

Toegang tot medicijnen spierziekten te traag en beperkt

Effectieve en innovatieve weesgeneesmiddelen traag, niet of te beperkt beschikbaar: spierziektepatiënten de dupe

Tien jaar geleden was er vrijwel geen behandeling voor mensen met een spierziekte. Nu komen er behandelingen in zicht. Daardoor gloort er hoop aan de horizon voor patiënten. Het gaat immers om middelen die mogelijk de ziekteprogressie kunnen remmen, tot stilstand kunnen brengen of zelfs kunnen leiden tot verbetering van de ziekte. Maar voor patiënten een middel daadwerkelijk kunnen krijgen, is er nog een horde te nemen: de vergoedingsprocedure. Deze neemt veel tijd in beslag, is stringent en gaat tot het einde toe – zo wijst de praktijk uit voor middelen tegen de spierziekte SMA – gepaard met een continue en grote onzekerheid voor de patiënten. Spierziekten Nederland roept VWS en fabrikanten op tot verandering: wijs niet langer naar elkaar maar neem de verantwoordelijkheid. Zet de patiënt op de eerste plaats.

Nog steeds geen toegang tot medicijn voor Viola en Andre

Schrijnend voorbeeld van het vergoedingsprobleem is de situatie voor mensen met de spierziekte SMA. Tegen deze spierziekte zijn inmiddels drie geneesmiddelen beschikbaar. Toch betekent dat nog niet dat bijvoorbeeld Viola en Andre behandeld kunnen worden. Viola: *“Als één van de weinige SMA-patiënten in Nederland kan ik géén van de middelen krijgen. Telkens lijkt het erop dat het goedkomt en de beschikbaarheid van Evrysdi (risdiplam) wordt uitgebreid, zodat ook ik het kan krijgen. Maar nog steeds is dit niet geregeld. Ik wacht al jaren op een medicijn en het wachten eist zijn tol.”* Andre: *“Door een leeftijdsgrens voor dit medicijn vast te stellen, voel ik mij volledig buiten spel gezet. Alsof de overheid zegt: ‘Jammer dan, maar u doet er niet meer toe. U mag nog een paar jaar uw best doen op uw werk en in uw gezin, maar dan is het klaar.’”*

Vorige week werd bekend dat het ministerie van VWS en de fabrikant een prijsakkoord hebben gesloten over een voorlopige toelating (VT) van het middel waar Viola en Andre naar uitkijken. Een stap vooruit, maar vanwege de te regelen voorbereidingen is er nóg geen zicht op wanneer Viola en Andre de behandeling dan daadwerkelijk kunnen krijgen. Viola: *“Ik ben bang dat de tijd mij in gaat halen. 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 moet mijn eten in kleine hapklare stukjes worden gesneden en heb ik soms niet eens genoeg energie om het zelfstandig op te eten. De SMA houdt geen vakantie, om het zo maar eens te zeggen. Die gaat onherroepelijk door. En alle lichaamsfuncties die ik kwijtraak, komen niet meer terug.”* Ook Andre levert elke dag een beetje in: *“Mijn spierkracht neemt af, waardoor bijvoorbeeld spelletjes doen met mijn kinderen of werken de laatste jaren steeds moeilijker is geworden. Elke dag dat ik het medicijn niet heb, kan ik weer wat minder. In plaats van een deelnemer word ik een toeschouwer in ons gezin.”*

Aandacht in de Tweede Kamer op 30 mei aanstaande

Samen met Spierziekten Nederland en andere patiënten met SMA zetten Viola en Andre alles op alles om te zorgen dat de laatste horde snel genomen wordt, zodat de behandeling zo snel mogelijk kan starten. Na een brief aan de minister van VWS en gesprekken met Kamerleden staat het onderwerp op de agenda van het komende Algemeen Overleg Hulp- en geneesmiddelenbeleid. Dit AO vindt plaats op donderdag 30 mei van 10.00-14.00 uur. Viola zal hier aanwezig zijn samen met een aantal medewerkers en leden van Spierziekten Nederland. Wij willen graag weten welke rol de minister bereid is te nemen om veelbelovende weesgeneesmiddelen (medicijnen tegen zeldzame ziekten) sneller en breder (voor een hele patiëntengroep) beschikbaar te maken. En we willen weten in hoeverre de minister bereid is om te onderzoeken hoe er juist bij deze patiëntengroepen extra gewicht gegeven kan worden aan medische ethische criteria en de expert opinion van gespecialiseerde artsen bij het nemen van vergoedingsbesluiten.

Aanvullende informatie

Over spierziekten

Spierziekten zijn een verzameling aandoeningen waarbij de spieren - of de zenuwen die de spieren aansturen - niet goed werken. Voorbeelden zijn ALS en de ziekte van Duchenne; veel andere spierziekten zijn minder bekend. Bijna alle spierziekten zijn chronisch en progressief: de klachten ontstaan soms al op jonge (kinder)leeftijd en nemen met de jaren toe. Ze leiden tot problemen met bewegen en bemoeilijken het spreken, slikken of ademen. Ze zorgen voor vermoeidheid en pijn en ze verstoren andere organen: de spijsvertering, het hart en de ademhaling. Bij sommige spierziekten is de kans op overlijden groot. Elke spierziekte heeft (daarnaast) soms nog andere kenmerken. De impact op het dagelijks leven is enorm: de mobiliteit neemt af, activiteiten op school en werk worden belemmerd, sociale activiteiten en rolpatronen in het gezin worden verstoord en het risico op levensbedreigende complicaties neemt met de tijd toe.

Over de spierziekte SMA

SMA (spinale musculaire atrofie) is een ernstige, progressieve aandoening van zenuwen en spieren. De ziekte ontstaat doordat het lichaam een bepaald eiwit onvoldoende of niet aanmaakt. Het gevolg hiervan is dat de zenuwen uitvallen en uiteindelijk afsterven met als resultaat een voortschrijdende, fatale verlamming.

Position paper

Meer informatie over de vergoedingsprocedure, de problemen en de oplossingsrichtingen vindt u in [het position paper](#) van Spierziekten Nederland. De ontwikkelingen rond de spierziekte SMA zijn toegelicht als praktijkvoorbeeld.

Over Spierziekten Nederland

Spierziekten Nederland is de patiëntenvereniging van en voor mensen met een spierziekte. Zij biedt patiënten betrouwbare voorlichting, ondersteuning en behartigt hun belangen op [het gebied van medicijnen](#), zorg en in het sociaal domein.