

Q&A Zolgensma

Wat is Zolgensma?

Patiënten met de zeldzame spierziekte SMA hebben een erfelijke afwijking in het genetisch materiaal. Bij hen ontbreekt het zogenaamde SMN1 gen, wat leidt tot een tekort aan een eiwit dat voor de functie van zenuwen in het ruggenmerg nodig is. Zolgensma is een gentherapie dat door eenmalige toediening wordt gegeven. De behandeling kan niet ongedaan worden gemaakt. Gentherapie brengt het SMN1 gen dat ontbreekt terug in de cellen van het lichaam.

Wat zijn de resultaten tot nu toe?

De resultaten die openbaar zijn sinds november 2017 komen van een kleine groep kinderen met SMA type 1, voor het grootste deel jonger dan 6 maanden. De behandelde kinderen bleven na behandeling (anders dan verwacht) leven en leerden bijna altijd zitten. Dit betekent dat de behandeling kinderen ook een deel van hun motorische ontwikkeling kan teruggeven. Er is, zeker voor kinderen ouder dan 6 maanden tot de leeftijd van 2 jaar, nog nauwelijks openbaar wetenschappelijk bewijs van de effectiviteit van het middel en risico's op de korte en langere termijn.

Waarom is het niet beschikbaar in Nederland?

Het middel is op dit moment alleen goedgekeurd in de Verenigde Staten, nog niet in Europa. Er is een aanvraag voor goedkeuring door de fabrikant ingediend bij de EMA. Tot dat moment is het middel niet beschikbaar in Europa en daarmee Nederland.

Bij goedkeuring zal het geneesmiddel in Nederland vanwege de hoge kosten niet direct vergoed worden, maar in de zogenaamde 'pakketsluit' komen. Dat betekent dat het Zorginstituut opdracht krijgt de kosteneffectiviteit van het (gebruik van het) middel te toetsen. Er volgen na het uitkomen van het rapport waarschijnlijk prijsonderhandelingen met als doel de zorgkosten beheersbaar te houden. Op dit moment is de prijs van Zolgensma 1,9 miljoen euro. Dit is dus exclusief de kosten die gemaakt worden voor de behandeling in het ziekenhuis.

Hoe stelt de fabrikant Avexis-Novartis het middel wel beschikbaar?

De fabrikant van Zolgensma stelt in 2020 binnen een speciaal, tijdelijk programma 100 behandelingen wereldwijd beschikbaar voor kinderen onder de twee jaar met SMA. Omdat het aantal gegadigden wereldwijd vele malen groter is dan 100 patiënten heeft Avexis een loting georganiseerd. In Nederland gaat het naar schatting om maximaal 20 patiënten die in aanmerking zouden kunnen komen.

Wie komen er in aanmerking?

Volgens de fabrikant komen alle kinderen met SMA onder de twee jaar in aanmerking, zolang Zolgensma nog geen goedgekeurd geneesmiddel is in het betreffende land. Daarnaast mag het kind geen antistoffen hebben tegen een bepaald onderdeel van het middel. Dit laatste kan via een bloedtest worden nagegaan. Er is goedkeuring nodig van de Inspectie voor Gezondheidszorg en Jeugd (IGJ).

Hoe verloopt aanmelding en loting?

Een arts kan op verzoek van ouders een aanvraag doen bij de IGJ, met een zogenaamde artsenverklaring. Dit is nodig omdat Zolgensma in Nederland op dit moment een experimenteel geneesmiddel is. Na toestemming van de IGJ meldt het ziekenhuis het kind aan bij de fabrikant. Daar kijkt een onafhankelijke medische groep of het kind voldoet aan de voorwaarden van de in Amerika geldende registratie.

De fabrikant stelt dat na deze medische beoordeling er een geblindeerde selectie plaatsvindt zodat het ene kind of het andere land niet bevoordeeld kan worden ten opzichte van het andere. Elke twee weken verloot de fabrikant wereldwijd vier doses Zolgensma. In de middag (tijd VS) worden de betreffende aanvragend artsen geïnformeerd. Als kinderen niet ingeloot zijn doen ze automatisch mee met de volgende loting, zolang ze aan de criteria voldoen.

Wat zijn de bezwaren van deze manier van beschikbaar stellen van een behandeling?

Loting om in aanmerking te komen voor een geneesmiddel past niet bij het principe van gelijke toegang voor gelijke gevallen. Dit is een belangrijk fundament van ons gezondheidszorg stelsel dat is gebaseerd op solidariteit. In een gezamenlijke verklaring gaven de ministers van gezondheid van vijf Europese landen eind januari aan dat het mensonwaardig is om het lot van een patiënt te laten afhangen van een loterij zonder duidelijke medische criteria en wezenlijke tussenkomst van hun behandelaar en zonder uitzicht te bieden op behandeling aan degenen die niet geselecteerd werden. Volgens Minister Bruins zijn hier morele waarden uit het oog verloren.

Het UMC Utrecht en patiëntenvereniging Spierziekten Nederland sluiten zich hierbij aan. De loting gaat voorbij aan het fundamentele beginsel van gelijke toegang tot zorg en het doorkruist alle zorgvuldige processen en procedures die er zijn voor het introduceren van nieuwe medicijnen.

