

Ministerie van Volksgezondheid,
Welzijn en Sport

> Retouradres Postbus 20350 2500 EJ Den Haag

De Voorzitter van de Tweede Kamer
der Staten-Generaal
Postbus 20018
2500 EA DEN HAAG

Bezoekadres:
Parnassusplein 5
2511 VX Den Haag
T 070 340 79 11
F 070 340 78 34
www.rijksoverheid.nl

Ons kenmerk
1640858-201231-GMT

Bijlagen
1

Uw brief
22 januari 2020

*Correspondentie uitsluitend
richten aan het retouradres
met vermelding van de datum
en het kenmerk van deze
brief.*

Datum 27 februari 2020
Betreft Kamervragen

Geachte voorzitter,

Hierbij zend ik u de antwoorden op de vragen van het Kamerlid Van Gerven (SP)
over de loting voor SMA-patiënten voor een behandeling met Spinraza
(2020Z00920).

Hoogachtend,

de minister voor Medische Zorg
en Sport,

Bruno Bruins

Antwoorden op Kamervragen van het Kamerlid Van Gerven (SP) over de loting voor SMA-patiënten voor een behandeling met Spinraza (2020Z00920).

1.

Wat is uw reactie op het artikel 'Loting om levensbedreigende spierziekte SMA'?

Antwoord vraag 1:

Ik heb kennis genomen van het artikel 'Loting om levensbedreigende spierziekte SMA'. Het geneesmiddel Spinraza wordt vanaf januari 2020 vergoed voor SMA patiënten ouder dan 9,5 jaar onder de voorwaarde van onderzoek naar de effectiviteit. Nu er vergoeding is, zien patiënten uit naar een snelle behandeling.

Het is niet mogelijk iedereen tegelijk te behandelen. De behandeling is complex, het is immers geen simpele toediening, en vereist opname in het ziekenhuis. Het SMA expertisecentrum UMC Utrecht (hierna: UMCU) heeft voor een eerste groep patiënten een startdatum. De overige patiënten zijn geïnformeerd over de wijze waarop de volgorde van instroom is bepaald. Ik besef dat het voor patiënten en hun naasten een beproeving is om het precieze moment van de start van behandeling niet te weten.

Ik heb een financiële bijdrage toegezegd die het UMCU in staat stelt om te onderzoeken hoe de instroom verder kan worden versneld. Ik heb er vertrouwen in dat het UMCU alles op alles stelt om patiënten zo snel mogelijk te laten instromen en de komende tijd zal ik de voortgang van de behandelingen in het UMCU nauwlettend volgen.

2.

Sinds wanneer is bij u bekend dat de voorwaardelijke toelating per januari via een loting zal plaatsvinden?

Antwoord vraag 2:

Het besluit over deze aanpak werd begin januari genomen door het UMCU. Op 15 januari jl. informeerden het UMCU en de patiëntenorganisatie Spierziekten Nederland de patiënten over de gekozen aanpak. Dat was ook het moment waarop ik werd geïnformeerd over deze beslissing over de aanpak van het UMCU.

3.

Waarom is dit in de beantwoording van herhaaldelijke schriftelijke vragen nooit aangegeven?

Antwoord vraag 3:

Ten tijde van de beantwoording van eerdere schriftelijke Kamervragen¹ over de voorwaardelijke toelating van Spinraza was er nog niets bekend over de wijze waarop de volgorde van instroom van patiënten zou worden bepaald.

¹ Tweede Kamer, Vergaderjaar 2019–2020, nr. 476

4.

Waarom is er voor een loting door een notaris gekozen?

Antwoord vraag 4:

Ik heb hierover navraag gedaan bij het UMCU. Het UMCU geeft aan dat de effectiviteit van Spinraza bij oudere patiënten met SMA niet eerder is onderzocht en dat het daarom onbekend is welke patiënten het meeste baat hebben bij een snelle behandeling. Omdat wetenschappelijk bewijs ontbreekt, is door het UMCU gezocht naar een rechtvaardige wijze om de volgorde van instroom van patiënten te bepalen. Dit vindt plaats op willekeurige wijze zodat iedereen gelijke kansen heeft op een snelle start van de behandeling. Onder toezicht van een notaris is voor iedere patiënt de plek op de wachtlijst bepaald. De volgorde is bepaald voor twee groepen die tegelijkertijd op twee locaties van het UMCU worden behandeld. Daarom is er een wachtlijst voor kinderen tot 16 jaar en een wachtlijst voor patiënten vanaf 16 jaar. Op deze manier wordt elke beschikbare plek benut en kunnen meer patiënten tegelijk starten met de behandeling.

5.

