

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
www.rijksoverheid.nl

Kenmerk
1698960-200254-WJZ

Uw brief
3 februari 2020
29 689, nr. 1043

Bijlage(n)
1

Datum 10 juni 2020
Betreft Ontwerpbesluit, houdende wijziging van het Besluit
zorgverzekering in verband met voorwaardelijke
toelating

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

Geachte voorzitter,

Hierbij bied ik u mijn reactie op de inbreng voor het schriftelijk overleg inzake het
bovenvermelde ontwerpbesluit aan.

Hoogachtend,

de minister voor Medische Zorg
en Sport,

Martin van Rijn

**Bijlage: Reactie op de inbreng voor het schriftelijk overleg inzake
Ontwerpbesluit, houdende wijziging van het Besluit
zorgverzekering in verband met voorwaardelijke toelating**

Kenmerk
1698960-200254-WJZ

Inleiding

Met belangstelling heb ik kennisgenomen van de inbreng van de leden van de fracties van de VVD, het CDA, D66, GroenLinks en de SP. In deze bijlage worden de vragen beantwoord in de volgorde waarin zij gesteld zijn. Voor de leesbaarheid en om herhalingen te voorkomen wordt bij de beantwoording van enkele vragen terugverwezen naar eerder gegeven antwoorden. Daartoe zijn de vragen genummerd.

Vragen en opmerkingen van de leden van de VVD-fractie

De leden van de VVD-fractie hebben kennisgenomen van het ontwerpbesluit houdende wijziging van het Besluit zorgverzekering in verband met voorwaardelijke toelating. Zij hebben hierover nog enkele vragen.

1

Kan de minister toelichten wat de wetenschappelijke onderbouwing is van het verlengen van de maximale termijn voor voorwaardelijke toelating van zeven naar veertien jaar? Waarom is er specifiek voor veertien jaar gekozen?

Antwoord

Een voorwaardelijke toelating is maatwerk en duurt niet langer dan nodig is om voor het desbetreffende geneesmiddel aan te kunnen tonen of het voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk. Binnen de nieuwe voorwaardelijke toelating is een onderzoeksduur van ten hoogste zeven jaar het uitgangspunt. Gezien het type geneesmiddelen waar de voorwaardelijke toelating zich op richt, kan het hier ook gaan om geneesmiddelen voor een heterogene patiëntpopulatie en/of voor kleine patiëntaantallen met een langzaam progressief en/of heterogeen ziekteverloop. Hierdoor kan er meer tijd dan zeven jaar nodig zijn om aan de hand van onderzoek aan te tonen dat behandeling met het geneesmiddel voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk, oftewel "effectief" is. Zorginstituut Nederland heeft mij daarom geadviseerd om voorwaardelijke toelating onder uitzonderlijke omstandigheden en onder strikte voorwaarden langer dan zeven jaar te kunnen laten duren. Elk voorstel voor een langere toelating zal gepaard moeten gaan met een goede onderbouwing waarom een onderzoeksduur van meer dan zeven jaar noodzakelijk is. Het Zorginstituut zal de onderbouwing van ieder onderzoeksvoorstel toetsen. Daarom heb ik deze verlenging mogelijk gemaakt.

Ik wil hier wel een maximum aan stellen, omdat de voorwaardelijke toelating anders een permanente toelating wordt. Dit strookt niet met de aard van het instrument van voorwaardelijke toelating. Met het oog op de uitvoerbaarheid is de onderzoeksduur gemaximeerd op veertien jaar. Het Zorginstituut zal jaarlijks de voortgang monitoren van elke voorwaardelijke toelating. Het is niet op voorhand te zeggen of veertien jaar in alle gevallen voldoende zal zijn. De termijn van de verlenging van de maximale onderzoeksduur zal dan ook onderdeel zijn van de evaluatie van het nieuwe beleid.

2

Kan de minister toelichten hoeveel geneesmiddelen er met het beschikbare budget onderdeel kunnen uitmaken van de voorwaardelijke toelating? Kan de minister daarbij toelichten hoeveel onderzoeksprogramma's er uitgevoerd zullen worden?

Kenmerk

1698960-200254-WJZ

Antwoord

Voor het nieuwe beleid voor voorwaardelijke toelating van geneesmiddelen is een budget van structureel oplopend tot € 26,8 miljoen per jaar beschikbaar. Hiermee bied ik fabrikanten de mogelijkheid om de effectiviteit en doelmatige inzet van weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals* (verder) te onderzoeken en daarmee de pakketwaardigheid aan te tonen. Ook bied ik hiermee alle patiënten toegang tot het geneesmiddel voor de te onderzoeken indicatie(s). Over de prijs van een geneesmiddel zal ik met de fabrikant onderhandelen voorafgaand aan de voorwaardelijke toelating. Daarnaast zal de onderzoeksduur per geneesmiddel verschillend zijn. Het is daarom op dit moment niet goed te zeggen welk beslag een geneesmiddel voor hoe lang op het beschikbare budget zal leggen. Het Zorginstituut heeft mij wel laten weten dat zij inschat voor ongeveer twee tot drie geneesmiddelen per jaar een voorstel tot voorwaardelijke toelating te ontvangen. Overigens komen ook de kosten van de voorwaardelijke toelating van het geneesmiddel Spinraza (bij behandeling van patiënten ouder dan 9,5 jaar) ten laste van het beschikbare budget.

Vragen en opmerkingen van de leden van de CDA-fractie

De leden van de CDA-fractie hebben kennisgenomen van het ontwerpbesluit houdende wijziging van het Besluit zorgverzekering in verband met voorwaardelijke toelating. Deze leden hebben hier nog enkele vragen over.

1

Zij vragen of bij voorwaardelijke toelating van vormen van zorg waarbij de effectiviteit niet of nog niet bewezen is, ook onderzoeksgegevens uit het buitenland betrokken worden, zodat er makkelijker een grote hoeveelheid noodzakelijke gegevens verzameld kan worden. Deze leden vragen op welke wijze dergelijke internationale samenwerking georganiseerd is.

Antwoord

Het is aan de fabrikant, in samenwerking met de andere indienende partijen, om alle beschikbare studiegegevens die voorhanden zijn aan te leveren bij het Zorginstituut. Van belang zijn gegevens om te beoordelen of binnen de termijn van voorwaardelijke toelating de pakketvraag beantwoord kan worden alsmede gegevens om de vraag te beantwoorden of na afloop van de voorwaardelijke toelating het geneesmiddel vervolgens definitief deel kan uitmaken van het basispakket.

Het Zorginstituut vindt het belangrijk dat een onderzoek bij voorkeur internationaal is opgezet. Zeker in geval van weesgeneesmiddelen met een grote onzekerheid over effectiviteit is het nodig om op internationaal niveau data te verzamelen. Op die manier is het effect van de behandeling beter in kaart te brengen. Dit is ook voor *conditionals* en *exceptionals* van meerwaarde. Als met lopende buitenlandse onderzoeken stand van wetenschap en praktijk kan worden aangetoond, omdat de uitkomsten naar de Nederlandse situatie te extrapoleren zijn, dan geldt dat het lopende internationale onderzoek afdoende kan zijn om aan de onderzoeksvoorwaarden voor de voorwaardelijke toelating te voldoen. Uitkomsten van onderzoeken uit het buitenland kunnen dus inderdaad bijdragen aan het beantwoorden van de pakketvraag. Ook de toegang voor Nederlandse

patiënten is in dat geval gewaarborgd. Zij kunnen indien mogelijk in dit lopende internationale onderzoek worden geïncludeerd. In het geval dat dat niet (meer) mogelijk is, wordt een ondersteunend registeronderzoek in Nederland opgezet als nevenonderzoek. Hierdoor blijft het geneesmiddel gedurende de gehele duur van het voorwaardelijke toelatingstraject breed toegankelijk en krijgen alle patiënten het middel in onderzoeksverband. Het registeronderzoek dient bij voorkeur aan te sluiten bij een onafhankelijk (internationaal) register

Kenmerk

1698960-200254-WJZ

2

Bij aanvang van voorwaardelijke toelating worden in een convenant onderlinge afspraken vastgelegd tussen onderzoeksinstituten, zorgaanbieders en patiëntenorganisaties. Daarin worden onder andere afspraken over de (minimale) uitkomstmaten van het onderzoek vastgelegd. De leden van de CDA-fractie vragen of er nadien nog mogelijkheid bestaat om deze minimale uitkomstmaten aan te passen, indien blijkt dat men oorspronkelijk van de verkeerde uitgangspunten en/of onderzoeksopzet uitgegaan is.

