

Veelbelovende geneesmiddelen sneller toegankelijk voor patiënten met ernstige en/of zeldzame ziekten

Nieuwsbericht Zorginstituut Nederland | 22-10-2019 | 10:00

Geregistreerde, veelbelovende geneesmiddelen voor ernstige, vaak zeldzame ziekten die vanwege onvoldoende bewijs niet via het basispakket worden vergoed, kunnen in aanmerking komen voor voorwaardelijke toelating. Hiermee komen dergelijke medicijnen beschikbaar voor patiënten met een onvervulde behandelbehoefte. Dit schrijft minister Bruins voor Medische Zorg en Sport in een brief aan de Tweede Kamer. De voorwaardelijke toelating voor weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals zoals het nieuwe beleid officieel heet, is met onmiddellijke ingang van kracht en wordt uitgevoerd door Zorginstituut Nederland.



©Hollandse Hoogte

Werken aan een goed samengesteld basispakket

Het nieuwe beleid past in het streven van de overheid naar een goed samengesteld basispakket en richt zich op de voorwaardelijke toelating van weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals. Dit zijn medicijnen voor ernstige, vaak zeldzame ziekten waarvoor (nog) geen goede behandeling bestaat. Het kan bijvoorbeeld gaan om geneesmiddelen voor chronische aandoeningen met een langzaam progressief karakter, of er is sprake van een kleine patiëntengroep of een die verschillend is van samenstelling. Hierdoor kan het soms jarenlang duren voordat een farmaceutisch bedrijf van een geregistreerd geneesmiddel voldoende klinisch relevant bewijs in handen heeft dat de effectiviteit ervan kan aantonen. Terwijl effectiviteit het belangrijkste criterium is om voor vergoeding via het basispakket in aanmerking te komen.

Maatschappelijk onwenselijke situatie

Volgens minister Bruins ontstaat in de praktijk hierdoor een “maatschappelijk onwenselijke situatie”: patiënten hebben geen toegang tot een geneesmiddel waar zij op basis van de geregistreerde indicatie wél voor in aanmerking komen. Een geneesmiddel waarmee bij hen een onvervulde behandelbehoefte kan worden ingevuld.

Samenwerking is verplicht

Voor het nieuwe beleid is in 2019 een budget van € 24,2 miljoen beschikbaar, oplopend naar € 25,5 miljoen in 2020 en € 26,8 miljoen in 2021. In de praktijk betekent dit dat naar verwachting 2 tot 3 geneesmiddelen per jaar via voorwaardelijke toelating kunnen worden vergoed. Farmaceutische bedrijven met een geregistreerd geneesmiddel, kunnen bij het Zorginstituut een aanvraag doen voor voorwaardelijke toelating. Er moet aan meerdere criteria worden voldaan, onder andere het indienen van een voorstel voor wetenschappelijk onderzoek om de effectiviteit van het middel te kunnen vaststellen binnen de periode van voorwaardelijke toelating. Farmaceuten moeten al bij het indienen van hun voorstel en daarna bij het uitvoeren van hun onderzoek, nauw samenwerken met beroepsgroepen, patiëntenverenigingen en een onafhankelijk kennisinstituut.

Patiënten nemen deel aan onderzoek

De periode van voorwaardelijke toelating mag maximaal 7 jaar (en in bijzondere gevallen 14 jaar) duren. Farmaceuten moeten bij hun aanvraag kiezen binnen welk termijn hun onderzoek zal zijn afgerond en de resultaten ervan aan het Zorginstituut kunnen worden overhandigd en beoordeeld. Patiënten die tijdens de voorwaardelijke toelating in aanmerking willen komen voor vergoeding van het medicijn, moeten verplicht deelnemen aan het onderzoek ernaar.

Prijsonderhandeling door VWS

Nadat het Zorginstituut een geneesmiddel heeft geselecteerd, onderhandelt het ministerie van VWS met het farmaceutisch bedrijf over de prijs die gedurende de voorwaardelijke toelating ervoor zal worden betaald. De overeengekomen prijs moet openbaar worden gemaakt.

Zorginstituut beoordeelt effectiviteit geneesmiddel

Uiterlijk 6 maanden voor het einde van de periode van voorwaardelijke toelating start de beoordeling van het Zorginstituut. De minister voor Medische Zorg en Sport beslist op basis van dat advies of een geneesmiddel vervolgens in het basispakket komt. Partijen moeten vooraf een convenant ondertekenen waarin ze onder meer beloven mee te werken als een geneesmiddel na afloop van de periode van voorwaardelijke toelating toch negatief wordt beoordeeld door het Zorginstituut. Dan kan het middel namelijk niet in het basispakket komen. Bij een positieve beoordeling van de effectiviteit wordt een geneesmiddel wel in het pakket opgenomen.

Het Zorginstituut heeft minister Bruins van VWS geadviseerd om de procedure voor voorwaardelijke toelating iedere 2 jaar te evalueren.