

Input hollandbio voor het Commissiedebat Hulp- en geneesmiddelenbeleid, 30 mei 2024

De dubbele vergrijzing en oplopende personeelstekorten stellen de gezondheidszorg voor grote uitdagingen. Steeds meer patiënten hebben één -of meerdere- behandelingen nodig, terwijl er te weinig handen aan het bed zijn om deze behandelingen te geven. Biotechbedrijven werken nauw samen met wetenschappers en artsen om bij te dragen aan oplossingen, door de gezondheidszorg beter en efficiënter te maken, bijvoorbeeld met de ontwikkeling van vaccins, nieuwe geneesmiddelen en slimme diagnostica. Met resultaat: dankzij continue investering in onderzoek en ontwikkeling kunnen we ziekten steeds vaker voorkomen, eerder behandelen en zelfs genezen.

Met nieuwe ontwikkelingen als cel- en genterapieën en brede DNA-analyse, wordt gezondheid op maat¹ daarbij in rap tempo de nieuwe realiteit. Dat is goed nieuws voor de (toekomstige) patiënt. Want hoewel mensen in veel opzichten op elkaar lijken, zijn we tegelijkertijd ook allemaal uniek. Wat werkt voor de ene patiënt, werkt niet automatisch voor een ander. Dankzij biotech innovatie hebben we steeds beter gereedschap in handen om op die individuele verschillen in te spelen.

Hollandbio roept de Kamer op om tijdens het Commissiedebat Hulp- en Geneesmiddelenbeleid op donderdag 30 mei de minister aan te zetten werk te maken van gezondheid op maat in al haar facetten:

- [De toegang tot nieuwe geneesmiddelen loopt vast](#)
- [Weesgeneesmiddelen zijn het kind van de rekening](#)
- [De ingrediënten voor het mogelijk maken van gezondheid op maat](#)

De toegang tot nieuwe geneesmiddelen loopt vast

Iedereen wil een duurzame, betaalbare en toegankelijke gezondheidszorg. Gezien de grote zorguitdagingen, is dat streven gedoemd te mislukken wanneer we slechts bereid zijn de status quo te handhaven. Vernieuwing is hard nodig. De wijze waarop wij nu met beleid en uitvoer baanbrekende innovaties naar de praktijk proberen te brengen, maakt innoveren helaas steeds duurder en zorgt ervoor dat steeds minder innovaties hun weg naar de praktijk vinden. De lat voor toegang tot innovaties is de afgelopen jaren namelijk keer op keer hoger gelegd² terwijl onze betalingsbereidheid voor gezondheidswinst al sinds 2006 stilstaat, een ontwikkeling die ons grote zorgen baart.

Een behandeling moet zich voldoende bewijzen voor we deze in de praktijk inzetten. Alleen wat is voldoende dan precies? Om kosten te drukken vragen we steeds meer en meer bewijs van het bedrijfsleven om de kosteneffectiviteit van nieuwe geneesmiddelen aan te tonen, voor we daadwerkelijk tot vergoeding overgaan. Maar juist al deze eisen drijven de prijs van geneesmiddelen op: de route van lab naar patiënt wordt hierdoor immers steeds complexer, langer, risicovoller en duurder.

Onderzoek van hollandbio laat zien dat het lang -en in gevallen steeds langer- duurt voordat nieuwe geneesmiddelen de patiënt bereiken³. De langste doorlooptijden horen bij een van de grootste doorbraken in de medische wetenschap van de afgelopen jaren: de cel- en genterapieën. De doorlooptijden van geneesmiddelen die in de sluis zitten zijn lang, en blijven jaar op jaar toenemen. Dat kan en moet beter.

- *Erkent de minister dat het steeds moeilijker wordt om vergoeding voor een geneesmiddel te realiseren in Nederland? Welke stappen zet zij om dit proces te verbeteren en te versnellen? Hoe betreft zij veldpartijen daarbij?*
- *Ziet de minister ook de belangrijkste factoren dat die bijdragen aan deze vertraging onzekerheid over behandelings-effect en prijzen zijn? Welke andere factoren spelen nog een rol? Kan de minister deze*

¹ <https://www.hollandbio.nl/nieuws/praatplaat-gezondheid-op-maat/>

² Illustratief voor deze ontwikkeling zijn de extra eisen ten gevolge van de aangescherpte PASKWIL-criteria door oncologen, de aanpassing van de sluiscriteria, de wijziging van de criteria voor de vrijstelling van de farmaco-economische (FE-)analyse voor extramurale geneesmiddelen, en de recente beslissingen van de minister om de geneesmiddelen Trodelvy en Minjuvi niet te vergoeden.

³ <https://www.hollandbio.nl/nieuws/hollandbio-publiceert-update-doorlooptijden-geneesmiddelen/>



factoren gaan monitoren, in lijn met het advies van SIRM uit de ex-post evaluatie⁴ van de geneesmiddelenvisie⁵?

