

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

3750342-1059758-GMT

Bijlage(n)

-

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

Datum 22 januari 2024
Betreft Analyse *early access* programma's voor geneesmiddelen
in andere landen

Geachte voorzitter,

Een belangrijke mijlpaal in de levenscyclus van een geneesmiddel is het moment waarop het product verhandeld mag worden en wordt vergoed via collectieve zorgverzekeringen. Voor markttoelating moet het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) of het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG) vaststellen dat het geneesmiddel van goede kwaliteit is en de werkzaamheid van het geneesmiddel opweegt tegen de bijwerkingen. Hierna volgt in iedere afzonderlijke Europese lidstaat een vergoedingsprocedure om te besluiten of en zo ja, tegen welke voorwaarden en prijs een geneesmiddel tot de zorgverzekering kan worden toegelaten. Het zijn procedures die tijd vergen, maar ook duidelijkheid moeten bieden: is het geneesmiddel werkzaam en veilig, is het ook het juiste product voor de behandeling van patiënten met een bepaalde ziekte? En leidt het tot verantwoorde collectieve uitgaven?

Met deze brief geef ik u inzicht in hoe andere landen omgaan met de beschikbaarstelling van geneesmiddelen *na* de markttoelatingstoets, *in afwachting op* een definitief vergoedingsbesluit. Dit heb ik de Tweede Kamer in het Commissiedebat Geneesmiddelen op 22 maart 2023 toegezegd. Hiertoe schets ik allereerst een overzicht van de systemen in andere Europese landen met een focus op Duitsland en Frankrijk, vervolgens mijn overwegingen om in Nederland geneesmiddelen niet te vergoeden in de periode tussen markttoelating en het afronden van de onderhandeling en tot slot mijn inspanningen om deze periode zo kort mogelijk te houden.

1. Systemen in andere landen vergeleken

Vrijwel alle landen in Europa hanteren een systeem waarbij voorafgaand aan het vergoedingsbesluit een toets op pakketwaardigheid wordt uitgevoerd (*de pakketbeoordeling*). Ook vrijwel alle Europese lidstaten kennen een vorm van financiële afspraken voor (dure) geneesmiddelen voordat ze vergoed worden (*een financieel arrangement*).

Deze min of meer universele aanpak heeft als doel ervoor te zorgen dat alleen geneesmiddelen uit collectieve middelen worden vergoed die bewezen gelijke waarde of meerwaarde hebben boven de standaardbehandeling en ook verantwoorde uitgaven kennen. Hoewel dit vaak enige tijd vergt nadat de markttoelating is geregeld, wordt dit breed toegepast vanuit de ervaring dat dit verantwoorde uitgaven aan zorg waarborgt.

Kenmerk
3750342-1059758-GMT

Dit is in lijn met de Nederlandse praktijk. In Nederland is de uitzondering hierop dat nieuwe geneesmiddelen die in het ziekenhuis worden voorgeschreven, de intramurale geneesmiddelen, voor het merendeel zonder pakketbeoordeling en op verzoek van voorschrijvers uit het basispakket worden vergoed. Zorgverzekeraars moeten zich ervan vergewissen dat het product voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk, maar een volledige pakkettoets door het Zorginstituut is niet nodig. Deze middelen kunnen daarmee snel en breed beschikbaar zijn.

Wanneer fabrikanten hoge prijzen vragen voor hun geneesmiddel en er hoge kosten voor de totale patiëntenpopulatie mee zijn gemoeid, ben ik genooddaakt om geneesmiddelen pas toe te laten na een financiële afspraak met de fabrikant. Dit betekent dat deze middelen niet direct beschikbaar zijn voor de patiënt. Het heeft onder meer te maken met de tijd die de fabrikant nodig heeft voor het indienen voor een dossier bij het Zorginstituut, de beoordelingsprocedure door het Zorginstituut en de mogelijke onderhandelingen met het ministerie van VWS daarna. In deze periode is een geneesmiddel in Nederland alleen toegankelijk als fabrikanten geneesmiddelen om niet beschikbaar stellen aan patiënten. In slechts enkele landen vergoedt de overheid een geneesmiddel al voordat een definitief vergoedingsbesluit wordt genomen.

