

Vergaderjaar 2018–2019

**29 477**

**Geneesmiddelenbeleid**

**Nr. 577**

## **BRIEF VAN DE MINISTER VOOR MEDISCHE ZORG**

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 13 juni 2019

In het Algemeen Overleg Geneesmiddelenbeleid van 6 juni jongstleden heb ik u geïnformeerd over de stand van zaken met betrekking tot het in voorbereiding zijnde voorwaardelijke toelatingstraject van nusinersen (merknaam: Spinraza).

Graag informeer ik u hierbij over het positieve advies dat ik vandaag van het Zorginstituut heb ontvangen<sup>1</sup> en geef ik u inzicht hoe we zo snel mogelijk met partijen toewerken naar de start van het voorwaardelijke toelatingstraject van nusinersen. Het betreft een gezamenlijk traject waarin we als patiënten, behandelaren, ziekenhuis, leverancier en overheid nauw met elkaar optrekken. Alle inspanningen van partijen zijn erop gericht om uiterlijk 1 januari 2020 de behandelingen voor de eerste patiënten op te kunnen starten.

De kern van deze brief is:

- Vanaf nu zetten we concrete stappen in het voorwaardelijke toelatingstraject, waarbij we streven naar start van de eerste behandelingen voor de bredere patiëntengroep per uiterlijk 1 januari 2020. De patiëntengroep onder de 9,5 jaar wordt reeds behandeld.
- De belangrijkste stappen die we nu met elkaar – het UMC Utrecht, de patiëntenvereniging, leverancier en VWS – voorbereiden om te kunnen starten, zijn de volgende:
  - dat het behandelcentrum, het UMC Utrecht, de komende periode de capaciteit uitbouwt om deze grote groep patiënten stapsgewijs in behandeling te kunnen nemen;
  - dat de betrokken partijen (het behandelcentrum, patiëntenvereniging, leverancier) goede samenwerkingsafspraken vastleggen over het traject
  - dat ik tot goede prijsafspraken kom met de leverancier van nusinersen

<sup>1</sup> Raadpleegbaar via [www.tweedekamer.nl](http://www.tweedekamer.nl)

- De patiëntenvereniging is verheugd met het advies van het Zorginstituut en blijft, zo laat ze weten, graag betrokken bij de voorbereidingen van het traject voor de nieuwe patiënten.
- Deze stappen zullen allemaal parallel in gang worden gezet, waarbij de inspanningen van alle partijen erop gericht zijn om uiterlijk 1 januari 2020 de behandelingen voor de eerste patiënten op te kunnen starten.

#### *Verzoek voor indiening voorstel voor de voorwaardelijke toelating*

Zoals u weet wordt nusinersen op dit moment al vergoed voor drie groepen jonge kinderen met spinale musculaire atrofie (SMA) waarvoor het geneesmiddel volgens het Zorginstituut Nederland (hierna Zorginstituut) effectief is bevonden. Voor oudere kinderen en (jong)volwassenen met SMA, grofweg vanaf een leeftijd van 9,5 jaar, heeft het Zorginstituut in zijn advies van 11 februari 2018 geconcludeerd dat nusinersen niet voldoet aan de *stand van de wetenschap en praktijk*. Dat betekent dat het middel niet kan worden vergoed op grond van de Zorgverzekeringswet, waarin is vastgelegd dat verzekerde zorg aantoonbaar effectief dient te zijn. Om deze patiëntengroep toch perspectief te geven op behandeling en de effectiviteit mogelijk in de toekomst wel vast te kunnen stellen, heb ik de leverancier (Biogen) en de onderzoekers gevraagd om een onderzoeksvoorstel voor te bereiden voor de voorwaardelijke toelating. Via deze regeling kunnen veelbelovende behandelingen tijdelijk worden toegelaten tot het basispakket, onder de voorwaarde dat in deze periode de vereiste onderzoeksgegevens worden verzameld om de effectiviteit van de behandeling aan te kunnen tonen. Na afloop van het onderzoek kan het Zorginstituut vervolgens bepalen of de behandeling bewezen effectief is en of deze daarmee blijvend tot het basispakket behoort of niet.

#### *Positief advies Zorginstituut op het onderzoeksvoorstel*

Vandaag heb ik van het Zorginstituut een positief advies ontvangen over de aanvraag door partijen van een voorwaardelijk toelatingstraject voor nusinersen<sup>2</sup>. Het Zorginstituut heeft bij de inhoudelijke beoordeling van het in mei ingediende herziene onderzoeksvoorstel met name getoetst of het onderzoeksvoorstel over zeven jaar voldoende gegevens oplevert om de vraag te beantwoorden of nusinersen voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk. Dat blijkt met het huidige voorstel het geval. Daardoor hebben de patiënten het perspectief dat indien uit de onderzoeksgegevens blijkt dat nusinersen effectief is, het middel voor deze patiënten blijvend – dus ook na de onderzoeksperiode in de voorwaardelijke toelating – beschikbaar is.

