

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**  
1274372-171288-GMT

**Uw brief**

**Bijlage(n)**

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

Datum 11 december 2017  
Betreft Beschikbaarheidsregeling Spinraza (nusinersen)

Geachte voorzitter,

In mijn brief van 22 november 2017<sup>1</sup> informeerde ik uw Kamer dat ik op zoek zou gaan naar een oplossing om het geneesmiddel Spinraza (nusinersen) gedurende de sluisprocedure beschikbaar te krijgen voor patiënten met Spinale Musculaire Atrofie (SMA) met een dringende behandelbehoefte. Met deze brief bericht ik u over de afspraken die ik in dit kader heb gemaakt met Biogen, de leverancier van Spinraza en doe ik mijn toezegging uit het Algemeen Overleg van 22 november 2017 gestand om u in een termijn van drie weken te informeren.

Ter overbrugging van de sluisperiode stelt Biogen het geneesmiddel Spinraza reeds beschikbaar aan het UMCU voor de behandeling van kinderen met SMA type 1, de meest ernstige vorm van de ziekte. De kosten hiervoor komen voor rekening van Biogen. Eerder dit jaar heeft de patiëntenorganisatie Spierziekten Nederland een oproep gedaan aan de minister van VWS en Biogen om te komen tot een tussenoplossing om gedurende de sluisperiode de toegang ook mogelijk te maken voor ernstige aangedane kinderen met SMA type 2 met een dringende behandelbehoefte. Het gaat hier volgens de patiëntenorganisatie om een beperkte groep kinderen met een ernstige vorm van SMA type 2, die snel achteruit gaan en hun inmiddels verworven motorische vaardigheden in hoog tempo verliezen.

Ik wil voorop stellen dat ik leveranciers van geneesmiddelen, gezien hun keuzes met betrekking tot prijsstelling van hun producten, gedurende de sluisperiode primair verantwoordelijk houd voor het beschikbaar stellen van het geneesmiddel aan patiënten met een dringende behandelbehoefte. In dit specifieke geval ben ik bereid een regeling te treffen met de leverancier. Dit vanwege de dringende en grote behandelbehoefte van deze ernstig aangedane patiënten, waarvoor de patiëntenorganisatie en uw Kamer aandacht hebben gevraagd.

Het ministerie en Biogen zijn in het belang van de patiënten in constructief overleg gekomen tot een gezamenlijke oplossing. In het kader van die gezamenlijke en vertrouwelijke afspraken verstrekt Biogen Spinraza aan het SMA expertisecentrum van het UMC Utrecht voor behandeling van patiënten met een dringende behandelbehoefte die conform de in deze brief beschreven

---

<sup>1</sup> Kamerstukken II 2017/18, 29 477 nr. 454

beschikbaarheidsregeling daarvoor in aanmerking komen. Gedurende de sluis wordt, zoals bij u bekend is, het geneesmiddel niet vergoed uit het basispakket.

#### *Spinraza in de sluis*

Op dit moment is Spinraza voor de behandeling van SMA opgenomen in de sluis. In eerdere brieven is uw Kamer geïnformeerd over het voornemen tot plaatsing in de sluis<sup>2</sup> en de daadwerkelijke plaatsing in de sluis (Regeling van de Staatssecretaris van Volksgezondheid, Welzijn en Sport van 8 mei 2017, kenmerk Z-1130507-163532).

Spinraza is in de sluis geplaatst gezien het geschatte buitengewoon hoge macrokostenbeslag. Doel van plaatsing in de sluis is het borgen van een duurzame en maatschappelijk betaalbare verzekerde toegang tot de behandeling met Spinraza. In de sluisperiode wordt de behandeling met Spinraza door het Zorginstituut getoetst aan de criteria voor het basispakket, worden eventueel gepast gebruik maatregelen geborgd en zal het ministerie onderhandelen met de leverancier over een aanvaardbare prijs. Onder voorbehoud van de voortgang van de voornoemde acties verwacht ik begin 2018 een advies van het Zorginstituut en verwacht ik in het tweede kwartaal van 2018 een besluit te kunnen nemen over opname van Spinraza in het basispakket. Tot die tijd is Spinraza géén verzekerde zorg.

