

De patiënt moet voortaan bepalen wat farmaceut maakt

Karel Berkhout 3 maart 2017

Geneesmiddelen Patiënten moeten meer inspraak krijgen in de medicijnontwikkeling. Dat maakt het onderzoek gericht, sneller en goedkoper. Een invloedrijke raad bereidt er een advies over voor.

De Nierstichting is al een tijd bezig om fabrikanten een kleine, draagbare kunstnier te laten ontwikkelen. Mocht die nier er ooit komen, dan hoeven nierpatiënten niet meer een paar keer per week naar de kliniek voor een dialyse. Bovendien wordt de dure apparatuur overbodig, waardoor de zorg goedkoper wordt.

„Dit is een heel mooi initiatief, waarbij de patiënten en niet de dokters, de wetenschappers of de fabrikanten bepalen wat er nodig is”, zegt Bas Leerink (54) van de Raad voor de Volksgezondheid en Samenleving (RVS). En dan komt Leerink tot zijn punt: „Op een vergelijkbare manier moeten patiënten straks de ontwikkeling van geneesmiddelen bepalen. Zodat we de geneesmiddelen krijgen die we echt nodig hebben en de uitgaven aan medicijnen beperkt worden.”

Dat laatste is hard nodig, doordat de prijzen van geneesmiddelen in de ziekenhuizen de afgelopen jaren spectaculair zijn gestegen. Alleen al voor kankermedicijnen zijn de uitgaven in vijf jaar verdrievoudigd tot een miljard euro per jaar. Minister Schippers (VWS, VVD) heeft dure medicijnen dan ook bestempeld tot een speerpunt. Vorig jaar vroeg Schippers de invloedrijke RVS om een advies, dat dit voorjaar klaar moet zijn.

In dit advies wordt het „allerbelangrijkste punt” hoe patiënten de ontwikkeling van medicijnen door wetenschappers en fabrikanten doelmatiger kunnen maken, verklapt Leerink. Hij wil nu wel vast ‘wat denkrichtingen’ in het advies schetsen: „Want we willen iedereen die goede ideeën heeft voor de oplossing van het probleem van de dure medicijnen uitnodigen om die aan ons te vertellen. Als raad luisteren wij altijd goed naar experts en betrokken partijen.” De leden van de raad hebben het afgelopen jaar gesproken met tal van partijen in de medicijnontwikkeling, waarover ze ook talloze rapporten hebben gelezen. Dit om, zo zegt Leerink, „een antwoord te vinden op de vraag: wat kan Nederland doen om het ontwikkelen van nieuwe medicijnen hier in Nederland een schwung te geven?”

En wat is dat?

„Om te beginnen zal er iets moeten veranderen aan de manier waarop we nu medicijnen ontwikkelen. Op het moment dat een middel na proefdier-testen wordt onderzocht bij mensen in klinische studies, is de faalkans 90 procent. Onderzoek bij mensen is het duurste onderdeel bij het ontwikkelen van medicijnen, 9 van de 10 middelen redden het niet. Bedrijven betalen natuurlijk ook de kosten van alle niet-gelukte medicijnen. Als de faalkans 10 procent zou zijn, dan zou dat enorm veel uitmaken in wat er terugverdiend moet worden. Daar staan wij in ons advies extra bij stil.”

Hoe?

„We zitten nog in de fase van de verbazing. Dat we denken: hé, dat is toch gek. Hoe komt het dat we zo star blijven vasthouden aan de huidige manier van medicijnontwikkeling, terwijl er zulke hoge maatschappelijke kosten mee gemoeid zijn? Dat zit niet per se in de industrie maar vooral in de wetenschap, waarin biomedische onderzoekers medicijnen ontwikkelen volgens vaste modellen.”

Die modellen, waarbij de ontwikkeling van een geneesmiddel makkelijk 15 jaar duurt, worden al meer dan een halve eeuw gebruikt. Na de proefdiertesten worden nieuwe middelen eerst getest op gezonde proefpersonen, waarbij vooral naar veiligheid en dosering wordt gekeken. Vervolgens wordt de werkzaamheid van een middel getest op patiënten in zogeheten *randomized clinical trials*, RCT's, waarbij een deel van de proefpersonen wel en een deel het middel niet krijgt. Pakken deze dure klinische studies gunstig uit, dan kan registratie worden aangevraagd bij de Europese toezichthouder, de EMA. Leerink: „RCT's zijn vanouds de norm, maar het is de vraag of het met allerlei nieuwe ontwikkelingen niet mogelijk wordt om medicijnen op een andere manier te onderzoeken.”