Antwoord

Vooraf leggen partijen in een convenant vast welke uitkomsten minimaal bereikt moeten worden om te spreken van een klinisch relevant effect. De vooraf vastgelegde klinische relevantiegrenzen zijn van belang voor het eindoordeel door het Zorginstituut. Op basis daarvan wordt namelijk bepaald of het geneesmiddel aan het eind van de voorwaardelijke toelating voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk, en wel of niet kan instromen in het basispakket. Om te voorkomen dat de daadwerkelijk behaalde effecten bepalend zijn voor welke effecten partijen klinisch relevant vinden, zijn tussentijdse aanpassingen van de vooraf vastgelegde klinische relevantiegrenzen niet mogelijk.

Wel is het zo dat bij onderzoekstrajecten voor een voorwaardelijke toelating van zeven tot maximaal veertien jaar *go/no go* momenten worden afgesproken. Vooraf worden met alle betrokken partijen tussentijdse resultaten afgesproken die het effectiviteitsonderzoek op deze *go/no go* momenten minimaal moet laten zien. Zijn de tussentijdse resultaten niet behaald, dan kan worden besloten de voorwaardelijke toelating te beëindigen. Zijn deze wel behaald, dan wordt het voorwaardelijke toelatingstraject voortgezet. Aan de hand van de tussentijdse resultaten wordt bezien of, en op welke manier, de uitkomstmaten voor het vervolg van de voorwaardelijke toelating aanscherping behoeven. De vooraf vastgelegde klinische relevantiegrenzen die de uitkomsten minimaal moeten laten zien om de effectiviteit voldoende aan te tonen blijven ongewijzigd.

3

Met deze wijziging van het Besluit zorgverzekering wordt de maximale duur van de voorwaardelijke toelating uitgebreid van zeven naar veertien jaar. De leden van de CDA-fractie vragen of de minister voorbeelden kan geven van vormen van zorg die in een traject van voorwaardelijke toelating hebben gezeten die voor een dergelijke langere duur in aanmerking waren gekomen. Hadden hier mogelijk andere uitkomsten kunnen zijn als de mogelijkheid van voorwaardelijke toelating tot veertien jaar er al was geweest?

Antwoord

Deze situatie heeft zich bij het voormalige beleid voor voorwaardelijke toelating niet voorgedaan. Als de mogelijkheid van voorwaardelijke toelating tot en met veertien jaar er onder het vorige beleidskader was geweest, had dit niet tot andere uitkomsten geleid. Bij elk afgerond onderzoek binnen de toen geldende

maximale onderzoekstermijn van zeven jaar waren er voldoende onderzoeksgegevens om de effectiviteit te beoordelen.

Kenmerk

1698960-200254-WJZ

4

Zijn er momenteel vormen van zorg die in een traject van voorwaardelijke toelating zitten waarvan de maximale termijn eigenlijk langer dan zeven jaar zou moeten zijn?

Antwoord

Nee. Voor een verdere toelichting verwijs ik naar mijn beantwoording van de vorige vraag.

5

Is er een mogelijkheid om voor lopende trajecten desgewenst de termijn van voorwaardelijke toelating tot maximaal veertien jaar te verlengen?

Antwoord

Het is niet mogelijk om voor lopende trajecten de termijn van voorwaardelijke toelating tot maximaal veertien jaar te verlengen. Deze trajecten zijn gehonoreerd op basis van het voormalige beleid voor voorwaardelijke toelating. Dat beleid is beëindigd. Lopende trajecten worden volgens de onder het vorige beleidskader gebruikelijke wijze behandeld en uitgevoerd, waarbij enkel in uitzonderingsgevallen de maximale termijn van zeven jaar voorwaardelijke toelating werd toegestaan.

Bovendien is het nieuwe beleid gericht op specifieke soorten geneesmiddelen en blijft voorwaardelijke toelating van hooguit zeven jaar het uitgangspunt. Slechts in uitzonderlijke gevallen kan een langere termijn van maximaal veertien jaar noodzakelijk zijn. Die noodzaak dient voorafgaand aan de voorwaardelijke toelating vastgesteld te worden. Eenmaal gestart, kan dus niet alsnog worden voldaan aan de eisen die gesteld zijn aan een voorwaardelijke toelating van meer dan zeven jaar.

6

De minister schrijft dat de vraag of een langere termijn van maximaal veertien jaar in een specifiek geval is toegestaan, bij aanvang van de voorwaardelijke toelating wordt bepaald. De leden van de CDA-fractie vragen op basis van welke gegevens het Zorginstituut Nederland (het Zorginstituut) hierover beslist.

Antwoord

Dit baseert het Zorginstituut op informatie over het natuurlijk beloop van de aandoening en het moment dat de beoogde klinisch relevante uitkomstmaten die met het geneesmiddel behaald moeten worden naar verwachting zijn vast te stellen. Als een ziekte zich langzaam ontwikkelt, zal het meer tijd kosten om het beoogde gunstige effect aan te tonen. Het is aan de indieners van een voorstel tot voorwaardelijke toelating om te onderbouwen waarom een onderzoeksduur van meer dan zeven jaar noodzakelijk is en dat de effectiviteitsvraag wel binnen veertien jaar te beantwoorden is.

7

Deze leden vragen tevens of er enige vorm van bezwaar en/of beroep tegen een dergelijke beslissing van het Zorginstituut mogelijk is.

Antwoord

Deze vraag veronderstelt dat het Zorginstituut een besluit neemt. Dat is niet het geval. Het Zorginstituut adviseert de minister voor Medische Zorg en Sport over de voorwaardelijke toelating. De minister beslist. Het betreft een besluit om al dan niet een algemeen verbindend voorschrift vast te stellen. Daartegen staat geen bezwaar of beroep open. Wel kan aan de burgerlijke rechter worden voorgelegd of sprake is onrechtmatige wetgeving.

Kenmerk

1698960-200254-WJZ

8

De leden van de CDA-fractie vragen wanneer de eerstvolgende vijfjaarlijkse evaluatie van het beleid voor de invulling van de voorwaardelijke toelating uitgevoerd wordt en wanneer deze evaluatie naar verwachting ongeveer klaar is om naar de Tweede Kamer gestuurd te worden. Zij vragen tevens of er ondanks dat er slechts om de vijf jaar geëvalueerd wordt, voor de minister de mogelijkheid bestaat om tussentijds de regels aan te passen als de kosten onverhoeds uit de hand zouden lopen.

Antwoord

De eerstvolgende vijfjaarlijkse evaluatie van het beleid voor de voorwaardelijke toelating van geneesmiddelen zal plaatsvinden in het najaar van 2024 en kan na afronding in het daaropvolgende jaar naar de Tweede Kamer gestuurd worden. Het is niet onmogelijk het beleid omtrent voorwaardelijke toelating tussentijds aan te passen. Daarbij zal overigens wel rekening gehouden dienen te worden met eventuele gevolgen voor reeds ingediende en gehonoreerde voorstellen tot voorwaardelijke toelating.

9

Het Zorginstituut heeft onder andere aangegeven het van belang te achten een voorstel voor voorwaardelijke toelating zo snel mogelijk te doen na een negatieve beoordeling van de effectiviteit van het geneesmiddel. De leden van de CDA-fractie vragen waarom er hiervoor dan toch geen maximale termijn wordt gehanteerd.

Antwoord

Het Zorginstituut hanteert hiervoor een termijn van zes maanden na negatieve beoordeling van de effectiviteit van het geneesmiddel. Het Zorginstituut gaat ervan uit dat binnen die termijn het geconstateerde gebrek aan bewijs nog actueel is (zie 'Uitvoeringstoets procedure voorwaardelijke toelating', Zorginstituut, 27 augustus 2019 p. 13).

10

Deze leden vragen daarnaast of een formele negatieve beoordeling van de effectiviteit altijd noodzakelijk is voordat voorwaardelijke toelating wordt aangevraagd.