Ik wil benadrukken dat er grote verschillen bestaan tussen de organisatie en financiering van gezondheidszorg in de verschillende Europese landen. Dit maakt een goede vergelijking niet altijd eenvoudig. Om een zo accuraat mogelijke vergelijking te kunnen maken, maak ik daarom een onderscheid tussen regelingen voor en na markttoelating.

2. Toegang voorafgaand aan markttoelating

Voorafgaand aan een besluit over markttoelating door het EMA of CBG is de toegang tot geneesmiddelen uitsluitend en onder voorwaarden mogelijk in het kader van geneesmiddelenonderzoek, voor 'gebruik in schrijvende gevallen' (*compassionate use*).

1. Bij onderzoek

Bij verstrekking in het kader van geneesmiddelenonderzoek maakt de patiënt deel uit van de onderzoekspopulatie. De kosten voor het geneesmiddel worden vergoed door de sponsor van de studie. Dat is doorgaans de firma van het geneesmiddel.

2. Ten behoeve van 'compassionate use'

Patiënten kunnen toegang krijgen tot geneesmiddelen als het gaat om een ernstige aandoening waarvoor geen alternatief geneesmiddel op de markt is en het geneesmiddel in de toekomst tot de markt zou worden toegelaten. Een fabrikant moet hiervoor een verzoek bij het CBG indienen. De fabrikant is verantwoordelijk voor de kosten van het geneesmiddel.

3. Systemen voor vergoeding van (nog) niet geregistreerde geneesmiddelen

Een beperkt aantal landen kent een ruimere vergoeding voor nog niet geregistreerde, potentieel levensreddende geneesmiddelen. Dit geldt voor het 'Early Access to Medicines Scheme' van het Verenigd Koninkrijk¹ en het 'Fondo Nazionale AIFA ('Fondo 5%')', het '5% fonds' in Italië². Deze regelingen worden vaak ook aangeduid als *early access* programma. Aangezien ik mij in deze brief in overeenstemming met het verzoek van de Kamer richt op de periode na markttoelating, laat ik deze systemen verder buiten beschouwing.

Kenmerk
3750342-1059758-GMT

3. Vergoeding na markttoelating

Indien de Nederlandse praktijk van open instroom van intramurale geneesmiddelen niet wordt meegerekend, zijn er slechts drie landen waarbij het mogelijk is om direct na markttoelating een brede vergoeding voor nieuwe geneesmiddelen te ontvangen.

Om een goede vergelijking te maken, richt ik mij op landen die een route kennen die een tijdelijke vergoeding mogelijk maken voor alle geschikte patiënten. Zo kent Zwitserland weliswaar een route voor vroeger toegang³, maar is het aan de individuele verzekeraar om deze vergoeding per patiënt toe te kennen. Daarmee valt dit systeem af in mijn verdere beschouwing.

Frankrijk (Autorisation d'accès précoce – AAP)⁴

Op verzoek van de fabrikant kunnen geneesmiddelen in Frankrijk na registratie worden vergoed door de verzekeraar, lopende de onderhandelingen. Niet alle geneesmiddelen komen hiervoor in aanmerking. Het gaat alleen om geneesmiddelen die gebruikt worden voor een ernstige ziekte, waarvoor geen andere behandeling beschikbaar is én die een belangrijke innovatie met zich meebrengen. Formeel kan dit proces maximaal één jaar duren, maar dit kan wel verlengd worden als er nieuwe informatie beschikbaar komt. Als het geneesmiddel uiteindelijk niet wordt vergoed, is de fabrikant verplicht om patiënten nog één jaar te voorzien van het geneesmiddel.