- Hoe sluit hollandbio's data aan bij het dashboard doorlooptijden geneesmiddelen⁶ dat de minister heeft gerealiseerd? Liggen er ambities om deze data op termijn aan elkaar te knopen, en hoe?
- De vergoedingsstatus van intramurale add-ongeneesmiddelen is niet openbaar, maar alleen inzichtelijk via betaalde toegang tot de G-standaard, in beheer van de Z-index. Acht de minister het ter bevordering van transparantie haalbaar deze gegevens (gratis) openbaar te maken?

Weesgeneesmiddelen zijn het kind van de rekening

Terwijl het voor alle geneesmiddelen moeilijk is om vergoeding rond te krijgen, is de situatie voor weesgeneesmiddelen echt schrijnend. Waar er ongeveer 1 miljoen mensen in Nederland rondlopen met een zeldzame aandoening, is er voor slechts 4% van de circa 6000 zeldzame aandoeningen een weesgeneesmiddel met een marktvergunning, aldus het Europees Medicijnagentschap.⁷ Uit onderzoek van hollandbio blijkt bovendien dat slechts 61% van de weesgeneesmiddelen die tussen 2001 en 2023 een marktvergunning kregen een vorm van vergoeding hebben, en daarmee toegankelijk zijn voor de Nederlandse patiënt⁸. Het MKB blijkt de grootste moeilijkheden te ervaren om een weesgeneesmiddel geregistreerd en vergoed bij de patiënt te brengen, slechts 6% van de weesgeneesmiddelen opgenomen in dit onderzoek zijn geregistreerd door het MKB, en zij ontvangen veel minder vaak vergoeding voor hun middelen dan grotere partijen (33% versus 65%). Dat moet én kan beter.

Het huidige beleid laat patiënten met zeldzame ziekten in de kou staan. Door het complexe systeem van toelating en vergoeding van nieuwe geneesmiddelen in Nederland, bereiken maar weinig producten vergoed en al de eindstreep. Het systeem is er namelijk enorm op gebrand om enkel te vergoeden wat bewezen effectief is, gebaseerd op gemiddelden en populaties. De wetenschappelijke ontwikkelingen staan hier haaks op. Met behulp van diagnostiek en biomarkers zijn we steeds beter in staat om op de persoon toegesneden -en daarmee unieke- behandelingen te ontwikkelen, in te zetten en het effect daarvan te monitoren. We weten, kortom, steeds beter of iets werkt voor het individu, waardoor algemene gemiddeldes voor grote populaties gedateerd, nietszeggend en dus overbodig zijn. Weesgeneesmiddelen vormen daarmee de koplopers in een bredere transitie, waar het zorgstelsel nog niet goed op aansluit. Zonder aanpassing zal het huidige zorgstelsel Nederland steeds meer in de weg staan om de vruchten te plukken van de mondiale trend naar gepersonaliseerde zorg.

- Erkent de minister het beeld dat het moeilijk is om vergoeding voor weesgeneesmiddelen te realiseren in Nederland?
- Welke stappen zet de minister om te zorgen dat er adequate routes komen voor de vergoeding van en toegang tot weesgeneesmiddelen en andere gepersonaliseerde behandelingen?
- Is de minister bekend met het Orphan Drug Access Protocol (ODAP) en kan zij hierop reflecteren? Welke mogelijkheden ziet zij om deze werkwijze breder in te zetten?

De ingrediënten voor het mogelijk maken van gezondheid op maat

Hollandbio pleit voor een andere marsroute om mensen gezondheid op maat te bieden in een duurzaam, betaalbaar en toegankelijk stelsel: in plaats van te vragen om bewijs voordat innovaties de praktijk in mogen, moeten innovaties de kans krijgen zich in de praktijk te bewijzen. Willen we de kansen van al die baanbrekende innovaties realiseren, dan is het aan de Minister om vol en slim te investeren in vooruitgang en te zorgen voor een goedgevulde dokterstas. Wat hollandbio betreft vraagt dat in elk geval om een beleidsklimaat dat innovatie op alle fronten en in alle fases aanjaagt, in plaats van gelijktijdig op het gaspedaal en de rem te trappen. Ook een gezondheidsdata-infrastructuur is wat ons betreft een belangrijke randvoorwaarde. Deze helpt om de implementatie van de juiste innovatie voor de juiste patiënt op het juiste moment te realiseren: het liefst zo vroeg mogelijk, binnen een lerend

⁴ <https://www.hollandbio.nl/nieuws/evaluatie-geneesmiddelenvisie-van-grip-naar-wurggreep/>

⁵ <https://www.rijksoverheid.nl/documenten/kamerstukken/2023/06/16/kamerbrief-over-ex-post-evaluatie-geneesmiddelenvisie>

⁶ <https://www.farmatec.nl/prijsvorming/dashboard-doorlooptijden-geneesmiddelen>

⁷ Zie <https://www.vzinfo.nl/zeldzame-aandoeningen/leeftijd-en-geslacht> en https://www.ema.europa.eu/en/documents/leaflet/infographic-orphan-medicines-eu_en.pdf

⁸ <https://www.hollandbio.nl/nieuws/toegankelijkheid-van-weesgeneesmiddelen-in-nederland-het-kan-beter/>



zorgsysteem⁹. Wij pleiten voor een transitie van het drukken van kosten ten koste van gezondheid, naar een investering in een systeem dat gezondheid op maat¹⁰ omarmt.

