



14/0/24

TER BESLISSING

**Directoraat-Generaal
Curatieve Zorg**

Directie Geneesmiddelen en
Medische Technologie

Opgesteld door

Aan

Minister van VWS

Deadline: 03-09-24

nota

Voortgangsrapportage voorwaardelijke toelating
weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals*

Datum

9 augustus 2024

Kenmerk

3941307-1069969-GMT

Bijlage(n)

1. Voortgangsrapportage
Voorwaardelijke
Toelating
2. Kamerbrief

1. Aanleiding

Op 23 mei 2024 heeft het Zorginstituut u de Voortgangsrapportage voorwaardelijke toelating (VT) weesgeneesmiddelen, *conditionals*¹ en *exceptionals*² voor het jaar 2023 gestuurd (zie bijlage 1). Via bijgevoegde Kamerbrief (bijlage 2) deelt u deze voortgangsrapportage met de Kamer.

Ter informatie: op de laatste pagina van deze nota (pagina 4) treft u meer algemene informatie over de voorwaardelijke toelating van geneesmiddelen.

2. Geadviseerd besluit

U wordt geadviseerd akkoord te gaan met het volgende: de voortgangsrapportage te delen met de Kamer, u dient daarvoor bijgevoegde Kamerbrief te ondertekenen.

Deadline: De Kamerbrief kan wachten tot na het Kamerreces (3 september 2024).

3. Kernpunten

Voortgangsrapportage

Eén keer per jaar wordt er per VT-traject door de onderzoeksgroep en/of de fabrikant een bijeenkomst georganiseerd om de voortgang en relevante tussentijdse bevindingen van het VT-traject te bespreken met alle betrokken partijen.

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 voortgangsrapport uit waarin ook wordt geadviseerd over eventuele aanpassing of beëindiging van de VT-trajecten.

De VT is sinds oktober 2019 van kracht. Op 1 september 2023 is de eerste voortgangsrapportage (over het jaar 2022) met de Kamer gedeeld³. Deze tweede voortgangsrapportage betreft de voortgang in het jaar 2023.

¹ Conditionals zijn geneesmiddelen die met voorwaarden tot de markt zijn toegelaten

² Exceptionals zijn geneesmiddelen die onder uitzonderlijke omstandigheden tot de markt zijn toegelaten

³ Vergaderjaar 2022-2023, Kamerstuk 29477 nr. 851.



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

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

- Gecombineerde VT voor entrectinib (Rozlytrek) en larotrectinib (Vitrakvi)
- Individuele VT voor recombinant humaan parathyroïd hormoon 1-84 (rhPTH 1-84) (Natpar)
- Individuele VT voor ataluren (Translarna)

Datum
9 augustus 2024

Kenmerk
3941307-1069969-GMT

Vitrakvi en Rozlytrek

Het VT-traject voor Vitrakvi en Rozlytrek is succesvol afgerond in 2023. Beide geneesmiddelen worden sinds 1 september 2023 vergoed uit het basispakket van de zorgverzekering.

Natpar

Het Zorginstituut heeft eerder geadviseerd om het VT-traject van Natpar voortijdig te beëindigen, vanwege een productiestop van het geneesmiddel⁴. Uw voorganger heeft dit advies opgevolgd en de VT is per 1 mei 2024 beëindigd. Behandelaren en patiënten hebben voldoende extra tijd gekregen om over te stappen naar een alternatief.

VT Translarna

De VT van Translarna loopt tot 1 oktober 2024. Het onderzoek dat nodig is voor de uitspraak over pakketopname van Translarna bestaat uit een internationale studie die wordt beoordeeld door het wetenschappelijk comité (CHMP) van het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA). Na deze beoordeling neemt de Europese Commissie (EC) een definitief besluit over de handelsvergunning (en daarmee markttoelating) van het geneesmiddel. Bij een negatief besluit wordt het geneesmiddel van de markt gehaald. Daarmee is het ook niet langer mogelijk het middel vanuit VT aan Nederlandse patiënten te verstrekken.

Op 26 januari 2024 adviseerde de CHMP om de handelsvergunning van Translarna niet te vernieuwen vanwege gebrek aan werkzaamheid. Uw voorganger heeft dan ook, na advies van het Zorginstituut, besloten deze VT te beëindigen wanneer de EC het advies van de CHMP heeft overgenomen.

Nadat deze Voortgangsrapportage werd geschreven bleek dat de EC heeft besloten om het negatieve advies van de CHMP niet over te nemen. Op dit moment wordt op verzoek van de firma een herbeoordeling van de data uitgevoerd door de CHMP. Het definitieve besluit van de EC op basis van deze herbeoordeling laat nog tot zeker eind 2024 op zich wachten.

Daarom heeft het Zorginstituut geadviseerd om deze VT met 1 jaar te verlengen tot 1 oktober 2025 (zie separate zaak in Marjolein: 1069968). Zodra de EC met een definitief negatief of positief besluit komt, wordt de VT beëindigd. Bij een negatieve uitspraak wordt vergoeding vanuit het basispakket beëindigd. Bij een positieve uitspraak volgt een beoordeling van het Zorginstituut en kan het geneesmiddel, wanneer er sprake is van een positief advies en acceptabele prijs, in het basispakket worden opgenomen. Daarmee wordt de VT ook beëindigd.