Antwoord

Een formele negatieve beoordeling van de effectiviteit door het Zorginstituut is niet noodzakelijk voor het indienen van een voorstel voor voorwaardelijke toelating. Met de nieuwe voorwaardelijke toelating bied ik fabrikanten ook de mogelijkheid om af te zien van de reguliere aanvraag tot opname van een extramuraal geneesmiddel in het basispakket en de beoordeling daarvan door het Zorginstituut. In plaats daarvan kan direct een voorstel tot voorwaardelijke toelating worden ingediend. Evenmin hoeft voor intramurale geneesmiddelen een duiding van het Zorginstituut te worden afgewacht voor het indienen van een voorstel tot voorwaardelijke toelating. Het is aan de fabrikant om te beslissen of

hij gebruik wil maken van de mogelijkheid tot vroegtijdige indiening van een voorstel tot voorwaardelijke toelating.

Kenmerk

1698960-200254-WJZ

11

Kan de minister een overzicht van het budget voor de voorwaardelijke toelating van geneesmiddelen per jaar geven waarin de oploop naar het structurele budget van 26,8 miljoen euro per jaar te zien is?

Antwoord

Voor 2020 is een budget van € 25,5 miljoen beschikbaar, en vanaf 2021 is het budget structureel € 26,8 miljoen per jaar

12

De leden van de CDA-fractie vragen of tevens een overzicht van de daadwerkelijke uitgaven aan voorwaardelijke toelating per jaar gegeven kan worden sinds 2012.

Antwoord

Sinds de inwerkingtreding van het vorige beleidskader voor de voorwaardelijke toelating zijn tot 1 januari 2020 jaarlijks de volgende uitgaven gedaan aan alle voorwaardelijk toegelaten interventies samen:

2012+2013: € 4,2 mln

2014: € 7,9 mln

2015: € 12,7 mln

2016*: € 16,0 mln

2017*: € 8,1 mln

2018*: € 5,9 mln

2019*: € 5,7 mln

ad * Voor de jaren 2016 t/m 2019 zijn de onderzoekskosten nog niet definitief vastgesteld

Het gaat hier om alle vormen van zorg, waarbij geneesmiddelen slechts een beperkt deel van de uitgaven betroffen.

Vragen en opmerkingen van de leden van de D66-fractie

De leden van de D66-fractie hebben kennisgenomen van het voorliggende ontwerpbesluit. Zij begrijpen dat de nieuwe voorwaardelijke toelating zich specifiek richt op weesgeneesmiddelen en geneesmiddelen die door het Europees Geneesmiddelenagentschap (de EMA) tot de markt zijn toegelaten onder voorwaarden (*conditionals*) of onder exceptionele omstandigheden (*exceptionals*). Het kan bij deze typen geneesmiddelen lastig zijn of langer duren om de effectiviteit te bewijzen. Genoemde leden snappen daarom dat het – ook met het oog op de toegankelijkheid voor de patiënt - in sommige gevallen wenselijk kan zijn om zo'n geneesmiddel voorlopig toe te laten tot het basispakket, en gelijktijdig onderzoek te doen naar de effectiviteit, om zo te bezien of het geneesmiddel werkelijk leidt tot de gewenste meerwaarde voor de patiënt ten opzichte van de tot dan gebruikelijke behandeling. Wel hebben genoemde leden nog enkele vragen aan de minister over de ratio achter bepaalde keuzes.

1

De leden van de D66-fractie hebben allereerst enkele vragen over het beschikbare budget voor de voorwaardelijke toelating. Zij lezen dat het Zorginstituut voorstelt bij de evaluatie van het beleid aandacht te schenken aan de mate waarin het beschikbare budget toereikend is. Heeft het Zorginstituut dit voorstel nader

gemotiveerd? Hoeveel geld werd in voorgaande jaren jaarlijks besteed aan de voorwaardelijke toelating van weesgeneesmiddelen, *exceptionals* en *conditionals*?

Kenmerk

1698960-200254-WJZ

Antwoord

Het beschikbare budget wordt elke vijf jaar door het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (VWS) geëvalueerd. Daarnaast wordt in deze vijfjaarlijkse evaluatie ook gekeken of de doelstellingen van het nieuwe beleid voor voorwaardelijke toelating worden behaald en of er andere ontwikkelingen zijn die aanleiding geven om het beleid aan te passen. Het vorige beleid gold voor medische zorg in den brede en dus niet specifiek voor geneesmiddelen (en ook niet specifiek voor weesgeneesmiddelen, *exceptionals* en *conditionals*). Van de voorwaardelijk toegelaten geneesmiddelen binnen het vorige beleid was alleen Fampyra een *conditional*. De kosten hiervoor waren gemiddeld € 1,7 miljoen per jaar.

2

Verwacht de minister zelf dat het beschikbare structurele budget van 26,8 miljoen euro toereikend zal zijn, of vreest hij voor een wachtrij? Genoemde leden lezen immers al over deze wachtrij in een eerdere beleidsbrief van de minister uit oktober 2019¹.

Antwoord

Gegeven het beschikbare budget olopend tot structureel € 26,8 miljoen ben ik van mening dat het nieuwe beleid voor voorwaardelijke toelating in beginsel haalbaar is. In het beschikbare budget lopen de uitgaven voor het middel Spinraza mee. Voor deze uitgaven is een vertrouwelijk financieel arrangement afgesproken. Op dit moment zie ik of, gegeven deze uitgaven, het budget voor de voorwaardelijke toelating op termijn kan worden verhoogd. Daarnaast wordt de toereikendheid van het beschikbare budget elke vijf jaar geëvalueerd door het ministerie van VWS. Ik wil echter op voorhand al wel duidelijkheid en transparantie scheppen naar alle partijen, fabrikanten en patiënten in het bijzonder, over de situatie die ontstaat indien blijkt dat onvoldoende budget beschikbaar is en een wachtrij ontstaat.

3

Mocht een wachtrij ontstaan, dan geldt als uitgangspunt dat zodra budget beschikbaar is, een middel kan instromen op basis van *first come, first serve*. Waarom is daarvoor gekozen? Waarom is er bijvoorbeeld niet voor gekozen om het Zorginstituut of ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport dan enige (zorg)inhoudelijke weging van de geneesmiddelen in deze wachtrij te laten maken?

Antwoord

Het uitgangspunt in het geval een wachtrij is ontstaan omdat onvoldoende budget beschikbaar is, is inderdaad dat voorstellen tot voorwaardelijke toelating van een geneesmiddel worden behandeld op basis van *first come, first serve*. Deze volgorde wordt bepaald op het moment dat het Zorginstituut vaststelt dat de fabrikant een compleet voorstel tot voorwaardelijke toelating heeft ingediend. Het nieuwe beleid voor voorwaardelijke toelating is bedoeld voor weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals*. Deze geneesmiddelen richten zich op een onvervulde behandelbehoefte bij de betreffende patiëntengroep. Voor deze middelen is door de European Medicines Agency (EMA) aangegeven dat deze voorzien in een *unmet medical need*. Er is dus al een toets uitgevoerd op *unmet*

¹ Kamerstuk 29 477, nr. 621.

medical need voor de patiënt. Daarom vind ik het niet opportuun om tot een verdere zorginhoudelijke weging over te gaan om op die manier de volgorde in de wachtrij te bepalen.

Kenmerk

1698960-200254-WJZ

4

Genoemde leden lezen daarnaast dat de 'oude' voorwaardelijke toelating van Spinraza ook uit het budget voor nieuwe voorwaardelijke toelating zal worden gefinancierd. Welk gedeelte van het jaarlijks beschikbare budget gaat daar de komende jaren reeds aan op?

Antwoord

Voor de uitgaven aan Spinraza is een vertrouwelijk financieel arrangement afgesloten. Ik kan daarom geen inzage geven in welk gedeelte van het jaarlijks beschikbare budget hieraan uitgegeven wordt. Wel zullen deze uitgaven meelopen in het budget voor de nieuwe voorwaardelijke toelating geneesmiddelen; ik verwijs hiervoor naar mijn beantwoording van vraag 2 van de leden van de D66-fractie. Ik stel met ingang van het nieuwe beleid per 22 oktober 2019 voor voorwaardelijke toelating als voorwaarde dat de totale uitgaven per individueel geneesmiddel dat voorwaardelijk is toegelaten openbaar worden gemaakt.

5

In de genoemde beleidsbrief staat voorts dat alle patiënten die voor de specifieke interventie-indicatiecombinatie in aanmerking komen, toegang krijgen tot het voorwaardelijk toegelaten geneesmiddel. Maar hoe zit dit als het jaarlijks beschikbare budget volledig is gependeed? Hoe vaak is dat in het verleden voorgekomen? Kan de minister inzage geven in de relatieve en absolute verhouding tussen patiënten die dan wel en niet over de voorwaardelijk toegelaten geneesmiddelen konden beschikken?

