

SMA, VAN DAG TOT DAG

In 2018 stond SMA iedere dag op de agenda. Op vier pagina's een kleine selectie van wat zich afspeelde met impressies van mensen die er nauw bij betrokken waren.

● ADVIES COMMISSIE PAKKET ZORGINSTITUUT (ZIN)

26-1-2018 ACP, wat een beladen bijeenkomst. Spinraza was in december 2017 door de minister goedgekeurd voor kinderen tot ongeveer 5 jaar. Onze dochter Dirkje was 'safe'. Wat wilde ik dit ook graag voor alle SMA-patiënten; de druk was hoog. Ik geloof niet dat ik ooit zo zenuwachtig ben geweest als toen. Wat me

het meest bijstaat, is de hoge opkomst van patiënten en het gesprek dat ZIN had met de directeur van Spinraza waarbij ze geen enkele vraag duidelijk beantwoordde en geen reden wilde geven waarom de prijs zo hoog moest zijn.

Patty
Moeder van Dirkje

● ACTIEBIJEENKOMST IN BAARN

6-1-2018 Driekoningen. Op naar Baarn, samen met veertig anderen. Spierziekten Nederland heeft een SMA-actievergadering belegd. Minister Bruins bereidt zijn besluit voor over het medicijn Spinraza: wel of niet in het basispakket. Wij staan erop dat alle patiënten

over het middel kunnen beschikken. Die boodschap willen leden en bestuur van Spierziekten Nederland luid en duidelijk laten landen in samenleving en politiek. De komende weken zijn we zichtbaar op de buis. We schrijven een klemmende brief

voor landelijke kranten. We doen een appèl op partijen en kamerleden, én we rollen onze petitie verder uit. Deze aansprekende acties moeten kunnen overtuigen.

Tjeu
Vader van Meike



'Ik was nooit zo zenuwachtig als op de bijeenkomst bij het Zorginstituut.'

12-12-2017
Webcast tussenoplossing

● **6-1-2018**
Actiebijeenkomst
● **17-1-2018**
Mediatraining
● **26-1-2018**
ACP

DECEMBER

JANUARI

Impressies zorg

● MEDIATRaining

17-1-2018 Nadat in 2017 Spinraza en SMA groot in het nieuws kwamen, ben ik met een aantal betrokkenen uitgenodigd voor een mediatraining bij Spierziekten Nederland. We zijn op 17 januari 2018 onder handen genomen door Bureau Paapst en Van Dam. Zij leerden ons de boodschap vanuit onze eigen vezels aan de wereld te vertellen. Ieder

van ons heeft zijn eigen unieke verhaal kunnen vertellen, verpakt in een storm van emotie. De boodschap: "Spinraza voor iedereen!" Ik hoop dat die boodschap nog steeds doorklinkt bij de beleidsbepalers, zodat de deur naar Spinraza voor iedereen opengaat.

Nicolai
Vader van Thijs



● VIDEO-STATEMENT

24-4-2018 De opnames vonden plaats op het Windesheim waar ik mijn studie volg. Het filmpje zou dienen als een reactie op de verwachte uitspraak van de minister. Er werden twee versies opgenomen met ieder een ander scenario; het ene filmpje had betrekking op het vergoeden van Spinraza, het andere op het niet vergoeden. Vooral het tweede scena-

rio riep veel emotie bij mij op. Ik vond het idee van een negatieve uitspraak ondenkbaar en hoopte dat het een overbodig filmpje zou zijn. Helaas is het tegendeel bewezen.

(Wel wil ik nog even kwijt dat ik het zeer vervelend en teleurstellend vind dat mijn filmpje nooit is ingezet!)

Laura



5-2-2018
Overleg SMA Europe

12-4-2018
Overleg Nivel SMA

16-4-2018
Cameratraining
woordvoerders

24-4-2018
Overleg dure medicijnen

● **24-4-2018**
Opnames in Windesheim

17-5-2018
Telecall clinical trials Topic
Group

24-5-2018
Teleconferentie met leden

FEBRUARI

MAART

APRIL

MEI

Impressies zorg



● DE MINISTER BESLIST

10-7-2018 Opgelucht, blij en euforisch, maar ook... Teleurgesteld, machteloos, kwaad en ontzettend verdrietig.

Dat zijn de woorden die bij me opkomen als ik denk aan die dag. Spinraza toegelaten tot het basispakket. Leeftijdsgrens tot 9,5 jaar.

Hoe leg ik mijn bloedeigen elfjarige zoon uit dat zijn twee jaar jongere zusje het medicijn wel krijgt en hij niet? Hartverscheurend!

Alsof er met een bijl door mijn gezin is gehakt. Iedere SMA-patiënt zou onvoorwaardelijk recht moeten krijgen op Spinraza.

Dit valt niet uit te leggen...

Voor en door niemand!

