

**Fabry en Pompe adviezen CvZ**  
**ACP-vergadering 21 september 2012**

Allereerst wil ik waarderende woorden uitspreken richting de mensen van de Fabry Vereniging, uw persoonlijke bijdragen en met name de brieven laten heel goed zien wat de impact is van het ziektebeeld op patiënten en hun naasten.

Tegelijkertijd schetst u ook heel mooi de kloof tussen wat QALY's en ICER's enerzijds betekenen voor gezondheidseconomen en beleidmakers, maar dat u zich aan de andere kant als patiënt volstrekt niet herkent en terugvindt in de door hen gekozen woorden en getallen voor uw ziektebeeld.

Het betekent een en andermaal dat de inbreng van persoonlijke en collectieve ervaringsdeskundigheid van patiënten en hun naasten van sterke toegevoegde waarde is om begrippen als ziektelast, kwaliteit van leven, onderzoeksuitkomstmaten vorm te geven. Het een kan niet zonder het ander.

Tegelijkertijd – en dat geldt ook voor de inbreng vanuit de patiëntengroep met Pompe – laat u ook zien dat het voor u van belang is om goed te kunnen functioneren in een gezin, een baan, een sociale omgeving.

Door de komst van een behandeling wordt dat mogelijk gemaakt en deze maatschappelijke baten komen niet terug in het nu voorliggende CvZ-advies. Deze maatschappelijke baten komen overigens ook slecht terug in QALY-berekeningen, omdat zieke werknemers na verloop van tijd in deze abstracte schets van de werkelijkheid worden vervangen door gezonde werknemers.

Waardering ook voor de arts/onderzoekers Hollak en Van der Ploeg voor hun evaluatieonderzoek. In tegenstelling tot eerdere T = 4 dossiers die hier dit jaar aan de orde waren, is de CFH in grote lijnen content met de wijze waarop u dit evaluatieonderzoek heeft uitgevoerd. En dat is toch een belangrijk verschil met de eerdere dossiers die we hier dit jaar binnen de ACP bespraken.

## 8 januari 2003

Voor mijzelf staat deze dag, deze ACP-vergadering in schril contrast met een bijzondere gebeurtenis op 8 januari 2003 in het AMC, waar arts-onderzoekers vanuit de academische ziekenhuizen in Amsterdam, Leiden en Rotterdam drie zeldzame ziektebeelden bespraken met drie patiënten met die ziekten.

Hemofilie – een zeldzame ziekte, waarvoor al dertig jaar een behandeling beschikbaar was.

De ziekte van Gaucher, net als Fabry een lysosomale stapelingsziekte en

De ziekte van Pompe.

Zowel professor Hollak als professor Van de Ploeg vertelden daar over hun werk, de op gang komende behandeling voor twee tot dan onbehandelbare ziekten. Op de aanwezigen die daar die dag waren, maakten de diverse presentaties een grote indruk. Zoals gememoreerd in de brief van de VSN die vandaag voorligt, maakte het filmpje van een jongen met de ziekte van Pompe die na twee jaar behandeling weer kon lopen, grote indruk. Inmiddels werkt hij in de vol continu dienst. Meer indruk nog maakte het verhaal over zijn broer die géén toegang kreeg tot de trial en in de rolstoel van zijn broer belandde. En dat binnen één familie. Ik gebruik de dia uit die presentatie nog steeds in mijn lezingen over het succes en de problemen rond het zeldzame ziektenbeleid.

Later dat jaar informeerden de mensen die daar toen waren, nog wel eens voorzichtig hoe het was met die mevrouw in die rolstoel. Ook zij kwam nog niet in aanmerking voor de Pompe-trial en zou waarschijnlijk nog maar kort te leven hebben. Gelukkig veranderde dat en Maryze staat nu - in relatief goede gezondheid - vóór de belangen van mensen met de ziekte van Pompe waar ook ter wereld.

Samenvattend, de mogelijkheid een zeldzame ziekte wel of niet te kunnen behandelen, maakt een wereld van verschil uit. Ik heb dit zelf ook mogen ervaren met de komst van een behandeling voor hemofilie. Een behandeling die overigens - volgens RvZ en CvZ normen - ook niet kosteneffectief is.

## De pijn in het CvZ-advies

zit hem voor CvZ dus duidelijk in de hoge kosten van de middelen voor Pompe en Fabry.

Dit had CvZ – zoals velen van u constateren – ook op  $t = 0$  kunnen weten. Welke aanvullende onderzoeksgegevens er de komende jaren ook beschikbaar komen, veel goedkoper zal het er niet op worden.