#### *Wat houdt de beschikbaarheidsregeling in?*

De beschikbaarheidsregeling die het ministerie van VWS en Biogen zijn overeengekomen is afgestemd met het SMA expertisecentrum van het UMC Utrecht en de patiëntenorganisatie Spierziekten Nederland. Ik ben blij met deze samenwerking. In lijn met het verzoek van de patiëntenorganisatie Spierziekten Nederland is de gezamenlijke doelstelling (van het ministerie en Biogen) van de regeling dat Spinraza snel beschikbaar komt voor kinderen met SMA type 2 en type 3a met de meest dringende behandelbehoefte, zodat zij zo snel mogelijk kunnen starten met de behandeling. In de praktijk zal het hier vooral gaan om kinderen jonger dan 5 jaar. Het gaat hier naar verwachting om circa 30 patiënten.

Het ministerie van VWS en Biogen zijn onder andere het volgende overeengekomen over de beschikbaarheidsregeling:

1. De beschikbaarheidsregeling betreft de behandeling van patiënten met SMA type 2 en type 3a met de meest dringende behandelbehoefte volgens een triageprotocol van het SMA expertisecentrum van het UMC Utrecht.
2. Als onderdeel van de gezamenlijke afspraken tussen het ministerie van VWS en Biogen stelt Biogen Spinraza beschikbaar aan het SMA expertisecentrum van het UMC Utrecht.
3. De overeengekomen regeling loopt tot 1 mei 2018.
4. In het kader van de afspraken tussen VWS en Biogen zal het ministerie van VWS een financiële bijdrage verlenen aan onderzoek voor het bevorderen van gepast gebruik dan wel de verbetering van de kwaliteit van zorg voor patiënten met SMA.
5. De inhoud van de overige afspraken is vertrouwelijk.

---

<sup>2</sup> Kamerstukken II, vergaderjaar 2016-2017, 29477 nr. 416

Zoals gezegd stelt Biogen Spinraza al beschikbaar voor de behandeling van kinderen met SMA type 1, waarbij de kosten voor rekening van Biogen komen. Op dit moment worden al 16 kinderen met SMA type 1 behandeld met Spinraza door het SMA expertisecentrum van het UMC Utrecht.

#### *Uitvoering van de regeling*

Nu het ministerie van VWS en Biogen deze beschikbaarheidsregeling zijn overeengekomen, zullen Biogen en het SMA expertisecentrum van het UMC Utrecht zo snel mogelijk afspraken maken om de uitvoering spoedig in gang te zetten. De verwachting is dat Biogen en UMC Utrecht nog enkele weken nodig hebben om te kunnen starten met de behandeling van de eerste patiënten.

Niet alle patiënten die in aanmerking komen zullen direct bij aanvang van de regeling kunnen worden behandeld. Er is bij de toediening van Spinraza sprake van een intensief en complex behandelproces. Gedurende de eerste twee maanden van de behandeling van een individuele patiënt is er vier keer een meerdaagse ziekenhuisopname. Vanwege deze complexe behandeling gaat het SMA expertisecentrum er van uit dat er per week één tot twee patiënten de behandeling kunnen starten.

Het UMC Utrecht heeft een triageprotocol vastgesteld en een indicatiecommissie ingesteld die de volgorde van te behandelen patiënten bepaalt op basis van ernst van de ziekte en ziekteduur. In de indicatiecommissie zitten onder andere kinderneurologen en medisch ethici.

Hoewel Spinraza voor de behandeling van SMA gedurende de sluis en de beschikbaarheidsregeling géén onderdeel is van het verzekerde pakket, is de zorg rondom de toediening van Spinraza gedurende de beschikbaarheidsregeling wel verzekerde zorg (zoals bijvoorbeeld de kosten van de opname in het ziekenhuis).

Het SMA expertisecentrum van het UMC Utrecht zal (telefonisch) contact opnemen met de ouders van kinderen die voor behandeling in aanmerking komen voor het maken van een poliklinische afspraak. Daarna volgt een screening en wordt besloten over het al dan niet starten van behandeling. Patiënten die nog niet bekend zijn bij het SMA expertisecentrum van UMC Utrecht kunnen contact opnemen met het SMA expertisecentrum. Voor meer informatie voor patiënten en hun familie over de uitvoering van de beschikbaarheidsregeling verwijs ik naar de informatievoorziening van het SMA behandelcentrum en van de patiëntenorganisatie Spierziekten Nederland.

Hoogachtend,

de minister voor Medische Zorg  
en Sport,

Bruno Bruins