Toekomstige VT-trajecten

⁴ Kamerstuk 29477, nr. 851, vergaderjaar 2022-2023.



In de Voortgangsrapportage wordt aangegeven dat er komend jaar nieuwe potentiële VT kandidaten worden verwacht.

Verder wordt vermeld dat teduglutide (Revestive), atidarsagene autotemcel (Libmeldy) en risdiplam (Evrysdi) in 2023 reeds zijn aangemerkt als potentiële VT-kandidaten. Het Zorginstituut verwacht voor deze middelen in 2024 nieuwe VT-trajecten te starten, mits de convenant fase succesvol wordt doorlopen en, voor zover dat niet al gebeurd is, er een financieel arrangement wordt afgesloten. T.z.t. zullen we u op basis van een advies vanuit het Zorginstituut een voorstel doen voor toekomstige VT-trajecten, waar u als minister van VWS een besluit over neemt.

4. Toelichting

a. Draagvlak politiek

Naar verwachting zal deze voortgangsrapportage geen politieke vragen oproepen.

b. Draagvlak maatschappelijk en eenduidige communicatie

Er is maatschappelijk draagvlak voor de voorwaardelijke toelating, en naar verwachting zal deze voortgangsrapportage geen maatschappelijke vragen oproepen. De voorwaardelijke toelating is bedoeld voor patiënten met een vaak ernstige aandoening en onvervulde behandelbehoefte. Zij kunnen via 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 (SW&P).

c. Financiële en personele gevolgen

N.v.t.

d. Juridische aspecten haalbaarheid

N.v.t.

e. Afstemming (intern, interdepartementaal en met veldpartijen)

Er heeft afstemming plaatsgevonden met het Zorginstituut en VWS directies FEZ, Z en WJZ zijn geïnformeerd.

f. Gevolgen administratieve lasten

N.v.t.

g. Toezeggingen

N.v.t.

h. Fraudetoets

N.v.t.

5. Informatie die niet openbaar gemaakt kan worden

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

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

Datum
9 augustus 2024

Kenmerk
3941307-1069969-GMT



Voorwaardelijke Toelating

- Om deel uit te maken van het verzekerd basispakket moeten geneesmiddelen voldoen aan de stand van de wetenschap en praktijk (waarmee een middel als effectief wordt beschouwd).
- Voor sommige geneesmiddelen kan het lastig zijn of langer duren om voldoende gegevens te verzamelen om de effectiviteit aan te tonen. Het gaat dan vooral om (1) weesgeneesmiddelen (dat zijn geneesmiddelen voor zeldzame ziekten), (2) geneesmiddelen die door het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) met voorwaarden tot de markt zijn toegelaten (de *conditionals*) en (3) geneesmiddelen die door het EMA onder uitzonderlijke omstandigheden tot de markt zijn toegelaten (de *exceptionals*).
- Sinds oktober 2019 kunnen deze drie categorieën geneesmiddelen onder voorwaarden worden toegelaten tot het basispakket, dat is de Voorwaardelijke Toelating (VT).
- Gedurende de VT moet aanvullend onderzoek worden gedaan naar de effectiviteit van het middel, zodat aan het einde van het traject een uitspraak gedaan kan worden over de pakketwaardigheid van het middel. Het middel stroomt dan definitief in het basispakket, of stroomt uit het basispakket (indien effectiviteit niet is aangetoond).
- Het doel van de VT is tweeledig: 1) het verder onderzoeken van de effectiviteit van het geneesmiddel om uitspraken te kunnen doen over de pakketwaardigheid, en 2) zorgen voor een tijdelijke en gecontroleerde toegang tot het geneesmiddel voor alle patiënten.
- Om in aanmerking te komen voor VT gelden sinds oktober 2019 onder meer de volgende voorwaarden:
 - Het moet een geneesmiddel betreffen dat geregistreerd is door het EMA en de status heeft van weesgeneesmiddel, *conditional* of *exceptional*, en
 - Er moet sprake zijn van een *unmet medical need* volgens de definitie van het EMA, en
 - De fabrikant is indiener van de aanvraag en daarnaast ondersteunen een onafhankelijke onderzoeksinstituting, behandelaren en patiëntenverenigingen de indiening, en
 - Het moet mogelijk zijn om de effectiviteit te bepalen op basis van de gegevens die met het voorgestelde onderzoek verzameld zullen worden.
 - De effectiviteit moet bepaald kunnen worden binnen de periode van voorwaardelijke toelating.
 - De firma moet zich committeren aan een sterk verlaagde prijs tijdens de periode van VT.
 - De totale uitgaven per individueel middel worden openbaar gemaakt op de begroting van VWS.
- Voor de VT geldt een jaarlijks budget van circa € 36 miljoen. Dit budget is bij start van de VT vastgesteld op basis van een ruwe schatting van het aantal middelen dat per jaar instroomt in de VT.
- Elke vijf jaar dient VWS het beleid voor VT te evalueren op o.a. de doeltreffendheid. Deze VT-evaluatie vindt nu voor het eerst plaats, en wordt dit jaar gestart. Deze evaluatie zal zich o.a. richten op de vraag of de huidige afbakening (weesgeneesmiddel, *conditional*, *exceptional*) en de overige criteria voor de VT nog steeds passend zijn. De uitkomst wordt begin volgend jaar verwacht.

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

Datum
9 augustus 2024

Kenmerk
3941307-1069969-GMT