Deelt u de mening dat het onacceptabel is dat de behandeling van patiënten door het lot wordt bepaald en er niet naar de toestand van patiënten wordt gekeken?

Antwoord vraag 5:

Wat betreft de aanpak van het UMCU in dit geval deel ik deze mening niet. De specialisten van het centrum hebben samen met een ethicus eerst op zorgvuldige wijze overwogen of wetenschappelijk bewijs of medische criteria de volgorde van behandeling kunnen bepalen. Zij kwamen tot de conclusie dat dit niet mogelijk is en om deze reden wordt de volgorde nu op willekeurige wijze bepaald. De patiëntenorganisatie Spierziekten Nederland heeft aangegeven deze aanpak te steunen.

6.

Zullen alle Spinale Musculaire Atrofie (SMA)-patiënten via de loting aan de beurt komen? Uiterlijk wanneer komen de laatste patiënten aan de beurt? Waarom start niet voor alle patiënten meteen de behandeling aangezien het convenant af is, het behandelcentrum operationeel is en alle nodige afspraken zijn gemaakt?

Antwoord vraag 6:

Voor SMA patiënten tot de leeftijd van 9,5 jaar wordt Spinraza sinds 1 augustus 2018 vergoed. Nu komt de behandeling via de voorwaardelijke toelating ook beschikbaar voor patiënten ouder dan 9,5 jaar. Alle SMA patiënten uit deze groep komen in aanmerking voor behandeling met Spinraza. Om de volgorde van instroom van deze patiënten te bepalen heeft het UMCU gekozen voor een loting.

Alle SMA patiënten ouder dan 9,5 jaar, voor zover bekend bij het UMCU, hebben bij het UMCU kenbaar kunnen maken dat zij behandeld willen worden en zijn geïnformeerd over de wijze waarop de volgorde van instroom is bepaald. Een voorwaarde voor de vergoeding van Spinraza is wel dat de patiënt deelneemt aan het onderzoek naar de effecten van de behandeling. Verder moet het mogelijk zijn om Spinraza op een medisch verantwoorde wijze via een ruggenprik toe te dienen. Dat zal voor iedere individuele patiënt worden bekeken door de behandelaars.

Door het aantal benodigde ruggenprikken, de complexe zorg daaromheen en de tijd die nodig is voor het onderzoek naar de effecten van Spinraza, is het helaas niet mogelijk om alle patiënten tegelijk te laten starten met de behandeling. Om iedereen zo snel mogelijk te laten starten met de behandeling werkt het behandelteam van het UMCU nu op twee locaties tegelijkertijd. Voor kinderen tot 16 jaar is er een kortere wachtlijst dan voor volwassenen en de verwachting is dat zij daardoor eerder aan de beurt zijn.

Alle patiënten zijn inmiddels door het UMCU geïnformeerd over hun plek op de wachtlijst. Door de complexe logistiek rondom de behandeling met Spinraza is het niet mogelijk om een uitspraak te doen over de termijn waarop de laatste oudere patiënt start met de behandeling. Voorafgaand aan het traject voor voorwaardelijke vergoeding is door de betrokken partijen – UMCU, de patiëntenorganisatie en fabrikant Biogen - wel overeengekomen dat de instroomfase van het onderzoek twee jaar is. Het UMCU heeft laten weten alles op alles te zetten om alle patiënten zo snel mogelijk te helpen en waar dit kan te versnellen.

7.

Begrijpt u dat het voor patiënten moeilijk is te geloven dat u, zoals u in reactie op eerdere schriftelijke vragen stelde, "begrijpt dat het uitermate zwaar is voor patiënten om in deze onzekerheid te zitten", terwijl u tegelijkertijd toestaat dat de onzekerheid waarin zij verkeren, met alle gevolgen voor hun gezondheid van dien, alleen maar langer duurt? Kunt u uw antwoord toelichten?

Antwoord vraag 7:

Ik begrijp dat sinds de markttoelating van Spinraza de onzekerheid over de vergoeding van het middel voor SMA patiënten een enorme beproeving is geweest. Ik begrijp ook dat nu er een voorwaardelijk vergoeding is voor de oudere patiënten, de onzekerheid over de startdatum van hun behandeling een nieuwe beproeving is. Wel zijn alle patiënten dus inmiddels door het UMCU geïnformeerd over hun plek op de wachtlijst. Helaas kan, zoals onder vraag 6 toegelicht, niet iedereen tegelijk instromen in het onderzoek bij het UMCU. Ik blijf daarom de komende periode met het behandelcentrum in contact over mogelijkheden om de instroom van patiënten verder te versnellen.

8.

Wat gaat u doen om de behandeling voor alle patiënten beschikbaar te maken?

Zie antwoord vraag 1.