Antwoord

Voor ieder geneesmiddel dat voorwaardelijk wordt toegelaten, wordt een financieel arrangement met de fabrikant afgesloten ten behoeve van alle patiënten die voor behandeling in aanmerking komen gedurende de voorwaardelijke toelating. Deze financiële afspraak resulteert in een raming van de uitgaven aan dit middel gedurende de voorwaardelijke toelating. Met deze raming wordt rekening gehouden bij het besluit tot voorwaardelijke toelating van nieuwe middelen. Is op basis van de ramingen voor middelen die reeds voorwaardelijk zijn toegelaten het budget ontoereikend voor nieuwe middelen, dan zal een wachtrij ontstaan voor die nieuwe middelen. Indien het budget toereikend is, wordt het nieuwe middel voorwaardelijk toegelaten. Vanuit juridisch oogpunt is het recht van de verzekerde op het voorwaardelijk toegelaten geneesmiddel niet afhankelijk van de toereikendheid van het budget voor voorwaardelijke toelating. Ook bij een onverhoopte budgetoverschrijding als gevolg van hogere kosten dan geraamd, behoudt de verzekerde het recht op het voorwaardelijk toegelaten geneesmiddel.

6

De leden van de D66-fractie lezen dat voor de toelating aan een aantal cumulatieve voorwaarden dient te worden voldaan. Een eerste voorwaarde is dat het geneesmiddel ook in financieel opzicht op verantwoorde wijze deel kan uitmaken van het basispakket. De fabrikant moet daarom een financieel arrangement met de minister sluiten. De nadere randvoorwaarden voor dit arrangement, vinden deze leden tevens terug in de eerdere brief uit oktober 2019, waarin het nieuwe beleid voor voorwaardelijke toelating is vastgelegd. Deze leden lezen dat een fabrikant zich gedurende de voorwaardelijke toelatingsperiode moet

committeren aan een sterk verlaagde prijs. Voorts wordt van de fabrikant vereist dat deze de totale uitgaven per individueel geneesmiddel openbaar maakt gedurende deze periode. Een dergelijke transparantie over de prijsopbouw achten de leden van de D66-fractie zeer wenselijk. Zij willen dat deze transparantie ook bij alle andere geneesmiddelen de standaard wordt. Niet voor niets was dit een van de speerpunten in de Geneesmiddelenvisie van het lid Pia Dijkstra (D66). Genoemde leden zijn benieuwd waarom het de minister in dit geval wél lukt deze voorwaarde te stellen? Heeft dit puur te maken met zijn (sterkere) onderhandelingspositie? Verwacht de minister geen problemen of afschrikwekkende werking van deze voorwaarde?

Kenmerk

1698960-200254-WJZ

Antwoord

Ik stel met ingang van het nieuwe beleid voor voorwaardelijke toelating als voorwaarde dat de totale uitgaven per individueel geneesmiddel dat voorwaardelijk is toegelaten openbaar worden gemaakt. Het gaat hier om het vergoeden van zorg waarvan de effectiviteit nog onvoldoende is bewezen en welke voorwaardelijk en onder strenge randvoorwaarden tijdelijk toch wordt vergoed uit het basispakket. Daarom wil ik mij kunnen verantwoorden aan de Tweede Kamer en de premiebetaler over de uitgaven. Ik vind de gevraagde transparantie daarom een terechte eis. Het is aan fabrikanten om te bepalen hoe zij hiermee omgaan.

7

Welke concrete stappen gaat de minister in nationaal en Europees verband zetten om te zorgen dat farmaceuten ook meer openheid gaan geven over de uitgaven en prijsopbouw van andere geneesmiddelen?

Antwoord

Met de Tweede Kamer ben ik voorstander van meer transparantie over prijzen en uitkomsten van prijsonderhandelingen. Dit vind ik met name relevant om verantwoording te kunnen afleggen over de gemaakte keuzes om geneesmiddelen al dan niet te vergoeden.

Ik blijf daarom bij financiële arrangementen aandringen op meer transparantie over prijsafspraken. En ik onderzoek op welke manier een grotere transparantie over de prijsopbouw en de (publiek gefinancierde) ontwikkelkosten nationaal kan worden afgedwongen. Ook in internationaal verband blijf ik aandacht vragen voor meer transparantie. Inmiddels zijn er diverse landen die eveneens stappen overwegen om prijzen en ontwikkelkosten meer transparant te maken. Met die landen houd ik contact om te bezien in hoeverre we hierin samen kunnen optrekken.

8

De leden van de D66-fractie lezen voorts dat het volgens de minister een essentiële voorwaarde is dat het onderzoek leidt tot conclusies over de effectiviteit van het geneesmiddel, op basis waarvan een uitspraak kan worden gedaan over opname in het basispakket. Hoe is dit van tevoren vast te stellen, zo vragen deze leden zich - net als het Zorginstituut - af. Het is toch niet op voorhand te garanderen dat het onderzoek binnen de beschikbare tijd leidt tot conclusies over de effectiviteit? Is dat niet juist precies de reden voor het voorliggende besluit om de maximale termijn voor voorwaardelijke toelating te verruimen van zeven naar veertien jaar?

Antwoord

Het kunnen bepalen van de effectiviteit is een belangrijk doel van de voorwaardelijke toelating van geneesmiddelen. De fabrikant zal daarom, in samenwerking met de overige indienende partijen, in het voorstel tot voorwaardelijke toelating goed moeten onderbouwen waarom het aannemelijk is dat de vraag naar de effectiviteit van de behandeling met het geneesmiddel binnen de voorgestelde onderzoeksduur te beantwoorden is. Dit kan op basis van kennis over het natuurlijk beloop van de aandoening, het werkingsmechanisme van het geneesmiddel en het beoogde effect van het geneesmiddel. Het is op voorhand niet te garanderen dat het onderzoek (binnen de beschikbare tijd) leidt tot conclusies over de effectiviteit. Echter, in het voorstel tot voorwaardelijke toelating kan dat wel zoveel mogelijk aannemelijk gemaakt worden.

Kenmerk

1698960-200254-WJZ

Ook worden bij voorwaardelijke toelating van zeven tot maximaal veertien jaar tussentijdse *go/no go* momenten afgesproken. Vooraf worden met alle betrokken partijen tussentijdse resultaten afgesproken die het effectiviteitsonderzoek op deze *go/no go* momenten minimaal moet laten zien. Zijn de tussentijdse resultaten niet behaald, dan kan worden besloten de voorwaardelijke toelating te beëindigen. Zijn deze wel behaald, dan wordt het voorwaardelijke toelatingstraject voortgezet. Aan de hand van de tussentijdse resultaten wordt bezien of, en op welke manier, de uitkomstmaten voor het vervolg van de voorwaardelijke toelating nog verder kunnen worden aangescherpt.

9

De leden van de D66-fractie hebben tevens enkele vragen over de maximale termijn. Wat was de precieze ratio achter de oude termijn van zeven jaar? En wat is de precieze ratio achter de nieuwe termijn van veertien jaar? Betreft deze laatste simpelweg een verdubbeling van de oude termijn? Of ligt aan beide termijnen een wetenschappelijke of empirische onderbouwing ten grondslag? Hoe reëel acht de minister het risico dat ook veertien jaar niet lang genoeg is om de effectiviteit te bepalen?

Antwoord

Ik verwijs voor mijn beantwoording van deze vragen naar de beantwoording van vraag 1 van de leden van de VVD-fractie.

10

Voorts zijn genoemde leden benieuwd wat redengevend was om ervoor te kiezen dat voortaan voorafgaand aan een traject moet worden ingezet op een maximale termijn van zeven, dan wel veertien jaar. Waarom heeft de minister bijvoorbeeld niet gekozen om de mogelijkheid te creëren voor een eenmalige verlenging van de voorwaardelijk toelatingsperiode? Vreest de minister dat zo'n verlengingsmogelijkheid ongewenste prikkels met zich meebrengt? Zo ja, welke?

