2025

29 477

Geneesmiddelenbeleid

Nr. 933

BRIEF VAN DE MINISTER VAN VOLKSGEZONDHEID, WELZIJN EN SPORT

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 12 mei 2025

Hierbij stuur ik u de volgende drie documenten die ik de afgelopen periode heb ontvangen van het Zorginstituut:

- Evaluatie voorwaardelijke toelating (VT) weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals*, 11 februari 2025 (zie bijlage 1)
Dit is de tweede procesmatige evaluatie, de eerste is op 17 augustus 2022 met uw Kamer gedeeld¹.
- Voortgangsrapportage VT over het jaar 2024, 27 februari 2025 (zie bijlage 2).
Dit is de derde voortgangsrapportage. De voortgangsrapportage over het jaar 2023 is op 4 september 2024 met uw Kamer gedeeld². De voortgangsrapportage bevat ook een vooruitblik. Daarin wordt vermeld dat de voorgestelde gecombineerde VT voor de geneesmiddelen Evrysdi en Spinraza helaas niet door zal gaan.
- Advies over de vroegtijdige beëindiging van het VT van Translarna, 17 april 2025 (zie bijlage 3).

Voorwaardelijke Toelating

De procedure voor voorwaardelijke toelating (VT) van weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals* is in oktober 2019 door het Zorginstituut en het Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport opgesteld en geïntroduceerd als permanente regeling. Patiënten met een vaak ernstige zeldzame ziekte waarvoor nog geen goede behandeling is, kunnen via deze procedure in aanmerking komen voor vergoeding van en daarmee toegang tot veelbelovende geneesmiddelen, die vanwege onvoldoende bewijs nog niet voldoen aan de stand van de wetenschap en praktijk (effectiviteit).

¹ Kamerstuk 29 477, nr. 783

² Kamerstuk 29 477, nr. 904

Eén van de voorwaarden is dat het geneesmiddel is geregistreerd door het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA), met de status van weesgeneesmiddel, *conditional* of *exceptional*. Gedurende de VT wordt (aanvullend) onderzoek gedaan naar de effectiviteit van het middel, zodat aan het einde van het traject een uitspraak gedaan kan worden over opname in het basispakket. Voor de VT geldt een jaarlijks budget van circa € 36 miljoen.

Procesmatige evaluatie

De uitvoering van de VT-procedure wordt elke twee jaar geëvalueerd door het Zorginstituut. Op die manier kan tijdig worden bijgestuurd, mochten er uitvoeringsaspecten zijn die een optimale werking van de VT in de weg staan. De voortgang van de lopende VT-trajecten is geen onderdeel van deze evaluatie, deze worden besproken in de voortgangsrapportage, die ook via deze brief met uw Kamer wordt gedeeld.

Het Zorginstituut concludeert opnieuw dat er behoefte is aan een procedure voor voorwaardelijke toelating, maar constateert ook dat er verbeterpunten zijn. Uit de evaluatie volgen aanbevelingen voor het Zorginstituut, zoals versnelling van het opstellen van het convenant, en een aantal aanbevelingen voor vervolgacties door VWS.

- Onderzoeken of en hoe het selectie criterium «het betreft een geneesmiddel dat is geregistreerd door het EMA en de status heeft van weesgeneesmiddel, *conditional* of *exceptional* voor de benoemde indicatie in het dossier voor voorwaardelijke toelating» aangepast zou moeten worden om geneesmiddelen waarvoor een VT gewenst is, ook daadwerkelijk in de VT te kunnen laten instromen.
- Samen met het Zorginstituut en Zorgverzekeraars Nederland (ZN) de mogelijkheden te verkennen voor een gemeenschappelijke procedure voor voorwaardelijke toelating waarbij de sterke punten van zowel het Orphan Drug Access Protocol (ODAP), het Drug Access Protocol (DAP) als de VT worden benut.
- Registratiehouders vragen om meer transparantie over de budgetoverwegingen die meewegen bij het overeenkomen van een verlaagde prijs gedurende VT.
- Verder geeft het Zorginstituut opnieuw bij VWS de noodzaak en behoefte aan van een onafhankelijke financiering van patiëntenorganisaties, beroepsgroepen en dataverzameling in trajecten zoals de VT.