Duitsland (Das Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz - AMNOG)⁵

In Duitsland is het vergoedingssysteem zo ingericht dat een geneesmiddel direct na markttoelating wordt vergoed tegen de prijs die de fabrikant vraagt. Dit komt voort uit de Duitse wens om geneesmiddelen ten principale direct beschikbaar te maken zodra ze zijn toegelaten tot de markt. De duur van de onderhandeling is maximaal één jaar (deze periode wordt vanaf 2024 verkort tot een half jaar). Als na één jaar geen overeenstemming is bereikt over de prijs, wordt deze bepaald door een arbitrage comité. Deze bestaat uit een onafhankelijk voorzitter, enkele onafhankelijke leden en enkele leden van het verbond van ziekenfondsen en van de farmaceutische brancheorganisatie. De uitspraak van dit comité is bindend. Als een fabrikant het niet eens is met de prijs, dan kan de fabrikant het geneesmiddel blijven aanbieden, maar wordt het niet vergoed uit collectieve middelen.

¹ NHS England, [NHS Accelerated Access Collaborative » Early Access to Medicines Scheme \(england.nhs.uk\)](https://www.nhs.uk/early-access-to-medicines/)

² Italian Medicines Agency, [AIFA national fund | Italian Medicines Agency](https://www.aifa.gov.it/)

³ <https://www.bag.admin.ch/bag/en/home/versicherungen/krankenversicherung/krankenversicherung-leistungen-tarife/Arzneimittel/verguetung-arzneimittel-im-einzelfall.html>

⁴ https://www.has-sante.fr/jcms/p_3340090/en/early-access-authorisation-a-positive-initial-report-and-refined-assessment-methods

⁵ https://www.gkv-spitzenverband.de/krankenversicherung/arzneimittel/verhandlungen_nach_amnog/rabatt_verhandlungen_nach_amnog.jsp

4. Analyse

Er zijn verschillende manieren om een geneesmiddel zo snel mogelijk beschikbaar te stellen, en daarmee de *tijd* tussen markttoelating en definitieve vergoeding te verkorten.

Kenmerk
3750342-1059758-GMT

1. Vergoeding uit collectieve middelen

In Europa worden bepaalde geneesmiddelen alleen in Frankrijk en Duitsland (kort) na markttoelating uit collectieve middelen vergoed, en beschikbaar gesteld aan patiënten. Maar ook in deze landen wordt getoetst of de geneesmiddelen pakketwaardig zijn en wordt er onderhandeld over de definitieve prijs. Het verschil met het systeem in Nederland zit dus in de volgorde van toetsen en onderhandelen. In Nederland voert het Zorginstituut eerst een toets uit waarna met de fabrikant wordt onderhandeld over de prijs.

Het hoofddoel van deze regelingen in Frankrijk en Duitsland is patiënten die daar mogelijk baat bij hebben, al snel toegang te geven tot een geneesmiddel. Dit soort systemen heeft als risico dat de onderhandelingspositie van de betaler ten opzichte van de fabrikant benadeeld wordt en leidt tot hogere uitgaven. Dit komt voort uit de volgende eigenschappen:

- Patiënten als pressiemiddel: wanneer een geneesmiddel al breed wordt ingezet in de praktijk en (deels) vergoed uit publieke middelen, verdwijnt de prikkel voor de fabrikant om constructief mee te werken aan een financieel arrangement in de wetenschap dat het onwaarschijnlijk is dat de vergoeding voor behandelde patiënten alsnog wordt stopgezet.
- Onduidelijkheid over de geschikte patiëntengroep: zolang nog geen beoordeling heeft plaatsgevonden, is onduidelijk voor welke groep patiënten een geneesmiddel echt waarde heeft.