Antwoord

Voorwaardelijke toelating is maatwerk. Er wordt dus per voorwaardelijke toelating gekeken welke onderzoeksduur nodig is om deze vraag te beantwoorden. Het is aan de indiener van het onderzoeksvorstel om te onderbouwen welke onderzoeksduur noodzakelijk is voor het aantonen van de effectiviteit van het middel. Uitgangspunt is dat het onderzoek zo snel mogelijk, maar binnen zeven jaar, de resultaten oplevert om de effectiviteit van de behandeling met het geneesmiddel te beoordelen. Een voorwaardelijke toelating van langer dan zeven jaar is alleen aan de orde als dit noodzakelijk is voor beantwoording van de vraag of de behandeling met het geneesmiddel bewezen effectief is. Het Zorginstituut geeft aan dat het goed mogelijk is vooraf te bepalen, op basis van het ingediende

voorstel, of een onderzoeksduur van maximaal zeven jaar voldoende is, of dat een middel in aanmerking komt voor een langere onderzoeksduur van maximaal veertien jaar. Omdat het goed mogelijk is dit vooraf te bepalen, heb ik er voor gekozen om alsnog verlengen naar veertien jaar niet toe te staan. Hiermee borg ik dat er geen prikkel ontstaat om een beroep op de mogelijkheid tot verlenging te doen.

Kenmerk

1698960-200254-WJZ

11

De leden van de D66-fractie lezen dat het Zorginstituut beperkte risico's signaleert met betrekking tot het uitsluiten van voormalige weesgeneesmiddelen en de geringe tijdswinst bij vroegtijdige indiening. Om welke beperkte risico's gaat dit en waarom legt de minister deze naast zich neer?

Antwoord

Het Zorginstituut wijst in haar uitvoeringstoets op een aantal mogelijke procedurele risico's verbonden aan de voorwaardelijke toelating. Zij wijst in dat kader allereerst op de gekozen afbakening van de voorwaardelijke toelating tot weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals*. Dit betekent dat fabrikanten van geneesmiddelen die oorspronkelijk een weesgeneesmiddelenstatus hadden, maar deze status op het moment van markttoelating verloren hebben, geen verzoek tot voorwaardelijke toelating kunnen indienen. Op het moment van markttoelating toetst de EMA namelijk opnieuw of aan alle criteria voor de weesgeneesmiddelenstatus is voldaan. Is dit niet meer het geval, dan verliest een middel deze speciale status. Het Zorginstituut wijst erop dat het risico dat hierdoor een situatie kan ontstaan dat een fabrikant voor een dergelijk middel een beroep op de voorwaardelijke toelating zou willen doen, beperkt is. Het blijkt namelijk dat in de afgelopen jaren van dit type geneesmiddelen geen enkel geneesmiddel een negatieve beoordeling van het Zorginstituut heeft gekregen omdat de effectiviteit onvoldoende aangetoond zou zijn. Of dit risico inderdaad beperkt is zoals verondersteld, zal ook onderdeel zijn van de evaluatie van het nieuwe beleid.

Het tweede risico dat het Zorginstituut identificeert betreft de geringe tijdswinst voor fabrikanten bij de keuze voor vroegtijdige indiening in vergelijking met het afwachten van een formele beoordeling (en afwijzing) door het Zorginstituut. Dit komt omdat het Zorginstituut in dat geval meer tijd nodig heeft om de *evidence gap* en de kwaliteit van het voorgestelde onderzoek te beoordelen dan wanneer er al een negatieve beoordeling van het Zorginstituut ligt. Zij signaleert daarnaast dat het ondanks de beperkte tijdswinst toch aantrekkelijker kan zijn voor de fabrikant om voor vroegtijdige indiening te kiezen. Dit komt omdat - als op voorhand duidelijk is dat de effectiviteit nog onvoldoende bewezen is - vroegtijdig indienen een zinniger inzet is van tijd en capaciteit van alle betrokkenen, dus ook de fabrikant. Of de mogelijkheid voor vroegtijdige indiening inderdaad een aantrekkelijke optie is voor fabrikanten, wordt meegenomen in de evaluatie.

12

De leden van de D66-fractie herkennen enkele risico's die het Zorginstituut waarneemt bij de verlenging van de maximale onderzoeksduur naar veertien jaar. Allereerst het risico dat tijdens het traject van voorwaardelijke toelating een alternatieve behandeling op de markt verschijnt, waardoor geen sprake meer is van een onvervulde behandelbehoefte. Heeft de minister onderzocht hoe groot de kans gemiddeld genomen is dat er een geschikte alternatieve behandeling binnen zeven of veertien jaar op de markt verschijnt? Zo ja, wat waren de uitkomsten? Zo nee, waarom niet? Is daarnaast de optie overwogen om voor specifieke middelen voorafgaand aan voorwaardelijke toelating te onderzoeken hoe groot die kans is, bijvoorbeeld door middel van een horizonscan?

Antwoord

Het Zorginstituut informeert mij jaarlijks over de voortgang van elke voorwaardelijke toelating. Het Zorginstituut zal dan onder andere nagaan of er een alternatieve behandeling op de markt is gekomen die voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk (m.a.w. of er nog steeds sprake is van een *unmet medical need*). De Horizonscan geneesmiddelen inzetten is overwogen, maar er is besloten deze informatie niet mee te nemen in het oordeel over start en voortzetting van een voorwaardelijke toelating. De Horizonscan biedt onvoldoende informatie om te bepalen of de behandeling met het nieuwe geneesmiddel voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk en of, en wanneer, het geneesmiddel daadwerkelijk beschikbaar zal komen.

13

Als tweede risico schetst het Zorginstituut dat bij een langere looptijd het effect van het geneesmiddel niet altijd meer goed te beoordelen is, doordat tijdens het traject de eerdere behandellijn of ondersteunende zorg wordt verbeterd. Dit risico op zogeheten '*confounding*' is volgens het Zorginstituut mogelijk niet altijd te corrigeren. Welke mogelijkheden ziet de minister om dit risico wel zo goed als mogelijk te mitigeren? Hoe groot acht de minister de kans dat *confounding* het zicht op de meerwaarde van een geneesmiddel vertroebelt?

Antwoord

Dit zal per casus verschillen. Bij de jaarlijkse voortgangsrapportages zal het Zorginstituut voor ieder geneesmiddel in de voorwaardelijke toelating een inschatting maken of er een kans is dat deze *confounding* zich voordoet en zo ja, in welke mate. Uiteraard is het de verantwoordelijkheid van de fabrikant om in het onderzoeksvoorstel en de voorgestelde onderzoeksmethodiek zo goed mogelijk rekening te houden met mogelijke *confounding*.

14

Een derde waargenomen risico ziet op het maatschappelijk draagvlak. Naarmate een geneesmiddel langer voorwaardelijk in het basispakket zit, wordt het maatschappelijk gezien lastiger om te concluderen dat deze zorg voortaan niet meer wordt vergoed. Een exit-strategie en de-implementatietraject kan dit risico verkleinen, zo begrijpen genoemde leden. Welke elementen bevat zo'n exit-strategie? In hoeverre kan maatschappelijke onvrede of teleurstelling hiermee worden voorkomen na zoveel jaren van vergoeding?

Antwoord

Het komen tot afspraken rondom de exit-strategie en het de-implementatietraject is aan de betrokken partijen (fabrikant, onderzoeksinstellingen, zorgaanbieders en patiëntenorganisaties). Hierbij kan bijvoorbeeld gedacht worden aan afspraken over het op verantwoorde wijze beëindigen van de behandeling met het geneesmiddel, inclusief de begeleiding van patiënten daarbij en aan afspraken over de bekostiging van de noodzakelijke voortzetting van de behandeling van patiënten met het geneesmiddel. Het is dus aan partijen om te bepalen welke afspraken zij maken over de exit-strategie en het de-implementatietraject. Zij leggen deze afspraken, naast andere afspraken, vervolgens vast in het convenant. Naar aanleiding van de geleerde lessen van de voorwaardelijke toelating van het middel Fampyra onder het vorige beleidskader, vraag ik partijen in het convenant voor de nieuwe voorwaardelijke toelating nog duidelijker af te spreken wat ieders rol en verantwoordelijkheid is, ook na een negatief besluit over pakkettoelating. Ik vind het belangrijk dat partijen zich vooraf realiseren dat een uitkomst van voorwaardelijke toelating ook kan zijn dat het geneesmiddel niet in het

basispakket zal komen. Ook zal de patiënt voor de start van de behandeling erop gewezen worden dat de behandeling met het betreffende geneesmiddel tijdelijk en in onderzoeksverband is.

