

Aan: Vertegenwoordigers van het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,
Zorginstituut Nederland, Zorgverzekeraars Nederland, Biogen en Roche

Datum 19 juni 2023

Onderwerp Voorkom verdere onnodige achteruitgang van overgebleven SMA-groep

Geachte lezer,

Kortgeleden werd bekend dat Evrysdi® (risdiplam) vergoed zal worden uit het basispakket van de zorgverzekering voor een selecte groep SMA-patiënten. Spierziekten Nederland is verheugd dat dit besluit er is en het middel voor hen beschikbaar komt. Naast Spinraza® (nusinersen) en Zolgensma® (onasemnogene abeparvovec) is dit het derde effectieve middel tegen SMA dat het toekomstbeeld voor mensen met deze ernstige, progressieve spierziekte drastisch kan verbeteren. Echter, er blijft een kleine groep SMA-patiënten over die tot geen van de behandelingen toegang heeft.

Met deze brief willen wij u – nogmaals – laten zien wat de gevolgen zijn voor deze ‘vergeten’ groep: de mensen met SMA vanaf 25 jaar die door hun leeftijd niet in aanmerking komen voor Evrysdi of Zolgensma en bij wie behandeling met Spinraza niet effectief, technisch niet mogelijk of te belastend is. Het gaat om zo’n vijftien tot twintig mensen die de laatste jaren keer op keer nul op het rekest kregen wat medicatie betreft. Tegelijkertijd blijven zij achteruitgaan, wetende dat elders in Europa brede toegang tot Evrysdi wel geregeld is.

Simone Dalgety, Leon Priest en Viola Baas behoren tot deze groep patiënten. Zij delen hier met u wat het met hen doet nog langer te moeten wachten met het onverteerbare besef dat de achteruitgang die zij nu ervaren onnodig is.

| Alsof mijn bestaansrecht na 25 jaar ophoudt

Simone Dalgety - Het wachten maakt mij wanhopig en gefrustreerd. Ik kom niet in aanmerking voor behandeling – nog steeds niet. Door vergroeiingen in mijn rug is er niet genoeg ruimte voor Spinraza-ruggenprikken. Mijn broer Harvliet krijgt ze wel. Zolgensma en Evrysdi mag ik niet om voor mij nog steeds onbegrijpelijke redenen. Alsof door mijn beperking mijn bestaansrecht na 25 jaar ineens ophoudt.



Vorig jaar deelde ik mijn verhaal tijdens de ACP-vergadering. Er zou mogelijk een oplossing komen met een VT-traject. Maar er is nog niks veranderd. In de tussentijd ga ik achteruit, voelbaar en merkbaar. Recent werd ik 41. Deze leeftijd had ik bijna niet gehaald. In september belandde ik op de ic met een dubbele longontsteking. Binnen 48 uur was ik zwaar benauwd. Ik ben afgevoerd naar het ziekenhuis aan een zuurstoffles. Ik zat vol slijm en was te uitgeput om te hoesten. Ook de kracht in mijn armen gaat achteruit. Deze achteruitgang zou Spinraza kunnen tegengaan. Misschien zit er zelfs nog wat verbetering in. Maar ik ben gedoemd verder hard achteruit te gaan, omdat ik Spinraza niet kan krijgen. En niet eens de kans krijg het alternatief te proberen.

| Ik word depressiever. Mijn zelfbeeld verandert, mijn zelfrespect

Leon Priest - Ik ben beroepsmuzikant, theaterproducent en studio-eigenaar. Ik zit in een elektrische rolstoel. Ik kan niet zelf eten of mijn schoenen aandoen. Ook scheren, mijn haren wassen en typen worden zwaar. De tekst die u nu leest, heb ik ingesproken. Mijn vrouw moet mij zes tot acht keer per nacht draaien, wat een onmogelijke taak begint te worden. Anderen helpen mij rijden, ondersteunen me bij het eten, drinken en mijn jas uit- en aandoen...

Op alle fronten merk ik achteruitgang. Doordat ik elke dag afhankelijk ben van anderen, word ik steeds depressiever. Mijn zelfbeeld verandert, mijn zelfrespect en vreugde in het leven. Met spoed wacht ik totdat ik het nieuwe medicijn krijg. Zodat ik hopelijk mijn armen weer wat kan bewegen, zelf kan typen, pianospelen en een beetje kan draaien 's nachts.



| Het wachten eist zijn tol, SMA houdt geen vakantie



Viola Baas - In april 2020 startte ik met Spinraza. De behandelingen waren vanaf de allereerste keer loodzwaar en tijdens de vijfde behandeling heb ik aangegeven niet meer verder te kunnen. Ondanks dat ik effect begon te merken. Ik kon niet anders. Zowel fysiek als mentaal hadden de behandelingen een negatieve invloed op mijn kwaliteit van leven. Ik wist dat men ook bezig was met de procedure om Evrysdi beschikbaar te maken. En dat ik even geduld moest hebben. We zijn nu drie jaar later. Er is geen verandering in zicht.

Het wachten eist zijn tol. Vorig jaar kon ik nog zelf een kopje thee optillen en drinken. Nu moet ik een rietje gebruiken. Vorig jaar kon ik zelf nog mijn eten snijden. Tegenwoordig maakt iemand anders hapklare stukjes. Alles kost meer energie. Ik ben bang dat de tijd mij gaat inhalen. SMA houdt geen vakantie, die gaat onherroepelijk door. En alle lichaamsfuncties die ik kwijtraak, komen niet meer terug.

De verhalen van Simone, Leon en Viola spreken voor zich. Het overgrote deel van de SMA-patiënten wordt behandeld. Maar zij vallen tussen wal en schip. Dat doet hen pijn! Wij doen daarom een dringend beroep op u om haast te maken met afspraken rond een (tijdelijke) vergoeding van Evrysdi, zodat de tijd deze mensen niet klein krijgt en zij verder kunnen met hun leven!

Graag horen zij uw reactie.

Met vriendelijke groet,

namens alle onbehandelde SMA-patiënten,

Marcel Timmen,
directeur