Zelf ben ik van mening dat behandeling met deze geneesmiddelen mogelijk moet blijven op basis van een aantal door CvZ gehanteerde pakketcriteria, dit zijn:

*De behandeling is noodzakelijk, er is geen alternatieve behandelingsmogelijkheid, het kan niet voor eigen rekening komen en de behandeling gebeurt langzaam en voorzichtig langs de lijnen van de huidige stand van wetenschap en praktijk. De CFH-rapporten constateren voorts dat er sprake is van een therapeutische meerwaarde, zeker bij de ziekte van Fabry en deels bij de ziekte van Pompe.*

Overigens blijkt uit de binnengekomen reacties van alle maatschappelijke organisaties ook dat zij dit standpunt ondersteunen.

Tegenover het stoppen met de behandeling vanwege de slechte uitkomst op kosteneffectiviteit (het eerste CvZ advies van 12 juni 2012), staan de kosten van een patiëntenpopulatie die langzaam maar zeker medisch gezien achteruit zal gaan, moet stoppen met werken (arbeidskrachten die we de komende jaren vooral in de zorg zo hard nodig hebben), meer medische en maatschappelijke ondersteuning nodig heeft, een groter beroep moet doen op het sociaal vangnet van uitkeringen en mantelzorg, WMO-voorzieningen en dergelijke met een langzame maar gruwelijke dood tot gevolg.

Overigens maakt het wel verschil om te komen te overlijden aan een ziekte waarvoor géén behandeling is, dan te moeten overlijden aan een ziekte waarvan je weet dat er wel een behandeling voor is.

Tegenover het stoppen met de behandeling waarvan CvZ de kosten niet op een rijtje heeft gezet, staat ook de enorme kapitaalvernietiging van de tientallen jaren aan onderzoek die aan beide ziektebeelden in Nederland is besteed. Bovendien gaat daar ook een slechte signaalwerking vanuit

naar aanstaande arts/onderzoekers, spin-off bedrijven van academische ziekenhuizen, investeerders en bedrijfsleven. Ook deze kosten zijn niet op een rijtje gezet in het CvZ-advies.

### **Kan het probleem van de slechte kosteneffectiviteit van weesgeneesmiddelen opgelost worden?**

Zeer waarschijnlijk niet op de korte termijn. Het CvZ kan wel meegaan in de door diverse partijen gedane voorstellen om het vooral te zoeken in grotere, in Europees verband opgezette studies vanuit arts/onderzoekers en patientenorganisaties. Yann Le Cam heeft in zijn bijdrage aangegeven in welke richting de expertcommissie EUCERD van de Europese Commissie en EMA hierbij denken.

Ook in het Nederlands Plan Zeldzame Ziekten ([www.npzz.nl](http://www.npzz.nl)), dat voor eind van dit jaar klaar moet zijn, zitten voor CvZ voldoende aanknopingspunten om op een constructieve wijze verder te gaan met het dure geneesmiddelendossier. Bijvoorbeeld door de aanwijzing van expertisecentra voor de behandeling van zeldzame ziektes, zoals nu voor Pompe en Fabry al het geval is. Het Ministerie van VWS kan dit beleid ook verder ondersteunen door de behandeling van weesgeneesmiddelen met een te duur prijskaartje onder te brengen in de WBMV, de Wet Bijzondere Medische Verrichtingen. CvZ zelf heeft ook al de nodige voorzetten hiervoor gegeven in het kader van haar medewerking aan het Conditional Reimbursement Advies van het Apollo Netwerk.

### **Kunnen we ons de dure weesgeneesmiddelen permitteren?**

Dat denk ik wel. Het zal daarvoor wel noodzakelijk zijn dat alle partijen in de zorg meewerken aan het uit het systeem halen van alle perverse prikkels in het huidige zorgsysteem, dat wil zeggen het niet langer vergoeden van onnodige zorg.

Zoals de voorzitter van de KNMG onlangs zei, de discussie over het niet meer kunnen betalen van deze dure middelen is pas aan de orde als alle lucht uit het systeem is.

Eerder al is in deze commissie gesproken over 'Gepast Gebruik'. CvZ heeft daarvoor al een convenant afgesloten met een groot aantal organisaties, waaronder de KNMG en de NPCF. Ook in het rapport Klink

van deze zomer zitten de nodige elementen die aan een verder invoeren van het gedachtengoed van 'Gepast Gebruik' kunnen bijdragen.

