



Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport
t.a.v. minister Mr. Drs. B.J. Bruins
Postbus 20350
2500 EJ Den Haag

Datum 9 mei 2019
Onderwerp VT traject Spinraza

Kenmerk 30/MT

Bijlagen

Geachte heer Bruins,

Op 12 juli 2018 besloot u om het medicijn Spinraza toe te laten tot het verzekerd pakket voor kinderen tot 9,5 jaar met de ernstige spierziekte SMA. Voor de overige patiënten met SMA wil u Spinraza eveneens beschikbaar stellen, maar dan binnen het kader van een Voorwaardelijk Toelatingstraject (VT), waarin de effectiviteit van het medicijn moet worden onderzocht. Nog geen week na uw besluit zaten de fabrikant en de onderzoekers van het UMC Utrecht om de tafel om de uitgangspunten voor het vereiste onderzoek te bespreken.

Inmiddels zijn we acht maanden van overleg verder. In die periode kregen honderden betrokken patiënten te maken met toenemende verlammingen en verlies van functies. Een verlies dat onherstelbaar is, en dat door het medicijn waarschijnlijk had kunnen worden voorkomen.

Het was de verwachting en intentie van alle partijen om eind 2018 een door de WAR van het Zorginstituut goedgekeurd onderzoeksvoorstel gereed te hebben. Dat is niet gelukt. De verklaring hiervoor is de onoverbrugbare kloof die blijkt te bestaan tussen wat het Zorginstituut beschouwt als methodologische vereisten en wat de onderzoekers zien als de feitelijke begrenzing van hun methodologische mogelijkheden. Anders gezegd: theorie en praktijk zijn niet met elkaar in overeenstemming te brengen. Dit is het gevolg van de beperkte omvang van de groep – we praten over zo'n 300 patiënten – in combinatie met de grote heterogeniteit binnen de populatie: terwijl de ene patiënt nog loopt, maakt de ander gebruik van een elektrische rolstoel en invasieve beademing.

In dat licht bezien is het misschien niet eens zo verwonderlijk dat de eerste onderzoeksopzet van de fabrikant en het UMC Utrecht is afgewezen door de Wetenschappelijke Adviesraad (WAR) van het Zorginstituut. Er wordt nu hard gewerkt aan een nieuwe versie van de onderzoeksopzet, maar zoals aangegeven, wij hebben grote twijfels of er wel een onderzoeksvoorstel mogelijk is dat de (methodologische en statistische) goedkeuring van de WAR kan krijgen. Tegelijk zijn wij ervan overtuigd dat de experts van de fabrikant en het UMC



Utrecht, binnen de grenzen van het mogelijke en haalbare, de meest optimale onderzoeksopzet uitwerken om aan uw vraag tegemoet te komen.

Als patiëntenorganisatie zijn wij nauw betrokken bij dit proces dat wij met stijgende verbazing en verontrusting volgen. Wij hebben te maken met een fundamenteel probleem, dat al eerder door ons is aangekaart: de huidige methodologische vereisten zijn naar onze overtuiging niet bruikbaar voor dergelijke onderzoeken onder kleine groepen patiënten met complexe, zeldzame en progressieve aandoeningen. Hiervoor zullen andere uitgangspunten moeten worden geformuleerd en een andere methodologie worden ontworpen, ook met het oog op volgende casussen. Verandert er niets, dan zal deze frustrerende discussie zich de komende jaren nog vele malen herhalen bij andere nieuwe weesgeneesmiddelen.

De huidige situatie plaatst Nederland ook in een uitzonderingspositie. Met zijn leeftijdsgrens van 9,5 jaar is Nederland al uniek in de wereld. Maar ook wat beschikbaarheid betreft steekt Nederland pover af bij de omliggende landen. In België en Duitsland is Spinraza voor patiënten al beschikbaar en in Frankrijk is het post ATU-programma van Spinraza positief geëvalueerd. Dit heeft daar onlangs ook geleid tot een vergoedingsbesluit voor de brede doelgroep. Dat zegt toch iets over de ervaren effectiviteit van Spinraza. Voor Nederlandse patiënten is dit een onbegrijpelijke en onverteerbare situatie.

Wij doen daarom een dringend beroep op u om te bewerkstelligen dat er vóór de zomer een VT-traject gaat starten, zodat verdere schade bij de patiënten kan worden beperkt. Wij vinden het daarnaast van groot belang dat er lering getrokken wordt uit de huidige discussies en dat er zo snel mogelijk een start gemaakt wordt met de ontwikkeling van een nieuw, breed geaccepteerd methodologisch raamwerk dat geëigend is voor effectiviteitsonderzoek onder vergelijkbare groepen met een zeldzame ziekte.

Een brief van gelijke strekking hebben wij naar de Raad van Bestuur van het Zorginstituut gestuurd.

Graag vernemen wij uw reactie.

Met vriendelijke groet,

Drs. M.F.Th. Timmen

Directeur