Ik wil niet onbenoemd laten dat ik heel blij ben met de inspanningen van de leverancier, de onderzoekers van het UMC Utrecht en de patiëntenvereniging om tot dit onderzoeksvoorstel te komen. Bovendien waardeer ik de actieve ondersteunende rol van het Zorginstituut, dat tijdens het voorbereidingstraject inhoudelijk heeft geadviseerd over de opzet van het onderzoeksplan.

#### *Vervolgstappen*

In het Algemeen Overleg Geneesmiddelenbeleid van 6 juni heb ik tevens aangegeven dat we er daarmee nog niet zijn en dat de voorbereiding van het voorwaardelijke toelatingstraject nog de nodige vervolgstappen kent. De komende periode moet nog een aantal cruciale voorbereidende stappen gezet worden. Deze stappen zijn hieronder beschreven en kunnen allemaal parallel plaatsvinden. Mijn verwachting is dat deze fase met maximale inspanning van alle partijen binnen een half jaar kan worden

<sup>2</sup> Raadpleegbaar via [www.tweedekamer.nl](http://www.tweedekamer.nl)

afgerond. Deze vervolgstappen zijn afgestemd met de betrokken partijen; het is ons aller inzet om zo snel mogelijk, uiterlijk 1 januari 2020, de behandeling voor de nieuwe patiënten stapsgewijs op te starten. De voorbereiding door het behandelcentrum start per direct, zie hieronder.

### 1. Voorbereiding door het behandelcentrum

Het UMC Utrecht is het ziekenhuis dat de behandeling met nusinersen aanbiedt en een gespecialiseerd centrum daarvoor heeft. Gezien zij een grotere groep patiënten gaan behandelen, heeft het UMC Utrecht mij laten weten de capaciteit van het behandelcentrum hierop stapsgewijs uit te bouwen. Dat betekent dat zodra het voorwaardelijke toelatingstraject van start gaat, niet meteen alle patiënten tegelijkertijd in behandeling kunnen worden genomen. Naar aanleiding van het positieve advies ben ik met het UMC Utrecht in gesprek om te bekijken in welk tempo de behandelcapaciteit kan worden opgebouwd.

### 2. Afspraken vastleggen in een convenant

Bij alle trajecten in het kader van voorwaardelijke toelating worden aan de start van het traject samenwerkingsafspraken in een convenant gemaakt met alle betrokken partijen (fabrikanten, behandelaren/beroepsgroep, patiëntenverenigingen, zorgverzekeraars) over de communicatie naar patiënten en over bij welke wetenschappelijke uitkomsten een interventie wel of niet positief zal worden beoordeeld. Het vastleggen van deze afspraken kan nu van start gaan.

Een belangrijk onderdeel van deze nog uit te werken afspraken is het uitwerken van een onderzoeksprotocol, dat moet worden goedgekeurd door een medisch ethische toetsingscommissie (METC). In dit document worden praktische afspraken vastgelegd over de uitvoering van het wetenschappelijke onderzoek

### 3. Financiële afspraken met de fabrikant

Met de leverancier heb ik voorafgaand aan het vergoedingsbesluit in 2018 reeds afspraken gemaakt over de prijs van nusinersen voor alle SMA patiënten bij een eventueel traject voor voorwaardelijke toelating. Deze afspraken hebben echter betrekking op een kortere periode dan de nu voorgestelde looptijd van onderzoek. Om die reden ga ik met de leverancier in gesprek om tot een aanvaardbare prijs te komen voor nusinersen voor de gehele looptijd van het voorwaardelijke toelatings-traject.

Zodra het convenant door de partijen is afgerond, ontvang ik een advies van het Zorginstituut, waarop ik een besluit neem tot het starten van het traject. Als op dat moment ook het behandelcentrum gereed is, kan het voorwaardelijke toelatingstraject direct daarna van start gaan. Uiteraard zijn we in gesprek met partijen over alle uitvoeringsaspecten waaronder ook de financiële consequenties en de bekostiging daarvan.

Zoals ik reeds heb aangegeven verwacht ik op grond van eerdere ervaring met voorwaardelijke toelatingstrajecten én op basis van de benodigde tijd door het UMC Utrecht dat de voorbereiding nog maximaal een half jaar in beslag zal nemen. Dit betreft nog steeds aan ambitieus tijdpad, waarbij ik

er met alle partijen maximaal naar streef om in het belang van de patiënten het voorwaardelijke toelatingstraject nu zo snel mogelijk van start te kunnen laten gaan.

De Minister voor Medische Zorg,  
B.J. Bruins