De negatieve gevolgen voor de betaler zijn de volgende:

- Er ontstaat een groter financieel risico door het bekostigen van therapieën waarvan de gelijke waarde of meerwaarde nog niet is vastgesteld;
- De prikkel voor de fabrikant om snel tot een goede prijs te komen, verdwijnt, wat kan leiden tot langere onderhandelingsperiodes;
- De kosten voor geneesmiddelen nemen toe doordat de onderhandelingspositie van de overheid verslechtert;
- Het introduceert een glijdende schaal: de druk neemt toe op het nog eerder vergoeden, ook al voor markttoelating en met nog meer onzekerheid;
- Het vergroot de terugverdienperiode en daarmee de winst voor bedrijven;
- Bij eenmalig toe te dienen genterapieën werpt het een extra drempel op voor concurrentie.

Dit wordt bevestigd door analyses van de systemen in diverse Europese landen en in informele contacten met ambtenaren uit de genoemde landen. Dit beeld werd ook duidelijk in een publieke presentatie van de KPMG tijdens de recentelijk gehouden medicijndialoog van de Vereniging voor Innovatieve Geneesmiddelen (VIG)⁶. Uit de presentatie bleek dat er bij de keuze voor een *early access* programma in iedere vorm een kostenstijging te verwachten is:

⁶Medicine availability during the lock procedure, KPMG; VIG Medicijndialoog-Nieuwspoor 11 oktober 2023

'Een besluit over een early access programma in Nederland is een politiek besluit over de afruil tussen betaalbaarheid en beschikbaarheid'.

Kenmerk
3750342-1059758-GMT

Tot slot is het in Nederland op dit moment wettelijk ook niet mogelijk om een geneesmiddel uit het basispakket (de facto collectieve middelen) te vergoeden zolang het Zorginstituut nog niet heeft vastgesteld dat het voldoet aan het wettelijk criterium 'stand van de wetenschap en praktijk'. Dit kan ook niet met terugwerkende kracht plaatsvinden. Wel ben ik, onder voorwaarden, bereid er rekening mee te houden dat een fabrikant de kosten die gemaakt zijn voor de beschikbaarheidsstelling van een geneesmiddel tijdens de sluisperiode mee laat wegen in de prijsonderhandelingen⁷.

2. Vroege toegang met medeverantwoordelijkheid van de fabrikant

In de huidige Nederlandse situatie vindt gedurende de vergoedingsfase geen vergoeding plaats. Dit heeft tot doel om alle partijen te prikkelen om snel en efficiënt mee te werken aan de beoordeling door het Zorginstituut en het afsluiten van financiële arrangementen. Als fabrikanten toch bereid zijn om producten aan patiënten beschikbaar te stellen, dan vraagt dit een investering van de fabrikant. Gedurende de sluis-periode moeten de kosten door de fabrikant gedragen worden. Toch zijn fabrikanten bereid gebleken om tijdens de sluisperiode hun middelen al om-niet beschikbaar te stellen.

Dit heeft de volgende voordelen voor fabrikanten:

- Het houdt de druk bij partijen op het snel en efficiënt doorlopen van procedures;
- Het levert een positieve prikkel aan het Zorginstituut om een pakkettoets zorgvuldig en snel uit te voeren);
- Het zorgt voor een extra prikkel voor een positieve uitkomst van een financieel arrangement omdat patiënten al gebruik maken van het geneesmiddel;
- Zodra vergoeding plaatsvindt is er direct een groot volume dat in aanmerking komt voor het product;
- Snelle uptake van een geneesmiddel direct na markttoelating schermt de markt af voor nieuwe concurrenten.

3. Verkorten van de doorlooptijden

Het is ook mogelijk om snelle toegang te bevorderen door andere beleidsinstrumenten in te zetten en de tijd te verkorten die een procedure in beslag neemt. Op die manier wordt een (langere) overbruggingsperiode voorkomen.

