

Spierziekten Nederland
T.a.v. mr. Van Ark & mevr. Vis.
Lt.gen. Van Heutszlaan 6
3743 JN Baarn

Per e-mail

Datum: 29 juni 2026
Betreft: Reactie op 'Urgent need for access to omaveloxolone in the Netherlands'

Geachte mevrouw Vis en meneer van Ark,

Hartelijk dank voor uw brief. U brengt daarin heel duidelijk onder woorden hoe ingrijpend het is voor mensen met Friedreich Ataxie (FA) dat Skyclarys® (omaveloxolon) in Nederland nog steeds niet beschikbaar is.

Uw brief was gericht aan onze Europese Leadership Team. Ik wil u graag laten weten dat zij deze hebben ontvangen en zorgvuldig hebben gelezen. Ik heb uw brief uitgebreid met hen besproken en reageer hierbij dan ook namens hen.

Zoals we in onze eerdere brief aangaven, zijn we ons zeer bewust van de grote impact die FA heeft op patiënten en hun naasten. Voor mensen die leven met een progressieve ziekte resulteert elke maand zonder behandeling in verdere en onomkeerbare achteruitgang in functioneren en zelfstandigheid. Juist daarom blijven we ons met grote inzet inspannen om Skyclarys® beschikbaar te maken in Nederland.

We begrijpen heel goed dat de duur van dit proces tot frustratie leidt. Het Zorginstituut heeft op 31 juli 2025 zijn advies over vergoeding gepubliceerd. Bijna een jaar later wachten patiënten in Nederland nog steeds op toegang. En zoals gezegd: voor mensen met FA telt elke vertraging.

Omdat we uw zorgen serieus nemen, willen we uw brief graag uitgebreid beantwoorden. We zullen in deze brief proberen de Nederlandse context te schetsen, om uit te leggen waarom deze onderhandelingen zo complex zijn. Ook willen we nogmaals benadrukken dat we ons blijven inzetten om samen met het ministerie tot een oplossing te komen.

Toegang tot weesgeneesmiddelen in Nederland

Skyclarys® is een medicijn tegen een zeldzame ziekte, een zogeheten weesgeneesmiddel. Het is goedgekeurd door de European Medicines Agency (EMA) en wordt gebruikt in 21 Europese landen. Toch kunnen patiënten in Nederland het nog niet gebruiken. Helaas geldt dit niet alleen voor Skyclarys®: de meeste weesgeneesmiddelen lopen vast in het Nederlandse vergoedingssysteem.

In de afgelopen jaren is er in het Nederlandse vergoedingsproces steeds meer nadruk komen te liggen op kosteneffectiviteit. Daarbij worden aan weesgeneesmiddelen dezelfde eisen gesteld als aan medicijnen die zijn gericht op grotere groepen patiënten. Ze moeten even kosteneffectief zijn.

Hier ligt de kern van het probleem. De ontwikkeling van een weesgeneesmiddel vraagt hetzelfde onderzoek, dezelfde klinische studies en dezelfde beoordelingsprocedures als andere geneesmiddelen, maar dan voor een veel kleinere groep patiënten. Daardoor moeten de kosten over minder mensen worden verdeeld, wat leidt tot hogere kosten per patiënt.

Ter vergelijking: Biogen produceert ook medicijnen voor multiple sclerose (MS). In Nederland leven ongeveer 35.000 mensen met MS, terwijl het bij FA om ongeveer 160 patiënten gaat. Het verschil in aantal patiënten tussen zeldzame ziektes en meer voorkomende aandoeningen is dus groot. Hogere kosten per patiënt bij weesgeneesmiddelen zijn daarmee onvermijdelijk.

Dit heeft direct invloed op de kosteneffectiviteit. Hogere kosten per patiënt leiden namelijk tot hogere kosten per QALY (Quality-Adjusted Life Year), een maat die aangeeft hoeveel extra levensjaren een behandeling oplevert, gecorrigeerd voor de kwaliteit van die jaren. 1 QALY betekent dus één extra levensjaar in volledige gezondheid. De kosten per QALY worden uitgedrukt in de zogeheten ICER.

