

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
1421615-181071-GMT

Bijlagen
1

Uw brief
14 september 2018

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

Datum 1 oktober 2018
Betreft Kamervragen

Geachte voorzitter,

Hierbij zend ik u de antwoorden op de vragen van het Kamerlid Dik-Faber (CU)
over de vergoeding van het medicijn Translarna (2018Z16103).

Hoogachtend,

de minister voor Medische Zorg
en Sport,

Bruno Bruins

Antwoorden op Kamervragen van het Kamerlid Dik-Faber (ChristenUnie) over de vergoeding van het medicijn Translarna (2018Z16103).

1

Bent u bekend met het medicijn Translarna (ataluren) voor een specifieke groep kinderen met spierdystrofie van Duchenne door een nonsense mutatie in het dystrofinegen? Hoeveel kinderen in ons land gebruiken dit medicijn? Klopt het dat de fabrikant PTC Therapeutics gestopt is met het gratis verstrekken van dit medicijn? Kunt u aangeven sinds wanneer het middel beschikbaar is en wat de reden ervan is dat de fabrikant de gratis verstrekking beëindigt?

Antwoord vraag 1

Ja, daar ben ik mee bekend. In Nederland zijn er 11 kinderen van vijf jaar en ouder die de ziekte hebben. Van hen worden er momenteel drie behandeld met Translarna, gratis verstrekt door de fabrikant. Fabrikant PTC Therapeutics heeft mij laten weten per 1 oktober te stoppen met het gratis verstrekken van Translarna. De fabrikant geeft aan dat hij niet langer bereid is Translarna gratis te verstrekken omdat Nederland tot de conclusie is gekomen het geneesmiddel niet te kunnen vergoeden (zie mijn antwoord op vraag 4 voor verdere toelichting).

2

Kunt u aangeven waarom de fabrikant geen verlenging heeft aangevraagd voor het 'compassionate-use'-programma, of verlenging inderdaad mogelijk was en tegen welke vergoeding?

Antwoord vraag 2

Een 'compassionate-use'-programma is van toepassing bij een (nog) niet geregistreerd geneesmiddel. Het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG) kan dan toestemming verlenen voor het in de handel brengen van dat geneesmiddel in schrijnende gevallen. De fabrikant kan het geneesmiddel dan beschikbaar stellen voor de patiënten. Voor het geneesmiddel Translarna is door het CBG in het verleden geen 'compassionate use'-programma goedgekeurd. Nu Translarna is geregistreerd komt het niet meer in aanmerking voor 'compassionate-use'. Het staat de fabrikant wel vrij om een geneesmiddel dat niet vergoed wordt, gratis te verstrekken.

3

Is u bekend dat het European Medicines Agency (EMA) en het Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) positief hebben geadviseerd over het medicijn en onlangs op basis van nieuwe studies zelfs hebben aanbevolen om het medicijn ook voor kinderen jonger dan 5 jaar aan te bieden?

Antwoord vraag 3

Het is mij bekend dat de CHMP op 23 juli 2018 de toepassing van Translarna bij kinderen van 2 tot 5 jaar heeft goedgekeurd. Deze beslissing is gebaseerd op resultaten van een studie met als hoofddoel verzameling van veiligheidsinformatie. Daarnaast verzamelde de studie gegevens over klinische effecten, maar op dat punt vertoonde de studie volgens de CHMP tekortkomingen. De CHMP concludeerde op basis van de studie dat het veiligheidsprofiel voor kinderen van 2 tot 5 jaar niet afwijkt ten opzichte van kinderen boven 5 jaar. Omdat het ziekteproces onafhankelijk is van de leeftijd van een kind en het aannemelijk is dat de veiligheid en de werkzaamheid van Translarna voor jonge en

oudere kinderen vergelijkbaar zijn, heeft de CHMP toepassing bij kinderen van 2 tot 5 jaar goedgekeurd. Gezien de tekortkomingen stelde de CHMP echter tevens vast dat de nieuwe studieresultaten op zich geen bewijs vormen voor de werkzaamheid van Translarna. Er is geen uitsluitel over de grootte van het effect, de klinische relevantie van dat effect en de mogelijk daaraan gerelateerde voordelen van behandeling met Translarna op de lange termijn. Om die reden heeft de EMA aan Translarna een status van voorwaardelijke markttoelating toegekend en deze geldt nog steeds.

4

Kunt u aangeven waarom het Zorginstituut negatief heeft geadviseerd over het medicijn Translarna (ataluren)? Deelt u de mening dat de gehanteerde criteria voor (voorwaardelijke) toelating tot het basispakket onvoldoende geschikt zijn voor een weesgeneesmiddel zoals Translarna, waar slechts een beperkte groep kinderen gebruik van maakt?

