

Nederlandse kinderen niet in de rij voor gratis medicijn

Baby's en peuters met de ernstige, levensbedreigende spierziekte SMA kunnen vanaf volgende maand aanspraak maken op een gratis behandeling met het duurste geneesmiddel ter wereld. Maar tot nu toe zijn daarvoor nog geen Nederlandse kinderen aangemeld.

Ellen de Visser 17 januari 2020



SMA-medicijn Zolgensma, het duurste geneesmiddel ter wereld. Beeld .

Dat zegt Rudolf van Olden, medisch directeur van AveXis, het dochterbedrijf van farmaceut Novartis dat het geneesmiddel produceert.

AveXis gaat vanaf volgende maand iedere twee weken, onder toezicht van bio-ethici, vier kinderen selecteren die het medicijn Zolgensma krijgen. Het middel, dat 1,9 miljoen euro kost, is alleen nog maar in de Verenigde Staten beschikbaar. Onlangs is ook voor Europa een registratieaanvraag ingediend. Op het initiatief van de farmaceut, dat vorige maand bekend

werd, kwam internationale kritiek: er zou sprake zijn van een loterij, waarbij ouders van een ernstig ziek kind moesten meedingen naar een lot voor een gezonde toekomst. Maar Van Olden zegt dat zo'n geblindeerde selectie de eerlijkste manier is om een beperkte hoeveelheid medicijnen zonder vriendjespolitiek over de wereld te verdelen. 'De associatie met een loterij is pijnlijk, daar wil ik niet op worden aangesproken.'

Zolgensma is een vorm van gentherapie. Het medicijn bestaat uit miljarden virusdeeltjes met daarin een stukje dna, dat slechts eenmalig hoeft te worden toegediend. Het wordt nu nog maar in één biotechfabriek geproduceerd, een tweede is net geopend. De productie neemt zes tot negen maanden in beslag. Novartis moet voorraad beschikbaar hebben voor kinderen uit landen waar het medicijn al op de markt is of binnenkort komt, zegt Van Olden. Dit jaar houdt het bedrijf honderd doses over, die gratis beschikbaar komen.

Geen Nederlandse kinderen

Artsen kunnen patiëntjes onder de 2 jaar aanmelden bij de farmaceut. Maar tussen de honderden aanmeldingen uit de hele wereld zitten nog geen Nederlandse kinderen. Waarschijnlijk speelt de grote onzekerheid daarbij een rol, zegt een woordvoerder van patiëntenorganisatie Spierziekten Nederland. Voor SMA-patiënten is sinds kort al een medicijn beschikbaar. Dat middel moet weliswaar levenslang regelmatig met een infuus in het ruggenmerg worden toegediend, maar daar kan wel meteen na de diagnose mee worden begonnen, zodat verdere achteruitgang wordt voorkomen. Daar zullen ouders voor kiezen, denkt de woordvoerder, in plaats van af te wachten of ze kunnen meedingen naar een gratis eenmalige behandeling. Over gentherapie zijn veel ouders bovendien nog wat huiverig, mailt hij, omdat de gevolgen in het lichaam onomkeerbaar zijn.

Jaarlijks worden hier zo'n twintig kinderen met SMA geboren. De aandoening verzwakt de spieren in het lichaam, wat in ernstige gevallen zonder behandeling snel dodelijk kan zijn. Met het nieuwe medicijn wordt de genetische fout aangepakt die de ziekte veroorzaakt. Dat rechtvaardigt volgens de farmaceut de hoge prijs: patiënten hebben aan één behandeling genoeg om te genezen. De eerste kinderen die het medicijn hebben gekregen, zijn nu vijf jaar verder en in goede gezondheid. Onduidelijk is nog wel of dat een garantie is voor levenslang succes.

De komst van Zolgensma staat symbool voor de opmars van genetische behandelingen. Voor tientallen erfelijke ziektes worden momenteel medicijnen ontwikkeld. Negentig onderzoeken verkeren in het eindstadium. Het Nederlandse Zorginstituut buigt zich de komende maanden over de vergoeding van een genetisch medicijn tegen een erfelijke netvliesandoening en een bloedziekte. Deze week werd bekend dat Maastrichtse onderzoekers 3 miljoen euro aan Europese subsidie ontvangen voor de ontwikkeling van een behandeling tegen genetische spieraandoeningen.