Het ministerie van VWS, het UMC Utrecht en Spierziekten Nederland roepen de fabrikant, Avexis-Novartis, op om snel tot een ordentelijk 'early access programma' te komen. Een dergelijk programma, waarin de fabrikant het experimentele geneesmiddel 'om niet' beschikbaar stelt, garandeert toegang voor alle daarvoor in aanmerking komende patiënten na adequate consultatie van een gespecialiseerd behandelteam.

Is er op dit moment een ander geneesmiddel beschikbaar voor deze ernstig zieke kinderen?

Sinds mei 2017 is er voor kinderen met SMA type 1 behandeling mogelijk met het geneesmiddel Spinraza. Het wordt toegediend met een ruggenprik, de behandeling moet elke 4 maanden herhaald worden.

Door deze behandeling neemt de kans op overlijden of het permanent afhankelijk worden van een beademingsapparaat voor patiëntjes met SMA type 1 in het eerste levensjaar af. Kinderen gaan zich vaak ook motorisch verder ontwikkelen; sommige kinderen leren zitten.

Het UMC Utrecht werkt dus wel mee aan het aanmelden van kinderen voor de loting?

Het UMC Utrecht heeft een voorlopige toestemming van de Inspectie Gezondheidszorg en Jeugd (IGJ) om kinderen met SMA tot 2 jaar mee te laten doen aan de loting.

Bij de behandelend artsen blijft de zorg of ouders volledig geïnformeerd zijn over potentiële risico's en of zij tot een zorgvuldige afweging hebben kunnen komen. Ondanks deze zorgen heeft de behandelend arts op dringend verzoek van enkele ouders, op vrijdag 31 januari een artsenverklaring ingediend bij de IGJ. Dit was een vereiste van de leverancier om mee te mogen doen aan de loting. Normaal gebeurt dit pas wanneer al zeker is dat een medicijn ook geleverd kan worden.

De inspectie heeft de behandelend arts inmiddels laten weten dat zij voorlopig akkoord gaat met het de verklaring zoals die nu is ingediend. Daaropvolgend zijn de betreffende kinderen aangemeld bij de farmaceut Avexis-Novartis.

Kunnen er meer kinderen aangemeld worden?

Volgens de fabrikant komen alle kinderen met SMA onder de twee jaar in aanmerking, zolang het middel geen goedgekeurd geneesmiddel is in het betreffende land. Op verzoek van ouders kan de arts een aanvraag doen bij de IGJ met een artsenverklaring. Dit gebeurt per individueel kind en natuurlijk na uitvoerig overleg met de ouders.

Waarom zei het UMC Utrecht eerder dat aanmelden voor de loting niet mogelijk was?

De loting die Avexis/Novartis aankondigt met Zolgensma is uitzonderlijk en wordt door de minister en ook door het UMC Utrecht als onethisch beschouwd. Wereldwijde deelname aan een gezondheidsloterij zorgt voor een paar winnaars maar veel meer verliezers. Het initiatief van Avexis bemoeilijkte bovendien de adequate voorlichting over de te verwachten effecten en risico's van de behandeling. Het was bovendien lange tijd onduidelijk hoe om te gaan met een expliciete voorwaarde in een artsenverklaring. In de artsenverklaring staat namelijk dat "Het noodzakelijk (is) dat een arts vindt dat behandeling van een patiënt niet mogelijk is met in Nederland beschikbare, geregistreerde geneesmiddelen". Omdat in Nederland een geneesmiddel beschikbaar is voor SMA, namelijk Spinraza, is aangenomen dat een aanvraag tegen de eigen richtlijnen van IGJ zou ingaan. Het UMC Utrecht betreurt het dat deze onzekerheid zo lang geduurd heeft, met name voor ouders en kinderen die het betreft.

Worden alle kinderen, als zij in aanmerking komen voor Zolgensma, in Nederland behandeld?

Het UMC Utrecht voelt zich in een onmogelijke situatie gebracht, want het acht de gang van zaken immoreel en heeft tegelijkertijd begrip voor de motivatie van enkele ouders om mee te willen doen aan deze loterij. Zij vechten immers voor het welzijn en soms zelfs voor het leven van hun kinderen. Het UMC Utrecht heeft er in nauwe samenwerking met de patiëntenvereniging Spierziekten Nederland in de afgelopen jaren alles aan gedaan om behandelingen zo snel mogelijk bij kinderen met SMA te krijgen en ouders op die manier te steunen.

Als er kinderen in Nederland worden ingeloot, dan zal samen met ouders en IGJ worden gekeken hoe hun kind op een medisch verantwoorde manier kan worden

behandeld. Dit zou kunnen betekenen dat kinderen worden doorverwezen naar een ander (buitenlands) centrum.

Kan een kind Spinraza blijven gebruiken wanneer het behandeld is met Zolgensma?

In Amerika zijn er inderdaad kinderen behandeld met Zolgensma en krijgen daarnaast Spinraza. Op dit moment is nog niet duidelijk of kinderen in Nederland behandeld kunnen worden met Zolgensma. Deze vraag kunnen we om die reden op dit moment nog niet beantwoorden.