De aanbevelingen voor het Ministerie van VWS zijn meer beleidsmatig van aard en zullen worden meegenomen in de lopende beleidsmatige evaluatie van de VT-procedure. Dit is besproken met het Zorginstituut. De beleidsmatige evaluatie door VWS dient elke vijf jaar te worden uitgevoerd. Dit jaar vindt de eerste evaluatie plaats. In de beleidsevaluatie van VWS wordt beoordeeld of de doelstellingen van het beleid worden behaald, of het budget toereikend is om deze doelstellingen te behalen en of er andere ontwikkelingen zijn die aanleiding geven tot aanpassing van het beleid. De resultaten van de beleidsmatige evaluatie worden in de zomer verwacht.

Voortgangsrapportage

Het Zorginstituut brengt jaarlijks een voortgangsrapport uit, waarin ook wordt geadviseerd over eventuele aanpassing of beëindiging van een VT-traject. Deze voortgangsrapportage betreft de volgende VT trajecten: Natpar (rhPTH 1–84) en Translarna (ataluren). Ook geeft het Zorginstituut een vooruitblik.

Natpar

Natpar was voorwaardelijk toegelaten voor patiënten met chronische hypoparathyreoïdie. Het Zorginstituut heeft eerder geadviseerd om het VT-traject van Natpar voortijdig te beëindigen vanwege een productiestop³. Mijn voorganger heeft dit advies opgevolgd en de VT per 1 mei 2024 beëindigd. Behandelaren en patiënten hebben voldoende extra tijd gekregen om over te stappen naar een alternatief. Deze informatie is eerder ook al met uw Kamer gedeeld⁴.

Translarna

De voortgangsrapportage over Translarna bevat informatie die grotendeels al eerder met uw Kamer is gedeeld. Translarna is sinds 2021 voorwaardelijk toegelaten voor patiënten met de ziekte van Duchenne. Het benodigde onderzoek voor een uitspraak over pakketopname bestaat uit een internationale studie. Deze studie is beoordeeld door het wetenschappelijk comité (CHMP) van het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA). Eerder heb ik u al laten weten dat de CHMP heeft geadviseerd de handelsvergunning van Translarna niet te vernieuwen vanwege gebrek aan werkzaamheid⁵.

Vooruitblik

In de vooruitblik laat het Zorginstituut weten dat de eerder door hen voorgestelde gecombineerde VT (Evrysdi en Spinraza) voor patiënten met spinale musculaire atrofie (SMA) helaas niet door zal gaan. Inmiddels is het Zorginstituut in gesprek met de registratiehouder van Evrysdi om de mogelijkheden te verkennen voor een losstaand VT-traject voor patiënten die ouder zijn dan 25 jaar en niet behandeld kunnen worden met Spinraza. Zoals ik u eerder heb laten weten⁶ ben ik me zeer bewust van het belang van deze behandeling voor patiënten. Ik zal me hier, binnen mijn mogelijkheden, voor blijven inzetten.

Het Zorginstituut hoopt dit jaar te kunnen adviseren over een VT voor Libmeldy, een geneesmiddel voor de zeldzame en erfelijke stofwisselingsziekte metachromatische leukodystrofie (MLD), mits de betreffende partijen tot overeenstemming komen over het convenant waarin het onderzoek wordt beschreven. Verder wordt per 1 april op advies van het Zorginstituut gestart met een VT voor Revestive, een geneesmiddel voor patiënten met kortedarmsyndroom.

Voortijdige beëindiging VT Translarna

Na afronding van de voortgangsrapportage heeft het Zorginstituut mij laten weten dat de Europese Commissie (EC) het negatieve advies van de CHMP heeft overgenomen (zie bijlage 3). Dit betekent dat Translarna van de Europese markt wordt gehaald.

Daarmee is het ook niet langer mogelijk het middel aan Nederlandse patiënten te verstrekken en zal de VT worden beëindigd. Patiënten en behandelaars zijn hierop voorbereid, maar ik begrijp dat deze uitkomst toch teleurstellend is.

³ Kamerstuk 29 477, nr. 851

⁴ Kamerstuk 29 477, nr. 904

⁵ Kamerstuk 29 477, nr. 904

⁶ Kamerstuk 29 477, nr. 884.

Tot slot

Ik zal mij de samen met het Zorginstituut en andere relevante partijen inzetten om de aanbevelingen uit bijgevoegde procesmatige evaluatie op te pakken. Ik kijk ook uit naar de aanbevelingen uit de lopende beleidsmatige VT evaluatie en vertrouw erop dat de vervolgacties zullen leiden tot verdere verbetering van het toelatingsproces van geneesmiddelen met onzekerheid over stand van de wetenschap en praktijk.

De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,
M-F. Agema