

Vergaderjaar 2022–2023

**29 477**

**Geneesmiddelenbeleid**

**Nr. 851**

**BRIEF VAN DE MINISTER VAN VOLKSGEZONDHEID, WELZIJN EN SPORT**

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 30 augustus 2023

Hierbij stuur ik u de Voortgangsrapportage voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals die het Zorginstituut mij op 1 maart heeft gestuurd (zie Bijlage 1).

In oktober 2019 is de procedure voor voorwaardelijke toelating van weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals (hierna benoemd als VT) door het Zorginstituut en het Ministerie van VWS opgesteld en geïntroduceerd. Patiënten met een ernstige aandoening en onvervulde behandelbehoefte kunnen middels deze procedure onder voorwaarden in aanmerking komen voor vergoeding van veelbelovende geneesmiddelen, die vanwege onvoldoende bewijs nog niet voldoen aan de stand van de wetenschap en praktijk. Een van de voorwaarden is dat het geneesmiddel is geregistreerd door het Europees Geneesmiddelen Agentschap (EMA). Nadat er voldoende bewijs is verzameld stroomt het geneesmiddel definitief het basispakket in of uit.

Eén keer per jaar wordt er per VT-traject een bijeenkomst georganiseerd om de voortgang en relevante tussentijdse bevindingen van het VT-traject te bespreken. Naar aanleiding van dit jaarlijkse monitoringsmoment beoordeelt het Zorginstituut de voortgang op basis van onder meer de patiëntinclusie en haalbaarheid van het onderzoekstraject. Hierover brengt het Zorginstituut een rapport uit waarin ook wordt geadviseerd over eventuele aanpassing of beëindiging van de VT-trajecten.

Sinds oktober en november 2021 zijn de eerste drie VT-trajecten gestart voor vier geneesmiddelen:

- entrectinib (Rozlytrek) en larotrectinib (Vitrakvi)
- ataluren (Translarna)
- Recombinant humaan parathyroïd hormoon 1–84 (rhPTH 1–84) (Natpar).

Omdat deze trajecten nu allemaal minimaal één jaar lopen, brengt het Zorginstituut de eerste voortgangsrapportage uit.

Het Zorginstituut adviseert om alle drie de VT-trajecten voort te zetten:

- Het Zorginstituut heeft in juli jl. geadviseerd om entrectinib en larotrectinib (Rozlytrek en Vitrakvi) vanuit de VT definitief in het basispakket op te nemen<sup>1</sup>. De VT voor deze producten wordt daarmee beëindigd.
- Het VT-traject van ataluren (Translarna) zou 1 februari 2024 aflopen. Het Zorginstituut adviseert om de einddatum van het VT-traject van ataluren te wijzigen van 1 februari 2024 naar 1 oktober 2024, vanwege vertraging van het CHMP-advies en de benodigde farmaco-economische (FE)-evaluatie. Recent heeft het Zorginstituut besloten om de criteria voor een vrijstelling van FE-analyse te wijzigen. Door wijziging van deze criteria dient er nu ook voor ataluren een FE-evaluatie aangeleverd te worden als onderdeel van het vergoedingsdossier. Ik heb dit advies overgenomen.
- Het VT-traject van rhPTH 1-84 (Natpar) zal dit jaar voortijdig eindigen vanwege de naderende productiestop. Behandelaren gebruiken het jaar 2023 om hun patiënten over te zetten op een alternatief. Het Zorginstituut adviseert om het voorwaardelijke toelatingstraject van rhPTH 1-84 wel voort te zetten, totdat alle Nederlandse patiënten die nu met rhPTH 1-84 worden behandeld, zijn overgestapt op een alternatief. Er mogen geen nieuwe patiënten worden behandeld met rhPTH 1-84.

Het Zorginstituut verwacht het komende jaar verschillende nieuwe potentiële VT kandidaten aan mij voor te leggen.

De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,  
E.J. Kuipers

---

<sup>1</sup> Pakketadvies entrectinib en larotrectinib (Rozlytrek® en Vitrakvi®) voor de behandeling van volwassen en kinderen met solide tumoren (kanker) met NTRK-genfusie | Advies | Zorginstituut Nederland