Het Zorginstituut baseert de geadviseerde korting op de ICER. Dit leidt bij weesgeneesmiddelen tot een terugkerend patroon: de kosten per patiënt zijn hoog, waardoor de kosten per QALY (de ICER) ook hoog zijn, en het Zorginstituut een forse prijsverlaging adviseert. Kortingen van meer dan 80% zijn daarbij geen uitzondering.

Als bedrijf gaan we graag het gesprek aan over de prijs van onze geneesmiddelen. Daarbij zijn we bereid om substantiële kortingen te bieden. Maar kortingen van deze omvang zijn niet houdbaar. Met zulke kortingen wordt het voor bedrijven uiteindelijk lastig om te blijven investeren in behandelingen voor zeldzame ziekten.

Dat is zorgelijk. Wanneer een QALY evenveel mag kosten bij een ziekte met 100 patiënten als bij een ziekte met 1.000 patiënten, verschuift de focus vanzelf naar aandoeningen met grotere patiëntengroepen – terwijl de behoefte aan nieuwe behandelingen voor zeldzame ziekten juist ook zeer groot is.

Dit knelpunt wordt elders in het zorgsysteem wél erkend. Zo kent de EMA een speciaal beoordelingsproces voor weesgeneesmiddelen. Ook houden veel Europese landen hier rekening mee in hun besluiten over vergoeding. In Nederland ontbreekt zulk maatwerk echter.

De gevolgen van dit beleid worden steeds zichtbaarder. Volgens de WAIT-indicator van EFPIA was in 2018 71% van de nieuwe weesgeneesmiddelen beschikbaar in Nederland (6e plaats in Europa), met een gemiddelde toegangstijd van 239 dagen (4e plaats). In 2025 was de beschikbaarheid bijna gehalveerd tot 39% (17e plaats), terwijl de toegangstijd was verdubbeld tot 561 dagen (15e plaats).

Nederland is in enkele jaren tijd gedaald van een leidende positie in Europa naar een plek onder het gemiddelde als het gaat om toegang tot weesgeneesmiddelen. Deze ontwikkeling is des te opvallender gezien de sterke positie van onze economie: het Nederlandse bbp stond in diezelfde periode consequent op de zevende plaats in Europa.

Skyclarys® past in dit bredere beeld. Terwijl toegang in Nederland nog onzeker is, hebben patiënten in 21 andere Europese landen al wel toegang, waaronder ook veel landen met een lager bbp. In 11 landen is sprake van een nationale vergoedingsregeling. Daarnaast hebben nog eens 10 landen Skyclarys beschikbaar gemaakt via andere, door de overheid gefinancierde regelingen, zoals individuele vergoedingen of tijdelijke regelingen in afwachting van een nationale vergoeding.

De rol van kosteneffectiviteit en verdringing

Een vaak genoemde reden om weesgeneesmiddelen niet te vergoeden is het principe van ‘verdringing’. Dit houdt in dat het zorgbudget beperkt is. Als er budget wordt besteed aan een behandeling die niet als kosteneffectief wordt beschouwd, blijft er minder geld over voor andere zorg die dat wel is. In theorie kan dit leiden tot minder gezondheidswinst voor patiënten als geheel.

We begrijpen het idee achter dit principe. Tegelijkertijd blijft het vooral een theoretische benadering. Het is namelijk niet aangetoond dat wanneer een weesgeneesmiddel niet wordt vergoed, dit elders in het zorgstelsel daadwerkelijk leidt tot betere zorg.

Dat komt onder meer doordat geneesmiddelen een van de weinige onderdelen van de zorg zijn die structureel op kosteneffectiviteit worden beoordeeld, terwijl ze slechts 5,1% van de totale zorguitgaven vormen – en zelfs maar 4,23% als we alle kortingen meewegen.¹ Veel andere onderdelen van de zorg, zoals langdurige zorg, worden doorgaans niet op dezelfde manier beoordeeld.

