

Minister voor Medische Zorg  
Drs. M.J. van Rijn  
Postbus 20350  
2500 EJ Den Haag

Datum 26 mei 2020 Kenmerk 30/MT/mv/12 Bijlagen -  
Onderwerp snelle beschikbaarheid Zolgensma

Geachte heer van Rijn,

De Europese Markt Autoriteit (EMA) heeft op 18 mei 2020 bekendgemaakt dat Zolgensma® (onasemnogene abeparvovec) is toegelaten tot de Europese markt voor de behandeling van jonge kinderen met spinale musculaire atrofie (SMA) onder de voorwaarde dat het bedrijf Novartis/AveXis de komende jaren onderzoek blijft doen naar de werking ervan en goede resultaten blijft behalen bij de jonge patiëntjes.

De gentherapie met Zolgensma is geïndiceerd voor patiënten met spinale spieratrofie (SMA 5q) en een klinische diagnose van SMA type 1 en voor patiënten met genetisch bevestigde SMA en maximaal 3 kopieën van het SMN2-gen, met of zonder klachten. Hoe deze indicatie vorm krijgt in de verschillende landen van de EU zal moeten blijken.

#### *Geen tijd te verliezen*

Het is verheugend nieuws voor alle betrokkenen. Het betekent dat er een belangrijke, tweede behandeloptie beschikbaar komt, een behandeloptie die voor specifieke patiënten letterlijk van vitaal belang kan blijken te zijn. Vooralsnog wijzen de onderzoeksresultaten erop dat het middel de beste resultaten geeft wanneer het zo snel mogelijk na diagnose en liefst presymptotisch wordt toegediend. Voor de jongste patiënten is nu dus grote haast geboden.

En daar beginnen voor de Nederlandse ouders van doodzieke SMA-patiëntjes de frustraties. Terwijl in andere landen het middel nu reeds voor behandeling beschikbaar is, moet in Nederland een lang en onzeker traject worden afgelegd voor het middel vergoed wordt. En met het verstrijken van de tijd zal voor het ene na het andere patiëntje het 'window of opportunity' zich sluiten. Dat mogen we niet laten gebeuren.

#### *Snelle beschikbaarheid middels "Early Acces"*

Daarom roept Spierziekten Nederland u op om, vooruitlopend op de onderhandelingsresultaten voor vergoeding en opname in het verzekerd pakket, Zolgensma zo snel mogelijk beschikbaar te stellen voor de behandeling van de betrokken patiënten in het kader van een zogenaamd *Early Access Program* (EAP). Wij vinden het belangrijk dat hiervoor op de kortst mogelijke termijn in samenspraak met het bedrijf Novartis/AveXis een regeling wordt getroffen, zoals dat eerder gebeurde met het middel Spinraza®.

*Geen arbitraire afbakening van vergoeding*

Wij doen ook een dringend beroep op u om in de onderhandelingen met Novartis/AveXis een prijsarrangement mogelijk te maken waarbij de afbakening van vergoeding niet wordt gezocht in een arbitraire leeftijdsgrens, maar in medische criteria, waarbinnen het middel aantoonbaar werkzaam en effectief is. Dit ter beoordeling van te zake deskundige medisch specialisten / behandelaars.

Wij roepen u hierbij op om vóór vrijdag 3 juli met Novartis/AveXis tot een vergelijk te komen over een EAP in het belang van alle pasgeborenen en nog niet geboren met SMA. Een vergelijkbaar verzoek zullen wij sturen aan Novartis/AveXis. Vanzelfsprekend zijn wij altijd beschikbaar u een toelichting op het bovenstaande te verstrekken. Een reactie op deze brief stellen wij zeer op prijs.

Met vriendelijke groet,



Drs. M.F.Th. Timmen

Directeur