Dit vraagt wel het nodige van de vergoedingssystematiek van landen. Procedures moeten goed op elkaar afgestemd zijn en moeten het mogelijk maken om de vergoedingsprocedure al voorafgaand aan markttoelating te starten. Daartoe moet structureel aan horizon scanning worden gedaan om al in een vroeg stadium kansrijke geneesmiddelen te identificeren en is het noodzakelijk om te beschikken over een instrument om doorlooptijden te monitoren, een dashboard.

Tot slot is het belangrijk dat alle partijen voldoende in staat zijn om snel en efficiënt te handelen en dat zij goed met elkaar communiceren.

⁷ Kamerstuk 35300-XVI, nr. 150.

Op dit moment geldt voor niet-sluisgeneesmiddelen die in ziekenhuizen worden voorgeschreven dat ze in principe direct na markttoelating kunnen worden vergoed. Daarnaast kent Nederland een 'parallele procedure' voor extramurale geneesmiddelen en voor geneesmiddelen die in de sluis terechtkomen. Hierbij kan een fabrikant gelijktijdig bij het EMA en het Zorginstituut een beoordeling laten uitvoeren. Dit maakt het mogelijk om vrijwel direct na markttoelating (en de parallel daaraan uitgevoerde pakkettoets) een vergoedingsbesluit te nemen.

Kenmerk
3750342-1059758-GMT

Hoewel de VIG zich positief heeft getoond over de opzet van de parallele procedure, zijn bedrijven terughoudend om mee te werken aan deze parallele beoordeling. De reactie van bedrijven is dat het vaak het hoofdkantoor is dat niet kan of wil meewerken aan een versnelde nationale procedure. Het is het dus de vraag of fabrikanten in staat of bereid zijn aan dit soort innovatieve regelingen mee te werken.

5. Nederlandse inzet voor snelle toegang

Ik vind het belangrijk om het hoofddoel centraal te stellen: snelle, verantwoorde toegang tot nieuwe, innovatieve geneesmiddelen.

Gezien de voornoemde risico's acht ik het onwenselijk om in Nederland een systeem in te richten waarin geneesmiddelen vergoed worden in de periode tussen markt- en pakkettoelating. Daarom wil ik ervoor zorgen dat de periode tussen markt- en pakkettoelating zo kort mogelijk is. In Nederland zijn er daarom al diverse maatregelen die daarop inzetten, of zijn er maatregelen in de maak die dat moeten realiseren.

Ik merk op dat de mediane tijd tussen markt- en pakkettoelating in Nederland al relatief laag is vergeleken met andere Europese landen⁸.

Ik heb de Tweede Kamer recent⁹ een update gegeven over het Dashboard Doorlooptijden Geneesmiddelen. Het dashboard draagt bij aan verdere transparantie rondom de pakkettoelating van geneesmiddelen. Dit dashboard dient wat mij betreft als een prestatiemeting van onze vergoedingsprocedure en van de inzet van de verschillende betrokken partijen, waaronder ook fabrikanten. Het maakt het mogelijk om ongewenste vertraging te identificeren en deze met partijen gezamenlijk aan te pakken.

Voor het toekomstbestendige stelsel van de vergoeding van dure geneesmiddelen zie ik, zoals ook in mijn brief¹⁰ beschreven, mogelijkheden om het besluitvormingsproces over de vergoeding van geneesmiddelen te optimaliseren. Bijvoorbeeld door het huidige Horizon Scanning door te ontwikkelen wordt het mogelijk om in een vroeg stadium voorbereidingen te treffen op de komst van nieuwe geneesmiddelen. Door dit structureel te doen, wordt het beter mogelijk om te besluiten welke vergoedingsprocedures moeten worden doorlopen. Partijen kunnen zich zo beter voorbereiden op wat van hen wordt verwacht. Niet alleen de fabrikant kan zo zijn dossier in orde maken, maar voorschrijvers hebben daarbij de verantwoordelijkheid om al vooruitlopend op de komst van een middel richtlijnen en nader onderzoek uit te werken. Dit draagt bij aan snelle toegang. Daarnaast zal de Europese Health Technology Assessment verordening ertoe