Hierdoor ontstaat een scheve situatie. Juist het deel van de zorg dat het meest grondig wordt beoordeeld, loopt het grootste risico om te worden afgewezen. Tegelijkertijd wordt de rest van het zorgstelsel niet langs diezelfde meetlat gelegd. Dat kan ertoe leiden dat nieuwe, vaak baanbrekende behandelingen niet beschikbaar komen, zonder dat duidelijk is of daar elders betere zorg voor in de plaats komt.

Daarnaast speelt nog een belangrijk punt in deze afweging. Hoewel weesgeneesmiddelen per patiënt kostbaar kunnen zijn, worden ze door kleine groepen gebruikt. Daardoor is de impact op het totale zorgbudget vaak beperkt. Het is daarom de vraag of een strikte toepassing van kosteneffectiviteit in deze gevallen werkelijk een groot verschil maakt voor de betaalbaarheid van de zorg, terwijl de gevolgen voor patiënten juist zeer groot zijn.

Bij dit soort afwegingen worden alle QALY's bovendien gelijk gewogen. Het maakt daarbij niet uit of de winst plaatsvindt bij een relatief milde ziekte met veel behandelopties, of bij een ernstige aandoening zonder behandelingen. In die context is het belangrijk om een onderscheid te maken tussen gelijkheid en rechtvaardigheid.

Gelijkheid betekent dat iedereen hetzelfde wordt behandeld. Rechtvaardigheid betekent dat extra steun wordt gegeven aan mensen die dat het hardst nodig hebben. Voor patiënten met een ernstige, zeldzame ziekte zonder behandelopties kan dat betekenen dat hogere kosten gerechtvaardigd zijn.

¹ Zie Vereniging Innovative Geneesmiddelen, Medicijnen Voor Morgen, beschikbaar via <https://www.vereniginginnovatievegeneesmiddelen.nl/verslag/medicijnen-voor-morgen/onze-inzet/>

FA vormt hiervan een belangrijk voorbeeld. Patiënten verliezen gemiddeld ruim 40 QALY's door de ziekte, wat de enorme ziektelast illustreert. Daarnaast zijn er nog geen behandelopties. Ondanks tientallen jaren onderzoek en ongeveer 35 klinische studies heeft alleen Skyclarys® tot nu toe voldoende effect laten zien.

ICER's geven daarbij een mate van schijnzekerheid. Er wordt een indruk gewekt dat ze zeer precies te berekenen zijn, maar het economische model dat er achter zit is een versimpeling van de werkelijkheid en gebaseerd op zeer veel aannames. Deze dienen bovendien vrij conservatief te zijn, waardoor het effect van een medicijn vaak wordt onderschat – zeker bij een complexe ziekte als FA.

Daarnaast mogen niet alle relevante factoren worden meegenomen in de berekeningen. Zo konden we bij Skyclarys® geen rekening houden met de impact van behandeling op mantelzorgers of met prijsdalingen na patentverlies. Daarnaast moesten we productiviteitsverlies berekenen met een methode die slechts een beperkt beeld geeft van de werkelijke impact. Had dit wel gemogen, dan zou Skyclarys® bij een korting van 57% kosteneffectief zijn geweest.

We plaatsen deze kanttekeningen niet om te stellen dat kosteneffectiviteit geen rol zou moeten spelen bij de beoordeling van nieuwe medicijnen. De middelen in de zorg zijn beperkt en zorgvuldige keuzes zijn noodzakelijk. Dit erkennen we en daarom willen we onze verantwoordelijkheid nemen.