Kenmerk
1698960-200254-WJZ

Vragen en opmerkingen van de leden van de GroenLinks-fractie

Allereerst willen de leden van de GroenLinks-fractie hun waardering uitspreken over de verlengen van de termijn van voorwaardelijke toelating van zeven naar veertien jaar. Zij zijn verheugd dat het nu beter mogelijk wordt om de effectiviteit van medicijnen voor zeldzame aandoeningen, ziektes met een heterogene patiëntenpopulatie of een traag progressief verloop vast te stellen. Maar de leden van de GroenLinks-fractie hebben wel nog een aantal vragen en opmerkingen bij het ontwerpbesluit.

De minister schrijft dat het niet mogelijk is om de termijn van zeven jaar te verlengen, als van te voren is vastgesteld dat de termijn zeven jaar betreft voor het onderzoek. Zodra een medicijn voorwaardelijk is toegelaten, wordt ook onderzoek gedaan naar andere aspecten van het medicijn, waaronder het optimaliseren van de dosering, het identificeren van subpopulaties en ontwikkelen en aanscherpen van start- en stopcriteria. Genoemde leden voorzien dat met deze nieuwe informatie uit de termijn van voorwaardelijke toelating, in sommige gevallen een langere termijn nodig is om de effectiviteit aan te tonen voor alle groepen.

1

In het licht van deze observaties vragen de leden van de GroenLinks-fractie zich af hoe zinvol het is om verlengen van de termijn van zeven naar veertien jaar per definitie uit te sluiten. De minister kan immers ook besluiten om de tijdelijke toelating vroegtijdig te stoppen, als de rapportages van het Zorginstituut daar aanleiding toe geven. Zou het dan niet ook logisch zijn als de minister de termijn ook kan verlengen, indien de rapportages van het Zorginstituut daartoe aanleiding geven?

Antwoord

Ik verwijs voor mijn beantwoording van deze vragen naar de beantwoording van vraag 10 van de leden van de D66-fractie.

2

Daarnaast vragen genoemde leden of het verlengen van de termijn van zeven naar veertien jaar ook niet mogelijk is voor medicijn die nu voorwaardelijk zijn toegelaten en waarvoor in eerste instantie misschien al een langere termijn gekozen had moeten worden, maar nu nog vastzitten aan de maximale termijn van zeven jaar.

Antwoord

Voor het antwoord op de vraag naar de toepasselijkheid van de voorgestelde maximale termijn van veertien jaar op eerder voorwaardelijk toegelaten zorg wordt verwezen naar de beantwoording van vraag 5 van de leden van de CDA-fractie.

3

Ten slotte achten de leden van de GroenLinks-fractie het van belang dat patiënten ten alle tijden toegang hebben tot de meest veelbelovende medicijnen. Daarom vragen deze leden of het structurele budget van 26,8 miljoen euro wel genoeg is. Zijn er mogelijkheden om dat budget te verhogen als blijkt dat meer medicijnen in aanmerking komen voor voorwaardelijke toelating? Hoeveel kost een medicijn

gemiddeld per jaar als het voorwaardelijk is toegelaten? Zijn er voorbeelden van medicijnen waarbij het beperkte budget deel is geweest van de redenen om een medicijn (nog) niet voorwaardelijk toe te laten? Zo ja, om welke medicijnen ging dat en wanneer heeft dat dan plaatsgevonden?

Kenmerk

1698960-200254-WJZ

Antwoord

Over de prijs van een geneesmiddel dat voorwaardelijk wordt toegelaten zal ik met de fabrikant onderhandelen. Daarnaast zal de onderzoeksduur per geneesmiddel verschillend zijn. Het is daarom niet goed op voorhand te zeggen hoeveel een geneesmiddel gemiddeld per jaar kost als het voorwaardelijk is toegelaten. Het Zorginstituut heeft mij wel laten weten dat zij inschat voor ongeveer twee tot drie geneesmiddelen per jaar een voorstel tot voorwaardelijke toelating te ontvangen. Er zijn geen voorbeelden van geneesmiddelen waarbij het budget (deels) de reden is geweest om een geneesmiddel (nog) niet voorwaardelijk toe te laten.

Voor het nieuwe beleid voor voorwaardelijke toelating van geneesmiddelen is een budget van structureel oplopend tot € 26,8 miljoen per jaar beschikbaar. Hierin lopen de uitgaven voor het middel Spinraza mee. Voor deze uitgaven is een vertrouwelijk financieel arrangement afgesproken. Op dit moment bezie ik of, gegeven deze uitgaven, het budget voor de voorwaardelijke toelating op termijn kan worden verhoogd. Daarnaast wordt de toereikendheid van het structurele jaarlijkse budget elke vijf jaar geëvalueerd door het ministerie van VWS.

4

In het licht van de toegankelijkheid vragen de leden van de GroenLinks-fractie hoe het precies werkt met medicijnen die voorwaardelijk toegelaten zijn en waarvan de effectiviteit is bewezen. Stel dat de voorwaardelijke toelatingsperiode afloopt in mei van het jaar, komt het medicijn dan direct in het basispakket, of moet de patiënt dan wachten tot 1 januari van het volgend jaar? Hoe wordt voorkomen dat patiënten niet ineens een bepaalde tijd geen toegang hebben tot deze medicijnen?

Antwoord

Een wachttijd tot aanvang van een nieuw kalenderjaar is niet aan de orde. Het is de bedoeling dat een geneesmiddel waarvan de effectiviteit is aangetoond aansluitend op de voorwaardelijke toelating deel kan uitmaken van het basispakket. Ik zou het onwenselijk vinden als patiënten een bepaalde periode geen toegang zouden hebben tot een geneesmiddel waarvan de effectiviteit bewezen is. Aandachtspunt is wel dat geneesmiddelen op financieel verantwoorde wijze opgenomen worden in het basispakket. Hiervoor kan het nodig zijn een financieel arrangement aan te gaan met de fabrikant. In die gevallen zal ik uiteraard vroegtijdig met de fabrikant in gesprek treden om te voorkomen dat patiënten het geneesmiddel niet meer vergoed krijgen via hun zorgverzekering. Ik kan echter niet uitsluiten dat er zich een uitzonderlijke situatie voordoet waarin de onderhandeling met de fabrikant langer duurt. In deze situatie doe ik een beroep op de fabrikant om het geneesmiddel toch voor patiënten beschikbaar te stellen tijdens de onderhandeling. Het is aan de fabrikant om de kosten hiervoor - net als andere kosten die zijn gemaakt voor bijvoorbeeld ontwikkeling en productie van het geneesmiddel - mee te wegen in haar bereidheid om in de onderhandeling tot een resultaat te komen. Vanuit de kant van de overheid zal de opstelling voortaan zijn dat daar in de onderhandeling rekening mee gehouden kan worden.

1

De leden van de SP-fractie hebben kennisgenomen van het ontwerpbesluit alsook van de brief van de minister van oktober 2019². Zij constateren dat het onderzoek naar effectiviteit meestal wordt gefinancierd door de fabrikant en vragen wat andere opties voor financiering zijn en in welke gevallen hiervoor zou worden kunnen gekozen.

Antwoord

Als een geneesmiddel voorwaardelijk wordt toegelaten, wordt de behandeling met het middel – tijdelijk, voorwaardelijk en tegen een sterk verlaagde prijs - voor de verzekerde patiënt vergoed op grond van de zorgverzekering. Het is niet toegestaan om op grond van de zorgverzekering het onderzoek te vergoeden. Andere opties voor financiering van het onderzoek zijn echter niet nodig. De kosten voor het onderzoek zijn immers relatief laag in verhouding tot de uitgaven aan de behandeling. Bovendien vind ik het belangrijk en gerechtvaardigd van de fabrikant te vragen het onderzoek voor een voorwaardelijk toegelaten middel te financieren. Het gaat hier immers om het voorwaardelijk vergoeden van zorg waarvan nog onvoldoende is bewezen of het effectief is. De onafhankelijkheid van de uitvoering van het onderzoek wordt gewaarborgd doordat het onderzoeksprotocol vooraf door het Zorginstituut wordt beoordeeld, en het onderzoek altijd uitgevoerd moet worden door een onafhankelijke onderzoeksinstelling. Ook worden in het convenant dat partijen onderling afsluiten, afspraken gemaakt om de onafhankelijkheid van de uitvoering van het onderzoek en de publicatie van de resultaten te waarborgen.