Hoe dan?

„Onder meer door de digitalisering. Vroeger moest voor een onderzoek het papieren patiëntendossier worden overgezet in een database. Tegenwoordig is er al een database met patiëntengegevens. Dus dat onderzoek kan nu vele malen simpeler en goedkoper gebeuren dan vroeger. Daarnaast zijn patiëntenorganisaties bezig met het verzamelen van ervaringen van alle patiënten om daar empirisch bewijs uit te halen voor wat werkt en niet werkt.”

Dat heeft toch veel minder bewijskracht dan een klinische studie?

„Zeker en niet elk empirisch onderzoek bewijst dat een middel ook echt beter werkt dan een placebo. Maar het is toch interessant om te kijken of je zo vroeg kunt bepalen of het echt de moeite waard is om zo'n heel duur klinisch onderzoek te beginnen.”

Wat kunnen patiënten verder doen bij de medicijnontwikkeling?

„Bepalen wat er wordt onderzocht. Er wordt nog veel voor patiënten gedacht, ook door de industrie die heel erg is gericht op dokters en wetenschappers. Het zou goed zijn als veel duidelijker de echte vraag en de echte behoeften van de

patiënten tot uitdrukking komen. Door de wereldwijde verbondenheid via het web is de kracht van de patiënt toegenomen en blijft toenemen. Die moeten we gebruiken.”

Hoe?

„Neem de verlamningsziekte ALS. Daar is niet echt medicatie voor: de ziekte is progressief en je gaat er op een gegeven moment aan dood en intussen kun je wat doen om de symptomen iets te verzachten. De industrie, de wetenschap en de ziekenhuizen zijn bezig therapieën te ontwikkelen, maar genezing is ver weg. In 2004 is in de Verenigde Staten het platform *Patients Like Me* opgericht door twee broers van iemand met ALS, die dachten: met meer dan 10.000 patiënten bij elkaar hebben we er meer verstand van dan de meeste wetenschappers. Patiënten hebben ongelooflijk veel informatie. Over: wat is het effect van onze voeding, onze medicatie en onze lichaamsbeweging op hoe ik me voel? Dat platform, PLM, heeft aangetoond dat je in één jaar tijd net zoveel informatie boven tafel krijgt als klinisch onderzoek in tien jaar. Dit soort informatie kunnen we allemaal delen op platforms.”

Wat betekent dat voor Nederland?

„Nederland is relatief klein, dus de platforms worden niet zo groot als in de VS. Maar Nederland heeft een goed ontwikkeld zorgstelsel en er zijn patiëntenverenigingen die dit kunnen promoten en groot maken.”

Die verenigingen zitten nu toch vaak dicht op de industrie?

„Klopt, maar deze nieuwe aanpak maakt ze juist sterker en onafhankelijker. Als ze echt invloed krijgen op wat we gaan ontwikkelen dan wordt het deelnemen in een patiëntennetwerk veel interessanter.”

Sommige fabrikanten willen helemaal niet horen dat de helft van de patiënten geen baat heeft bij hun chemokuur

Hoe beïnvloedt de patiëntenvraag het medicijnenonderzoek dan?

„Kankerpatiënten hebben vaak al zelf een conclusie getrokken over hun leven en weten wat ze willen: geen pijn, en een aantal dingen kunnen blijven doen. Onderzoek is vooral gericht op het ontwikkelen van medicijnen die kanker moeten genezen. Als die medicijnen er zijn, willen patiënten wel weten hoe groot de kans is dat ze profiteren van een doorgaans zeer belastende chemotherapie. Daar zijn nu testen voor, maar die zijn wel pas na vele jaren van onderzoek gekomen.

„Als patiëntengroepen echt data gaan verzamelen, kan dit soort ontwikkelingen sneller gaan. Alleen al doordat patiënten hun behoefte krachtiger naar voren brengen, zal het onderzoeksgeld anders worden besteed – dus meer aan testen. Dat wringt wel met andere belangen, want sommige fabrikanten willen helemaal niet horen dat de helft van de patiënten geen baat heeft bij hun chemo.”

Hoe doorbreek je die tegenkrachten?

„Door als samenleving te zeggen: wij willen dit graag. Zo steekt de overheid geld in het topinstituut OncoXL, dat sneller kankermedicijnen op de markt wil brengen. Een voorwaarde voor de subsidie zou kunnen zijn: we willen dat jullie heel duidelijk de wensen van de patiënten laten meewegen in jullie onderzoeksplan. Als dat gebeurt, stimuleert dit ook patiëntenverenigingen enorm.”