Daniëlle

Moeder van Tygo en Fauvé

● START VT-TRAJECT

17-7-2018 De aanwezigen hebben in het UMCU-vergaderzaaltje inmiddels een eigen stoel. De tafelindeling staat vast. In de afgelopen anderhalf jaar spraken we elkaar regelmatig. Eerst over de start van het behandelprogramma voor kinderen met SMA type 1. Bijna een jaar later over de tussenoplossing voor behandeling van jonge kinderen met SMA type 2 en 3. Het nieuws over een vergoedingsregeling per 1 augustus is nog maar net bekend, maar we praten al weer over het volgende onderwerp: de voorwaardelijke vergoeding van behandeling van mensen met SMA ouder dan 9,5 jaar.

Over effectiviteit van behandeling bij deze groep mensen is nauwelijks iets bekend. Onderzoek met dit medicijn is bij mensen ouder dan 12 jaar nog niet uitgevoerd. Werkt dit medicijn wel als je de ziekte 10 jaar of langer hebt? Vergoeding komt er alleen als het Zorginstituut overtuigd is dat behandeling dan ook nog werkt.

Er is al direct een probleem. We kunnen geen gebruik maken van de gouden standaard voor geneesmiddelenonderzoek: de gerandomiseerde, placebo-gecontroleerde studie (in het Engels: RCT). In een RCT wordt door loting bepaald wie het medicijn en wie een nep-medicijn krijgen. Dokter noch patiënt weet welke behandeling wordt uitgevoerd; alleen de apotheker die het medicijn aflevert kan dit in noodgevallen openbaren. Een RCT is waarschijnlijk niet ethisch. Wie wil er nu nog een nepbehandeling krijgen? In het buitenland worden lotgenoten al behandeld.

Het enige alternatief is het ziektebeloop vergelijken met achteruitgang in de jaren ervoor. Ging het toen slechter dan na de start van behandeling? Dan werkt het medicijn waarschijnlijk. We maken een plan waarbij we gegevens van het natuurlijk beloop die zijn opgeslagen in de Nederlandse database zullen

5-6-2018

Call SMA Europe

3-6-2018

Bijeenkomst Prinses Beatrix Spierfonds

21-6-2018

Algemeen overleg geneesmiddelen Tweede Kamer

● **10-7-2018**

Beslissing minister

● **17-7-2018**

Start VT-traject

23-8-2018

Bijeenkomst stand van zaken onderzoek

27-9-2018

Overleg SMA Utrecht

JUNI

JULI

AUGUSTUS

SEPTEMBER

Impressies zorg

gebruiken. De investering van het verzamelen van informatie van honderden mensen met SMA sinds 2010 betaalt zich nu uit. Dankzij de inspanningen van ouders, kinderen en volwassenen met SMA, de hulp van patiëntenvereniging, en de financiële ondersteuning van het Prinses Beatrix Spierfonds en stichting Spieren voor Spieren hebben we veel bruikbare informatie. We maken afspraken en verdelen het huiswerk: het selecteren van bruikbare gegevens, de analyse ervan, het schrijfwerk, de coördinatie, de bewaking

van de tijdslijnen. De komende maanden moet er hard worden gewerkt om het onderzoeksplan af te krijgen. We zijn begonnen aan weer een nieuwe etappe.

Ludo van der Pol
SMA expertisecentrum
UMC Utrecht



● CONFERENTIE SMA EUROPE

10-10-2018 We vergaderen in het kantoor van de Franse spierziekteorganisatie AFM. Een overvol programma. Ik ben samen met Huub van Rijswijk, vader van een zoon met SMA. We delen ervaringen met tientallen Europese SMA-vertegenwoordigers. Topprioriteit: Spinraza. De ongelijkheid in Europa frustriert iedereen. We spreken met de industrie, bezoeken de werkgroep *new born screening* en uitkomstmaten. We

ontmoeten leden uit Denemarken en Servië, Rusland, UK en Spanje. Het gaat over samenwerking met Cure SMA, de EMA-besprekingen over nieuwe trials en markt-toelating nieuwe middelen, de Treat NMD-conferentie in Leiden in 2019 en de ENMC-workshop in mei in Nederland. Kortom, vier nuttige dagen.

Ria
Hoofd afdeling Zorg

● NOG STEEDS ONDUIDELIJKHEID

31-12-2018 De laatste dag van het jaar en voor de meeste mensen met SMA is er nog steeds geen uitzicht op behandeling met Spinraza. Heel teleurstellend. Voor hen is iedere nieuwe dag een dag met onherstelbare schade. En dat, alleen omdat we gevangen zijn in een bureaucratisch proces.

De minister wil de behandeling met Spinraza voor alle mensen met SMA mogelijk maken via een Voorlopig Toelatingstraject. Maar dan moet er wel een degelijk onderzoeksvoorstel komen. En dat is verdraaid lastig bij zo'n kleine en diverse patiëntengroep. Gelukkig hebben we al wel bereikt dat kinderen tot 9,5 jaar behandeld worden.

Marcel
directeur

*'Iedere dag uitstel
betekent extra
onherstelbare schade.'*

● 10-10-2018

Vierdaagse conferentie
SMA Europe

8-11-2018

Overleg over SMA-middel Roche

14-11-2018

Vergadering over hielprik

10-12-2018

Overleg SMA-Routekaart

● 31-12-2018

Nog steeds geen beslissing

OKTOBER

NOVEMBER

DECEMBER