Tegelijkertijd vinden we dat kosteneffectiviteit bij de beoordeling van weesgeneesmiddelen niet zo'n doorslaggevende rol zou moeten spelen. Gezien de beperkingen die we hebben benoemd, zien we dit niet als een voldoende solide basis voor zulke verstrekende vergoedingsbeslissingen. Het weigeren van vergoeding voor bewezen effectieve behandelingen leidt onherroepelijk tot gezondheidsverlies, zonder dat is aangetoond dat dit elders in het zorgsysteem tot betere zorg leidt.

Besluiten over weesgeneesmiddelen vragen om een bredere afweging, waarin ook de ernst van de ziekte, het ontbreken van alternatieven, de uitdagingen in ontwikkeling en het belang van innovatie worden meegenomen — evenals de noodzaak om patiënten perspectief te bieden.

Op weg naar een oplossing

We vonden het belangrijk om eerst deze context te delen, voordat we ingaan op mogelijke oplossingen. We begrijpen dat de overheid de verantwoordelijkheid heeft om de zorg toegankelijk en betaalbaar te houden. Dat doel delen we volledig. Ons uitgangspunt is daarom om Skyclarys® beschikbaar te maken op een manier die voor alle betrokken partijen houdbaar is.

In een eerdere brief van het ministerie aan Spierziekten Nederland is voorgesteld dat Biogen, indien nodig, een nieuw dossier kan indienen bij het Zorginstituut op basis van aanvullende data. In dit voorstel zien we echter geen oplossing. Hoewel we doorgaan met het verzamelen van aanvullende gegevens, verwachten we niet dat dit tot een wezenlijk ander vergoedingsadvies zal leiden. Zolang weesgeneesmiddelen in Nederland op de huidige manier worden beoordeeld, blijven we tegen dezelfde beperkingen aanlopen.

Dat neemt niet weg dat er wel degelijk oplossingsrichtingen zijn. Zo zijn we bereid om een aanzienlijke korting te bieden, aangevuld met budgetplafonds en prijs-volumeafspraken, in lijn met de aanpak van het Zorginstituut.

Ook ondersteunen we de recent vastgestelde start- en stopcriteria, opgesteld door artsen en patiënten, zoals eveneens geadviseerd door het Zorginstituut. Daarnaast denken we graag mee over innovatieve oplossingen, zoals een 'no cure, no pay'-model, vergelijkbaar met de ODAP-pilot voor Qalsody® (tofersen) bij ALS.

Biogen heeft in het verleden vaker laten zien constructief en innovatief te werk te gaan om geneesmiddelen beschikbaar te maken in Nederland. Zo doorliepen we als een van de eerste bedrijven een gezamenlijk vergoedingsproces met België. Ook hebben we een uitgebreid voorwaardelijk toelatingstraject opgezet voor Spinraza® (nusinersen), hebben we Fampyra® (fampridine) tijdelijk kosteloos beschikbaar gesteld om de toegang te waarborgen, en behoorden we recent tot de eerste bedrijven die deelnamen aan de ODAP-pilot met Qalsody®.

Met diezelfde constructieve en innovatieve insteek zijn we ook de onderhandelingen over Skyclarys® ingegaan. Tot nu toe is het helaas niet gelukt om tot een overeenkomst te komen. Tegelijkertijd geloven we dat een overeenkomst nog steeds mogelijk is, mits beide partijen bereid zijn zich flexibel op te stellen en gezamenlijk naar oplossingen te zoeken.

We blijven ons volledig inzetten om Skyclarys® zo snel mogelijk beschikbaar te maken in Nederland. We zien dit als een gezamenlijke verantwoordelijkheid van Biogen en het ministerie, waarbij we nadrukkelijk bereid zijn onze rol te vervullen.

We willen u nogmaals hartelijk bedanken voor uw brief. U heeft onze toezegging dat we de gesprekken met het ministerie met dezelfde hoge urgentie zullen voortzetten, met als doel om zo snel mogelijk duidelijkheid te bieden aan patiënten en hun naasten.

Hoogachtend,



Jennifer Papandreou
General Manager BeneLux