Willen patiënten niet altijd koste wat kost een medicijn?

„Nee, dat zien wij niet zo. Meer aandacht voor de uitkomsten die voor patiënten van belang zijn, resulteert er juist in dat er vaak niet gekozen wordt voor doorbehandelen. Een goed voorbeeld is reuma. Registratie en uitkomstmetingen hebben geleid tot minder gebruik van ontstekingsremmers.

Patiënten en patiëntenorganisaties zijn zich bewust van hun maatschappelijke verantwoordelijkheid.”

ANDERE BARRIÈRES

REGELGEVING EN VERGETEN ZIEKTES

De Raad voor de Volksgezondheid en Samenleving (RVS) kijkt in zijn advies over medicijnen niet alleen naar de rol van patiënten. Volgens raadslid Bas Leerink komen ook de volgende punten aan de orde:

Nieuwe initiatieven, zoals de stichtingen Fair Medicine en Cinderella, die proberen om (goedkope) medicijnen in Nederland te ontwikkelen. Fair Medicine kreeg daarvoor een startsubsidie van een paar miljoen euro. Leerink: „Maar de regelgeving kan bijvoorbeeld een barrière vormen. Er zijn veel strenge regels, vastgelegd in dikke boeken, om patiënten te beschermen tegen al te enthousiaste wetenschappers en dokters die misschien de bijwerkingen van een middel onderschatten. Maar die regels maken het ook heel moeilijk voor nieuwe toetreders, vaak kleine beginnende bedrijven. Dus als je alternatieve modellen ontwikkelt, kunnen de regels ervoor zorgen dat je geen steek opschiet.”

De rol van de overheid. Leerink: „De vrije markt heeft ons heel veel gebracht, zoals medicijnen voor dingen waarvoor we anders niets hadden gehad. Maar je ziet ook dat er dingen niet gebeuren, zoals de ontwikkeling van antibiotica die hard nodig zijn. Daar zijn overheidsinitiatieven nodig om te zorgen dat de industrie interesse krijgt. Nederland zou dat best kunnen doen. De aidsremmers zijn een voorbeeld van een flinke impuls die de overheid heeft

gegeven aan een medicijnontwikkeling door onderzoeksgeld ter beschikking te stellen.”

Pioniersfonds. Soms ontdekt iemand iets supersimpels dat zou kunnen helpen, maar dat dan toch niet op de markt komt”, zegt Leerink. „Zo’n pionier krijgt dan bijvoorbeeld te horen: dit is zo eenvoudig, hier kan een bedrijf geen geld mee verdienen. Daar kan de overheid iets mee doen, bijvoorbeeld door een fonds op te richten dat de ontwikkeling financiert.”

CV - BAS LEERINK

Casper Bastiaan (Bas) Leerink(Ermelo, 1962) is sinds april 2013 bestuursvoorzitter van Medisch Spectrum Twente in Enschede, één van de grote niet-academische opleidingsziekenhuizen. Daarnaast is hij voorzitter van de raad van toezicht van ZIO/SHMH in Maastricht, en lid van het dagelijks bestuur van de vereniging van Traumacentra, LNAZ.

Van 2008 tot 2013 is hij lid geweest van de raad van bestuur van Menzis, en in de jaren daarvoor als directeur zorgmanagement verantwoordelijk geweest voor de zorginkoop. In de jaren 1997-2003 heeft hij gewerkt bij McKinsey&Company de laatste jaren als onderdeel van het leiderschapsteam van de gezondheidszorgpraktijk in Europa.

RVS - AANJAGER DEBAT DURE MEDICIJNEN

De Raad voor de Volksgezondheid en Samenleving (RVS) is een belangrijk adviesorgaan, dat een grote invloed heeft op het debat over dure geneesmiddelen. In 2006 adviseerde zijn voorganger om bij de vergoeding van geneesmiddelen voortaan ook te kijken hoeveel een gezond gewonnen levensjaar (een ‘QALY’) mocht kosten.

Deze 'QALY' is in Nederland, anders dan in het Verenigd Koninkrijk, nooit een harde norm geworden. Wel heeft het RVS-advies hier de discussie over dure medicijnen aangejaagd. Zo stak in 2012 een publicitaire storm op nadat Zorginstituut Nederland met de QALY in de hand adviseerde om dure middelen voor Pompe en Fabry niet meer zonder meer te vergoeden. Recentelijk schoot hetzelfde Zorginstituut met de RVS-norm de vergoeding van dure (kanker)middelen af.