Op het moment dat de plannen voor de t = 4 beoordelingen opgezet werden, werd in Nederland ook de marktwerking in de zorg ingevoerd. Ook door de marktwerking zit er nu veel ongebruikt geld in de zorg.

Inmiddels betaalt iedere Nederlander jaarlijks 11 procent van zijn ziektekostenpremie - de premie van zeg maar de maand januari en de eerste helft van februari - om de noodzakelijke reservekas van de zorgverzekeraars in stand te houden. Deze elf procent is twee keer zo hoog als in de rest van Europa het geval is waar minder hoge reserves nodig zijn omdat daar géén sprake is van marktwerking in de zorg. Alleen al uit de rente van dit geld - het gaat om zo'n 4 miljard euro - kan het weesgeneesmiddelenbudget betaald worden.

### **Kan het op de langere termijn goedkoper?**

Dat zal in ieder geval het doel moeten zijn. Het betekent m.i. vooral dat de huidige kennis- en infrastructuur voor zeldzame ziekten in stand moet blijven en dat de Nederlandse overheid en Europa verder moeten werken aan alternatieve en op de langere termijn goedkopere behandelwijzen.

Arts/onderzoekers en patientenorganisaties werken daar al heel hard aan. Er wordt met name door de patientenorganisaties al veel geld bijeengebracht voor dit onderzoek, waarvan onder andere in Parijs een genterapiefaciliteit is gebouwd. Ook financieren patientenorganisaties biobanken en patientenregisters om onderzoek te faciliteren en om gegevens over natuurlijk beloop van zeldzame ziektes te kunnen bestuderen en de werking van nieuwe middelen goed te kunnen evalueren.

In dit verband dient ook de Stichting Alpe d'HuZes genoemd te worden, die inmiddels jaarlijks 30 miljoen Euro voor het onderzoek naar ook zeldzame vormen van kanker financiert.

Een goedkoper product voor de behandeling van de ziekte van Pompe van Nederlandse makelij, had er mogelijk ook al kunnen zijn als in ons land verder gewerkt had kunnen worden met de transgene konijnen van het Leidse biotechnologiebedrijf Pharming. Deze technologie is zo'n 10

jaar geleden getroffen door een politiek 'nee' tegen genetische modificatie. Het is een wrang voorbeeld van Nederlands onderzoek en een gebrek aan politieke moed om van Nederland een innovatieland te maken.

## **Het ministerie van VWS**

Minister Schippers heeft in haar reactie op het Pakketadvies 2012 van CvZ deze zomer een aantal handreikingen gedaan aan CvZ om in de tweede helft van dit jaar de operationalisatie van het begrip kosteneffectiviteit nader uit te werken. Dit geldt ook voor het thema Stringent Pakketbeheer en een vervolg op het rapport 'Pakketbeheer in de Praktijk 2', alsmede een definiëring van de zwaarst te verzekeren zorgbehoeften.

Het lijkt mij goed dat CvZ het advies van vandaag even in de ijskast zet en een uitvoeringstoets gaat maken rond de vergoeding van geneesmiddelen aan de bovengrens van de QALY waarde van 80.000 Euro, zoals de RvZ die in 2006/2007 naar voren heeft gebracht. De elementen die de afgelopen twee maanden naar voren zijn gekomen in de nu ontstane maatschappelijke discussie, kunnen daarbij meegenomen worden.

Afgelopen jaar is de uitvoeringstoets losgelaten op de onderkant van die grens, de lage ziektelast en het lijkt mij nu een prima moment dit te doen voor de hoge ziektelast.

Vervolgens kan de politiek zich uitspreken over de grenzen die de Nederlandse samenleving wil stellen aan de zorg.

Cees Smit, Diemen/Hoofddorp, 21 september 2012

*Dr. Cees Smit vertegenwoordigt het patiëntenperspectief in de Adviescommissie Pakket (ACP) van CvZ. Hij is ervaringsdeskundige op het gebied van chronische ziekten en eredoctor van de Universiteit van Amsterdam (2003). In maart 2012 verscheen van zijn hand het boek 'Een nieuwe horizon, de toekomst van de Nederlandse patiëntenbeweging' ([www.kirjaboek.nl](http://www.kirjaboek.nl)). Dit boek bevat veel informatie over het zeldzame ziektenbeleid in Nederland en in Europees verband.*

Voor verder informatie: [info@smitvisch.nl](mailto:info@smitvisch.nl)