⁸ EFPIA Patients W.A.I.T. indicator 2022 Survey, [PowerPoint Presentation \(efpia.eu\)](https://www.efpia.eu)

⁹ Tweede Kamer, vergaderjaar 2023/2024, kamerstuk 29477-862

¹⁰ Tweede Kamer, vergaderjaar 2022/2023, kamerstuk 29477-838

leiden dat er vanaf 2025 steeds meer geneesmiddelen tijdens de markttoelatingsfase al een pakkettoets ondergaan. Dit helpt ook om het proces verder te versnellen.

Kenmerk
3750342-1059758-GMT

Het Zorginstituut is tot slot in overleg met de Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen en HollandBio, de belangenverenigingen van fabrikanten, over het optimaliseren van het beoordelingsproces.

6. Conclusie

Van alle 27 EU-lidstaten (en de vier landen in de Europese Vrijhandelsassociatie) kennen alleen Duitsland en Frankrijk een vergoedingsvorm voor geneesmiddelen tussen markttoelating en definitieve vergoedingsbeslissing. We verrichten in Nederland al veel werk om snelle toegang mogelijk te maken. Ik zie geen meerwaarde in het instellen van een extra regeling voor vroege toegang die een verschuiving van de risico's van de fabrikant naar de overheid veroorzaakt, de onderhandelingspositie ondermijnt en daarmee de zorguitgaven hoger maakt dan nodig. Het is in mijn ogen dan ook niet verwonderlijk dat vooral de brancheorganisaties van farmaceutische bedrijven, nationaal en in Europa, actief pleitbezorger van programma's voor vroege toegang zijn.

Met een slechtere onderhandelingspositie als reëel risico acht ik het onaanvaardbaar om ook in Nederland lopende de onderhandelingen geneesmiddelen te vergoeden. Want hoewel geneesmiddelen door sluisplaatsing vertraagd beschikbaar komen voor *sommige* patiëntengroepen, vind ik het belang van *alle* patiënten (dus niet alleen de huidige, identificeerbare maar ook de toekomstige, ongeïdentificeerde) én de premiebetaler doorslaggevend.

Ik wil vooropstellen dat de prijzen die geneesmiddelenfabrikanten rekenen voor hun producten de oorzaak zijn van beheersinstrumenten als de pakketsluis en de daarmee gepaard gaande, nog niet vergoede, periode. Ik wijs hen op hun maatschappelijke verantwoordelijkheid om snel en efficiënt mee te werken aan de beoordeling door het Zorginstituut en het afsluiten van financiële arrangementen. Fabrikanten kiezen er helaas soms voor om hun geneesmiddel eerst in een ander land op de markt te brengen en mogelijk pas maanden later een dossier in te dienen in Nederland. Dit is een strategische afweging en kan bijvoorbeeld te maken hebben met de grootte van de afzetmarkt.

Wel zet ik mij in om deze periode zo kort mogelijk te houden. Ik zie het als een gezamenlijke verantwoordelijkheid van overheid, voorschrijvers en fabrikanten om de patiënt zo te dienen. Belangrijke partijen die ik betrek bij het vinden van goede gezamenlijke oplossingen, zijn de brancheverenigingen Vereniging voor Innovatieve Geneesmiddelen en HollandBIO.

Met het recent gepubliceerde dashboard, waarop fabrikanten zeer positief gereageerd hebben, is een belangrijke eerste stap gezet. Dit maakt het mogelijk om samen te werken aan een oplossing die snelle toegang tot nieuwe, waardevolle geneesmiddelen mogelijk maakt en tegelijkertijd de gezamenlijke verantwoordelijkheid daarvoor benadrukt.

Kenmerk
3750342-1059758-GMT

Hoogachtend,

de minister van Volksgezondheid,
Welzijn en Sport,

Conny Helder