We zien dat de minister op vele vlakken helderheid probeert te scheppen en meters probeert te maken, bijvoorbeeld met een visie en strategie op een nationale gezondheidsdata-infrastructuur¹¹, door aan te geven op welke wijze zij innovatieve geneesmiddelontwikkeling kan stimuleren, door de contouren voor een toekomstbestendig stelsel voor de vergoeding van nieuwe geneesmiddelen te schetsen en door in te zetten op het verbeteren en verbreden van de toets op het basispakket¹². Maar waar aan de ene kant gezocht wordt naar het gaspedaal, trapt de minister even hard op de rem voor early access programma's en slimme vergoedingsconstructies, zoals pay for performance¹³. Wij vragen ons af:

- *Is de minister van mening dat de bewijslast voor het wegnemen van onzekerheid rond innovaties volledig bij het bedrijfsleven hoort te liggen? In hoeverre zouden lange termijn effecten, of het effect in de klinische praktijk bij andere patiëntgroepen (al dan niet met meerdere, gelijktijdige aandoeningen) zich in de praktijk moeten uitwijzen? Ziet de minister ook mogelijkheden om in gesprek te gaan over een snellere, passende invoer waarbij bewijs in de praktijk verzameld kan worden? En welke rol kan de data-infrastructuur daar als randvoorwaarde bij spelen?*
 - o *Aangezien bedrijven opeenvolgend bij zowel EMA, als Zorginstituut, als bij de beroepsgroepen data aan moeten leveren om de (meer)waarde van hun nieuwe product aan te tonen en diens plek in het zorgstelsel vast te stellen - en het doen van dergelijke studies leidt tot extra uitgaven en vertraging van de doorlooptijd naar de praktijk voor het bedrijfsleven: welke mogelijkheden ziet de minister om deze processen beter te stroomlijnen?*
- *Kan de minister in samenwerking met de bedrijven, artsen en verzekeraars een overzicht geven van alle mogelijkheden die bestaan op het vlak van (vroeg) toegang tot geneesmiddelen?*
 - o *Kan de minister aangeven op welke manier zij de kosten die firma's maken om een geneesmiddel gedurende de sluisperiode beschikbaar te stellen mee weegt bij het afsluiten van een financieel arrangement?*
 - o *Welke manieren ziet de minister om tijdens de sluisprocedure geneesmiddelen onder voorwaarden beschikbaar te stellen, zonder de verantwoordelijkheid hiervoor alleen bij de fabrikant neer te leggen?*
- *De minister geeft in haar Kamerbrief "Stimuleren innovatieve geneesmiddelontwikkeling" van 19 dec 2023 aan de ontwikkeling van geneesmiddelen te stimuleren. Kan de minister haar acties uiteenzetten langs alle stappen van ontwikkeling, van preklinisch onderzoek tot aan vergoeding? Waar zitten nog hiaten? En welk handelingsperspectief ziet de minister daar, voor zichzelf of voor andere partijen?*
 - o *Waarom richt de minister zich in haar ambitie om geneesmiddelenontwikkeling van begin tot eind te stimuleren enkel om academische onderzoekers en publieke instellingen en niet op bedrijven? Start- en scaleups staan voor dezelfde uitdagingen, zeker op het vlak van financiering voor productontwikkeling. Hoe beoogt zij in alle fases van ontwikkeling, dus ook voor de klinische onderzoeksfases, voor gerichte ondersteuning te zorgen?*
 - o *Geneesmiddelenontwikkeling is extreem risicovol en kostbaar, zowel in een commerciële als academische setting. Op welke manier investeert de minister in onderzoek en ontwikkeling? En in hoeverre kunnen bedrijven (met name start- en scale-ups) aanspraak maken op/profiteren van deze investeringen, aangezien zij een belangrijke rol spelen in het ontwikkelen van geneesmiddelen? Is er een overzicht van deze investeringen?*
 - o *De minister geeft aan geneesmiddelenontwikkeling te willen stimuleren daar waar de maatschappelijke behoefte het grootst is¹⁴. Kan de minister aangeven welke concrete plannen zij heeft om dit te realiseren en welke acties zij hieraan verbindt?*
- *Op welke wijze wil de minister van meer indicatiegedreven registers de stap maken naar bredere databeschikbaarheid, in lijn met de visie en strategie op het gezondheidsinformatiestelsel?*

⁹ <https://www.hollandbio.nl/nieuws/position-paper-de-volle-potentie-van-data/>

¹⁰ <https://www.hollandbio.nl/nieuws/praatplaat-gezondheid-op-maat/>

¹¹ <https://www.hollandbio.nl/nieuws/van-regie-op-registers-naar-regie-op-data/>

¹² <https://www.hollandbio.nl/nieuws/kuipers-verkies-hollen-boven-stilstaan/>

¹³ <https://www.hollandbio.nl/nieuws/early-access-waar-een-wil-is-is-een-weg/>

¹⁴ <https://www.hollandbio.nl/nieuws/kuipers-zoekt-regie-rond-geneesmiddelenontwikkeling/>