Antwoord vraag 4

Het Zorginstituut heeft de studies met Translarna beoordeeld en vastgesteld dat deze onvoldoende bewijs leveren voor een gunstig effect van Translarna op uitstel van verlies van het loopvermogen. Ook hebben de studies geen bevestiging gegeven van het theoretisch veronderstelde werkingsmechanisme van het geneesmiddel. Om die reden kan Translarna volgens hen niet worden opgenomen in het Geneesmiddelenvergoedingssysteem (GVS) van het basispakket. De huidige procedure voor voorwaardelijke toelating is op een aantal punten minder geschikt voor opname van weesgeneesmiddelen tot het basispakket. Om die reden werk ik momenteel een aparte regeling uit voor snellere toegang tot (wees)geneesmiddelen die door het Europees Medicijnagentschap (EMA) voorwaardelijk of met minder bewijs tot de markt zijn toegelaten. Zie ook mijn antwoorden op vragen 7 en 8.

5

Klopt het dat Translarna in 22 landen in Europa wel wordt vergoed en dat de onderhandelingen met de medicijnfabrikant in België en Ierland nog gaande zijn? Kunt u verklaren waarom het medicijn in 22 landen wél wordt vergoed en in ons land niet? Ziet u mogelijkheden om aan te sluiten bij de onderhandelingen die in België (en/of Ierland) worden gevoerd?

Antwoord vraag 5

Van de fabrikant van Translarna ontving ik een lijst met 17 Europese landen waar Translarna beschikbaar is. Dit hoeft niet te betekenen dat het middel in die landen per definitie is opgenomen in het verzekerde pakket. Van vergoeding lijkt in 12 landen sprake te zijn. Navraag bij mijn collega's in België en Ierland leert me dat de fabrikant daar momenteel niet in onderhandeling is over de prijs van Translarna. Elk land bepaalt afzonderlijk, volgens eigen procedures en aan de hand van eigen criteria of een geneesmiddel wel of niet voor vergoeding in aanmerking komt. Op basis van het advies van Zorginstituut Nederland zie ik geen reden om tot onderhandeling over te gaan, of om aan te sluiten bij onderhandelingen in andere landen. Onderhandelingen zijn bedoeld voor geneesmiddelen waarbij de kosten een bezwaar vormen maar waarbij de klinische effectiviteit met voldoende bewijs is vastgesteld. Helaas is dat bij Translarna nog niet het geval (zie ook mijn antwoorden op vragen 3 en 4).

6

Deelt u de mening dat naar Translarna voldoende praktijkonderzoek is gedaan?
Kunt u uw antwoord toelichten?

Antwoord vraag 6

Het is mij niet bekend dat er gegevens beschikbaar zijn over praktijkonderzoek met Translarna, anders dan de gegevens die reeds zijn meegenomen in de beoordeling door de EMA.

7

Herinnert u zich uw toezegging om een aparte regeling uit te werken voor weesgeneesmiddelen waarvan de effectiviteit nog ter discussie staat, maar die door specifieke groepen patiënten als effectief worden ervaren? Kunt u aangeven wanneer die regeling gereed is?

Antwoord vraag 7

Medio mei 2018 heb ik u geïnformeerd dat ik een aparte regeling uitwerk voor de versnelde toegang tot geneesmiddelen die met minder of ander type bewijs op de markt komen, als opvolger van de huidige regeling voor voorwaardelijke pakkettoelating (Kamerbrieven II 2017/2018, 29689, nr. 905). Ik ben hiermee bezig en zal u, zoals toegezegd, voor het einde van dit jaar informeren over de verdere uitwerking hiervan. Zie ook mijn antwoorden op vragen 4 en 8.

8

Denkt u dat de groep kinderen met spierdystrofie van Duchenne een beroep kunnen doen op deze regeling?

Antwoord vraag 8

De regeling voor versnelde toegang tot geneesmiddelen zal zich richten op geneesmiddelen die met minder of ander type bewijs op de markt komen, zoals weesgeneesmiddelen en middelen die door de EMA voorwaardelijk tot de markt worden toegelaten (zie ook mijn antwoorden op vragen 4 en 7) . Het is nog te vroeg om te zeggen welke specifieke middelen al dan niet in aanmerking komen voor de nieuwe regeling. Ik kan daarom op voorhand geen uitspraak doen of Translarna voldoet aan de criteria voor opname in de nieuwe regeling.

9

Bent u bereid in overleg te treden met de fabrikant om verstrekking te bepleiten in de tussenliggende periode om te voorkomen dat kinderen onnodig achteruit gaan in hun ziekte?

Antwoord vraag 9

Zoals aangegeven in mijn antwoord op vraag 4 is Translarna afgewezen voor vergoeding in Nederland. Het medicijn heeft een therapeutische minderwaarde vanwege onvoldoende bewijs voor een klinisch relevant effect (loopvermogen, spierkracht) ten opzichte van placebo. Ik zal de fabrikant daarom ook niet aansporen om door te gaan met het gratis verstrekken van het afgewezen medicijn. Het staat de fabrikant vrij om dit op eigen initiatief wel te doen, zoals aangegeven in mijn antwoord op vraag 2.