2

Genoemde leden constateren dat de fabrikant een voorstel tot deelname aan de voorwaardelijke toelating moet indienen. Zij vragen wat er gebeurt als een fabrikant geen voorstel tot deelname aan de voorwaardelijke toelating indient, terwijl vergoeding vanuit het basispakket vanuit het oogpunt van de patiënt wel wenselijk is.

Antwoord

Het voorstel tot voorwaardelijke toelating moet worden ingediend door de fabrikant. Zonder medewerking van de fabrikant kan de voorwaardelijke toelating niet tot stand komen. De fabrikant moet immers allereerst het geneesmiddel beschikbaar stellen. Ook moet de fabrikant bereid zijn om het middel te leveren tegen een verlaagde prijs en om over de prijs van dit middel te onderhandelen met het ministerie van VWS. Behandelaren en/of patiëntenorganisaties kunnen uiteraard een fabrikant aansporen tot het indienen van een voorstel tot voorwaardelijke toelating en moeten ook betrokken te zijn bij het indienen van een voorstel.

3

Voorts vragen deze leden hoe een voorstel wordt getest op draagvlak van onderzoeksinstellingen, zorgaanbieders en patiëntenorganisaties. Wanneer wordt geconcludeerd dat aan deze voorwaarde wordt voldaan?

Antwoord

Het Zorginstituut toetst op verschillende momenten voorafgaand aan de voorwaardelijke toelating of er voldoende draagvlak is voor het onderzoek naar de

² Kamerstuk 29 477, nr. 621.

effectiviteit van het geneesmiddel waarvoor een voorstel tot voorwaardelijke toelating is ingediend.

Kenmerk

1698960-200254-WJZ

Eén van de criteria voor voorwaardelijke toelating is dat onderzoeksinstellingen, zorgaanbieders en patiëntenorganisaties het voorstel van de fabrikant voor voorwaardelijke toelating ondersteunen door middel van intentieverklaringen. Deze intentieverklaringen vormen een verplicht onderdeel van het voorwaardelijke toelatingsdossier. Op basis van dit dossier adviseert het Zorginstituut mij of een geneesmiddel een potentiële kandidaat voor voorwaardelijke toelating kan zijn. Immers, om het voorwaardelijke toelatingstraject te kunnen doen slagen is draagvlak en nauwe betrokkenheid van al deze partijen noodzakelijk.

In de volgende fase van de beoordeling of een middel in aanmerking komt voor voorwaardelijke toelating, moeten partijen (fabrikant, onderzoeksinstellingen, zorgaanbieders en patiëntenorganisaties) het onderzoekstraject met elkaar uitwerken en vastleggen in een convenant dat door alle partijen ondertekend moet worden. Tekent één van de betrokken partijen het convenant niet, dan komt een geneesmiddel niet in aanmerking voor deelname aan de voorwaardelijke toelating.

4

De leden van de SP-fractie vragen wat het financieel arrangement tussen fabrikant en minister zal inhouden. Wat stelt de minister zich in het kader van voorwaardelijke toelating voor bij een in financieel opzicht verantwoordelijke opname in het basispakket en in hoeverre zal het arrangement openbaar zijn?

Antwoord

Het beleid voor voorwaardelijke toelating richt zich op geneesmiddelen die (nog) niet bewezen effectief zijn en daarmee geen deel kunnen uitmaken van het basispakket. Ik vind het daarom allereerst van belang dat voor dergelijke geneesmiddelen een gereduceerde prijs betaald wordt. Ik zal dan ook met de fabrikant een financieel arrangement sluiten om hierover afspraken te maken. Ten tweede vind ik het belangrijk dat voor de Tweede Kamer en de premiebetaler transparant is wat uitgegeven wordt aan geneesmiddelen die nog niet pakketwaardig zijn. Daarom zal ik de totale uitgaven per voorwaardelijk toegelaten geneesmiddel openbaar maken.

5

De leden van de SP-fractie constateren dat deelname aan het onderzoek een voorwaarde is om het geneesmiddel vergoed te krijgen uit hoofde van de zorgverzekering. Zij vragen of deelname aan het onderzoek ook een garantie is dat patiënten het geneesmiddel vergoed krijgen en dat er sprake is van gelijke behandeling van alle patiënten. Deze leden wijzen hierbij naar het Spinraza-traject dat recentelijk van start is gegaan en waar patiënten alsnog moeten wachten op het middel. Het verloop van het traject is uitbesteed aan een notaris die via een loting bepaalt welke patiënt kan starten met de behandeling, ongeacht de ernst en het stadium van de progressieve ziekte Spinale musculaire atrofie (SMA), waarvoor Spinraza het medicijn is. Genoemde leden vragen of dit ook had kunnen gebeuren onder de nieuwe regels bij het traject van voorwaardelijke toelating.

Antwoord

De voorwaardelijke toelating zorgt – naast verder onderzoek naar effectiviteit – ook voor tijdelijke en gecontroleerde toegang voor alle patiënten. Dit betekent dat als een middel voorwaardelijk wordt toegelaten, *alle* patiënten die voor de specifieke interventie-indicatiecombinatie in aanmerking komen (in onderzoeksverband) toegang tot dit middel krijgen op grond van hun zorgverzekering. Dit is niet anders dan bij het geneesmiddel Spinraza waar de

leden van de fractie van de SP aan refereren. In het kader van die voorwaardelijke toelating is per 1 januari 2020 een relatief grote groep bestaande patiënten tegelijkertijd voor behandeling met Spinraza in aanmerking gekomen. De behandeling met Spinraza is complex en tijdrovend. Daardoor is het helaas niet mogelijk om alle patiënten tegelijk in onderzoeksverband te laten starten met de behandeling. Daarom hebben de specialisten van het behandelcentrum samen met een ethicus 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. Uiteindelijk zullen alle patiënten die voor behandeling in aanmerking komen toegang krijgen tot de behandeling met Spinraza. De patiëntenorganisatie Spierziekten Nederland heeft aangegeven deze aanpak te steunen.

Kenmerk

1698960-200254-WJZ

6

De leden van de SP-fractie vragen op basis waarvan is gekozen voor een termijn van maximaal zeven en een termijn van maximaal veertien jaar. Zij vragen of de termijn dus ook korter kan duren en of dit dan ook bij aanvang moet worden bepaald.

Antwoord

Voor het eerste deel van de vraag, verwijs ik naar de beantwoording van vraag 1 van de leden van de VVD-fractie. Elke voorwaardelijke toelating is maatwerk. Er wordt dus per voorwaardelijke toelating beoordeeld welke onderzoeksduur nodig is om de vraag te beantwoorden of de behandeling met geneesmiddel bewezen effectief is. Deze termijn wordt bij aanvang van de voorwaardelijke toelating bepaald.

Wel is het zo dat bij onderzoekstrajecten voor een voorwaardelijke toelating van zeven tot maximaal veertien jaar ook tussentijdse *go/no go* momenten worden afgesproken. Vooraf worden met alle betrokken partijen tussentijdse resultaten afgesproken die het effectiviteitsonderzoek op deze *go/no go* momenten minimaal moet laten zien. Zijn de tussentijdse resultaten niet behaald, dan kan worden besloten de voorwaardelijke toelating te beëindigen. Zijn deze wel behaald, dan wordt het voorwaardelijke toelatingstraject voortgezet.

7

Voorts vragen deze leden waarom er niet voor gekozen is het mogelijk te maken de termijn van maximaal zeven jaar te verlengen naar een termijn van maximaal veertien jaar. Zij vragen of het niet denkbaar wordt geacht dat gedurende het traject men erachter komt dat een termijn van maximaal veertien jaar toch wenselijk is.

Antwoord

Ik verwijs voor mijn beantwoording van deze vragen naar de beantwoording van vraag 10 van de leden van de D66-fractie.

8

De leden van de SP-fractie lezen in de brief van de minister uit oktober 2019 dat een middel moet voorzien in een *unmet medical need* volgens de EMA, om in aanmerking te komen voor het traject van voorwaardelijke toelating. De EMA toetst enkel op de balans tussen werkzaamheid en veiligheid; en niet, zoals het Zorginstituut, op meerwaarde ten opzichte van de standaardzorg die tot dan toe geleverd wordt. Genoemde leden vragen of de EMA dus wel in alle gevallen op meerwaarde van een geneesmiddel test. Hoe kan anders aan deze voorwaarde worden voldaan?

