

4-5-23



Aan

MVWS

Deadline: 18-05-2023

**Directoraat-Generaal
Curatieve Zorg**
Directie Geneesmiddelen en
Medische Technologie

Ontworpen door



Datum Document
-

Kenmerk
3577846-1046734-GMT
Bijlage(n)
-

nota

(ter beslissing)

Verzoek om reactie op brief ALS patiëntenvereniging

1. Aanleiding

De Tweede Kamer heeft een brief van de ALS patiëntenvereniging over de vergoeding van een nog op de markt te komen medicament aan u doorgeleid met het verzoek op de brief te reageren.

De ALS patiëntenvereniging verzoekt u om het geneesmiddel, indien het op de markt komt, direct en zonder voorafgaande pakkettoets te vergoeden, in afwachting van een eventuele sluisperiode.

Het onderwerp is eerder besproken in de afgelopen commissiedebat en er zijn Kamervragen over hetzelfde onderwerp gesteld. De beantwoording daarvan loopt parallel aan die van deze brief.

De beantwoordingstermijn van deze commissiebrief eindigt op 18 mei 2023.

2. Geadviseerd besluit

Ik adviseer u akkoord te gaan met de inhoud van de brief, waarin u aangeeft geen uitzondering op de geldende vergoedingsprocedure te kunnen maken.

3. Kernpunten

De brief van de ALS patiëntenvereniging houdt een pleidooi voor directe vergoeding van een mogelijk aanstaand geneesmiddel voor de behandeling van ALS, nog voordat een eventueel financieel arrangement wordt afgesloten. Argumenten daarvoor zijn de ernst en de sterk progressieve aard van de aandoening.

In uw reactie geeft u aan dat u begrip heeft voor de zeer aangrijpende situatie



waarin ALS-patiënten en hun naasten zich bevinden. U benadrukt dat het belangrijk is om een zorgvuldig besluit over vergoeding van nieuwe geneesmiddelen te nemen. Omwille van gelijkheid met andere eveneens ernstige en momenteel onbehandelbare aandoeningen, kunt u geen afwijkend besluit nemen voor ALS. Wel benadrukt u dat alle partijen een rol kunnen spelen in de snelle beschikbaarheid van product voor patiënten en een efficiënte afhandeling van het vergoedingsbesluit.

Directoraat-Generaal
Curatieve Zorg

Kenmerk
3577846-1046734-GMT

4. Toelichting

Algemeen

Het geneesmiddel dat in de brief wordt genoemd, 'AMX0035', is een combinatie van natriumfenylbutyraat en taurursodiol. Natriumfenylbutyraat is een geregistreerd middel dat ingezet wordt bij chronische ureumcyclusstoornissen. Taurursodiol (tauroursodeoxycholic acid) is vrij verkrijgbaar als voedingssupplement bij galstenen.

Er is door het bedrijf Amylyx een registratie aanvraag gedaan bij het EMA. Op dit moment is nog onduidelijk wanneer er een EMA-besluit genomen wordt, maar eind maart 2023 heeft het wetenschappelijk comité van het EMA (Committee for Medicinal Products for Human Use; CHMP) nadere vragen aan de firma gesteld. De CHMO had nog bepaalde belangrijke bezwaren tegen registratie van AMX0035. De firma dient de aanvullende vragen van de CHMP te beantwoorden alvorens de registratieprocedure kan vervolgen.

Naar verwachting zal er geen EMA-beslissing vallen voor midden 2023 (de firma verwacht op zijn vroegst in het derde kwartaal van 2023¹).

De lijstprijs in de VS na registratie is momenteel \$ 158.000 op jaarbasis. Het Amerikaanse Institute for Clinical and Economic Review (ICER) heeft het product beoordeeld en concludeerde dat "*AMX0035 would only achieve common thresholds for cost-effectiveness if priced between \$9,100 – \$30,700 per year*"².

a. Draagvlak politiek

Het onderwerp is in zowel het commissiedebat geneesmiddelenbeleid als in het tweeminutendebat aan de orde geweest.

Er is vanuit diverse fracties aandacht gevraagd voor de ernst van de aandoening en de noodzaak om ALS-patiënten zo snel mogelijk toegang te geven tot nieuwe, waardevolle geneesmiddelen, maar ook erkennen Kamerleden dat het noodzakelijk is om een zorgvuldig besluit te nemen over nieuwe producten, ook voor zeer ernstige ziekten. Kamerlid Van der Plas heeft een motie ingediend die in grote lijnen overeenkomt met de brief³. De motie is niet aangenomen.

b. Draagvlak maatschappelijk en eenduidige communicatie

Hoewel de ernst van de aandoening tot de verbeelding spreekt en ALS de laatste jaren veel aandacht heeft gekregen, is er ook zorg over de houdbaarheid van uitgaven. Tegelijkertijd zijn er nog veel andere ernstige en

¹ [Amylyx Pharmaceuticals Reports Fourth Quarter and Full Year 2022 Financial Results | Amylyx](#)

² [Amyotrophic Lateral Sclerosis \(ALS\) - ICER](#)

³ Kamerstuk 29477, nr. 814



progressieve aandoeningen waarvoor geen behandeling beschikbaar is. Er is ook een overwegend kritische houding tegenover geneesmiddelenfabrikanten. Dat maakt dat er naar verwachting draagvlak is voor een zorgvuldige afweging over vergoeding, mits snel en efficiënt genomen, naar verwachting kan rekenen op steun.

**Directoraat-Generaal
Curatieve Zorg**

Kenmerk
3577846-1046734-GMT

- c. *Financiële en personele gevolgen*
NVT
- d. *Juridische aspecten haalbaarheid*
NVT
- e. *Afstemming (intern, interdepartementaal en met veldpartijen)*
NVT
- f. *Gevolgen administratieve lasten*
NVT
- g. *Toezeggingen*
Geen.
- h. *Fraudetoets*
NVT

5. Informatie die niet openbaar gemaakt kan worden

Tot personen herleidbare gegevens zijn onleesbaar gemaakt vanwege de bescherming van de persoonlijke levenssfeer.