Antwoord

Het is correct dat de EMA voor de markttoelating van een geneesmiddel op de eigen merites van het nieuwe geneesmiddel beoordeelt of de balans tussen de werkzaamheid en de risico's positief is. Voor ernstige en levensbedreigende aandoeningen waar geen geschikte behandeling voor is, of waar het nieuwe geneesmiddel in zijn algemeenheid een belangrijke meerwaarde heeft ten opzichte van bestaande behandelmogelijkheden, en zo de *unmet medical need* adresserend, kan een geneesmiddel voorwaardelijk op de markt komen, terwijl nog nader onderzoek plaats moet vinden. Het snel beschikbaar komen van het nieuwe geneesmiddel weegt dan op tegen de resterende onzekerheden over het geneesmiddel. Voorwaarde is wel dat de fabrikant in staat moet zijn de nadere gegevens op een voor de betreffende situatie redelijke termijn te leveren. Als dat niet kan, bijvoorbeeld omdat het een zeer zeldzame ziekte betreft, kan de EMA een toelating onder *exceptional circumstances* toekennen. Ook dit doet de EMA alleen als er sprake is van een *unmet medical need*. Het criterium *unmet medical need* is eveneens van toepassing bij de toekenning van een speciale status aan een geneesmiddel dat nog in ontwikkeling is, zoals de weesgeneesmiddelstatus.

Al met al kunnen vier los van elkaar staande toetsen worden onderscheiden: 1) of er sprake is van *unmet medical need* (EMA), 2) of de balans tussen de werkzaamheid en risico's van een geneesmiddel positief is (EMA), 3) of er sprake is van een therapeutische meerwaarde van een geneesmiddel ten opzichte van de standaardbehandeling in Nederland (Zorginstituut) en 4) of een geneesmiddel in aanmerking komt voor het traject van voorwaardelijke toelating (Zorginstituut).

9

De leden van de SP-fractie vragen of er een maximale termijn is waarin het voorstel voor voorwaardelijke toelating moet worden goed- of afgekeurd.

Antwoord

Het Zorginstituut streeft naar het voortvarend doorlopen van de procedure tot voorwaardelijke toelating. Het is aan partijen om zo snel als mogelijk een dossier met het onderzoeksvoorstel voor voorwaardelijke toelating in te dienen. Bij de vroege indieningsprocedure duurt het ongeveer zes maanden voor het Zorginstituut een advies heeft opgesteld. Bij indiening nadat het Zorginstituut de effectiviteit al heeft beoordeeld in het kader van een negatief advies over pakketopname of van een negatieve duiding, verwacht het Zorginstituut binnen vier maanden na ontvangst te kunnen adviseren over de voorwaardelijke toelating. Daarna volgen de prijsonderhandelingen en werken partijen parallel de nadere voorwaarden met elkaar uit om deze vast te leggen in een convenant dat door alle partijen ondertekend wordt. Het opstellen van het convenant duurt bij voorkeur maximaal zes maanden.

10

Voorts vragen zij in welke gevallen de maximale termijn van veertien jaar geschikt zal worden geacht.

Antwoord

Het Zorginstituut adviseert over de noodzaak van een langere onderzoekstermijn dan zeven jaar op basis van de onderbouwing van deze noodzaak in het ingediende onderzoeksvoorstel voor de voorwaardelijke toelating van een specifiek geneesmiddel. Meer algemeen wordt voorzien dat een langere onderzoeksduur nodig kan zijn bij een geneesmiddel voor aandoeningen met een heterogene patiëntpopulatie en/of kleine patiëntaantallen met een langzaam progressief en/of

heterogeen ziekteverloop. Het lijkt in die gevallen niet altijd mogelijk de effectiviteit in binnen een termijn van zeven jaar aan te tonen.

Kenmerk

1698960-200254-WJZ

11

Deze leden vragen hoe de wettelijke grondslag voor voorwaardelijke toelating verschilt van de grondslag wanneer een middel is opgenomen in het basispakket. Hoe wordt de voorwaardelijke en gecontroleerde toegang vormgegeven gedurende het traject van voorwaardelijke toelating? Waarin verschilt dit van wanneer een middel is opgenomen in het basispakket?

Antwoord

Het verschil is dat verzekerden alleen recht op voorwaardelijk toegelaten geneesmiddelen hebben indien zij aan de daaraan gestelde voorwaarden voldoen. De belangrijkste voorwaarde is dat zij deelnemen aan het onderzoek naar de effectiviteit van het geneesmiddel. Voor geneesmiddelen die anderszins in het basispakket zijn opgenomen, gelden deze voorwaarden niet.

12

Hoe wordt de overgang gemaakt van het traject van voorwaardelijke toelating naar een positieve, dan wel negatieve beoordeling door het Zorginstituut? Hoe zal dit proces voor patiënten verlopen in beide gevallen en wat zal de patiënt ervan merken?

Antwoord

Voor de beantwoording van de vraag wat er na een positieve beoordeling van het Zorginstituut gebeurt, verwijs ik naar de beantwoording van de vraag 4 van de leden van de GroenLinks-fractie.

Na een negatief oordeel van het Zorginstituut kan het geneesmiddel geen deel uitmaken van het basispakket. Na afloop van de voorwaardelijke toelating zal het geneesmiddel dan ook niet meer vergoed worden. In dat geval treden de exit-strategie en het de-implementatietraject zoals afgesproken door alle betrokken partijen in het convenant in werking. De behandeling van de patiënt met het betreffende middel zal dan dus op verantwoorde wijze afgebouwd en zo mogelijk worden gestopt.

13

De leden van de SP-fractie vragen waar het budget van 26,8 miljoen euro per jaar aan zal worden besteed, met name aangezien het meestal de fabrikant is die de onderzoekskosten voor zijn rekening neemt. Zij vragen of het budget onder andere voor het door minister en fabrikant te sluiten arrangement zal worden gebruikt.

Antwoord

Het budget van opeend structureel € 26,8 miljoen per jaar zal enkel worden besteed aan de vergoeding van de behandeling van verzekerde patiënten met voorwaardelijk toegelaten geneesmiddelen. De kosten van de behandeling worden verminderd door het afsluiten van het financieel arrangement met de fabrikant waarin een lagere prijs van het geneesmiddel wordt bedongen.

14

Kan de minister toelichten in hoeverre hij van mening is dat het budget toereikend zal zijn?

Antwoord

Voor het antwoord op deze vraag wordt verwezen naar de beantwoording van vraag 2 van de leden van de fractie van D66 en van vraag 3 van de leden van de GroenLinks-fractie.

Kenmerk

1698960-200254-WJZ

15

Kan de minister hierbij specifiek ingaan op de toename van het aantal veelbelovende behandelingen waarvan de werkzaamheid en toegevoegde waarde moeilijker aan te tonen zal zijn?

Antwoord

Bij de totstandkoming van het nieuwe beleid voor voorwaardelijke toelating is nadrukkelijk gekeken naar de ontwikkeling van het aantal weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals* in het verleden en de verwachtingen daarvan in de toekomst. Ook heeft het Zorginstituut mij laten weten dat zij inschat voor ongeveer twee tot drie geneesmiddelen per jaar een voorstel tot voorwaardelijke toelating te ontvangen. Het beschikbare budget zal elke vijf jaar geëvalueerd worden door het ministerie van VWS.

16

Genoemde leden constateren dat het traject van voorwaardelijke toelating in principe een wachtrij is voor het basispakket. Als er geen budget is voor de voorwaardelijke toelating, zal dáár een wachtrij voor ontstaan, wat betekent dat er een wachtrij voor de wachtrij kan ontstaan. Wat is het alternatief?

Antwoord

Voorwaardelijke toelating is geen wachtrij voor het basispakket. Het voorziet in de mogelijkheid om een geneesmiddel waarvan de effectiviteit nog onvoldoende is aangetoond tijdelijk en voorwaardelijk op te nemen in het basispakket teneinde de effectiviteit (verder) te onderzoeken. In het geval dit beleid er niet was geweest, zou het betreffende geneesmiddel dus niet pakketwaardig zijn en geen deel uitmaken van het basispakket. Met het nieuwe beleid voor voorwaardelijke toelating creëer ik juist de mogelijkheid om de effectiviteit verder te onderzoeken en tegelijkertijd vervroegde toegang te bieden tot het geneesmiddel aan alle patiënten.