

Bijlage 3

Knelpunten voor de toegankelijkheid.

Behalve voordelen kent de introductie van biomedische producten ook knelpunten. In het bijzonder hoge kosten verbonden aan therapie leiden ertoe dat discussies ontstaan over de toepassing. Niet alle biomedische middelen zijn overigens heel duur, maar dat geldt wel voor onder andere de enzymen voor de behandeling van patiënten met erfelijke deficiënties zoals lysosomale stapelingsziekten. De productie van deze enzymen vergt hoogwaardige kennis en geavanceerde technologie, terwijl het vaak om beperkte aantallen patiënten gaat. Deze factoren beïnvloeden de prijsvorming in sterke mate. Hoge kosten roepen de vraag op of toepassing niet een onevenredig beslag legt op de middelen voor de gezondheidszorg. De Raad voor Volksgezondheid en Zorg (RVZ) heeft hierover recent een advies uitgebracht (Zinnige en duurzame zorg) waarin criteria voor de beoordeling van de kosten worden voorgesteld. Het FBG wil in deze bijlage niet vooruitlopen op de discussie over deze complexe problematiek.

Naast de kosten van sommige producten zijn er knelpunten die voortvloeien uit de wijze van financieren, en uit de wijze waarop de toelating tot de markt en het vergoedingsstelsel zijn geregeld. Discrepancies bij de vergoeding kunnen optreden door het verschil tussen intramurale en extramurale behandeling. In deze bijlage zijn de knelpunten systematisch weergegeven, beginnend bij de toelating tot de markt en eindigend bij de diagnostische kennis van voorschrijvers.

In het FBG is opgemerkt dat vertragingen in de ontwikkeling van nieuwe producten ook kunnen worden aangemerkt als knelpunten. Hoewel deze niet op directe wijze betrekking hebben op de toegankelijkheid, hebben ze er wel op indirecte wijze invloed op. Problemen rond dierproeven vallen in deze categorie, zoals ook gesignaleerd door de werkgroep Regelgeving Biotechnologie van het Ministerie van Justitie. In de brief van het FBG over deze regelgeving (brief 28 juni 2006 aan de heer Sanders) onderschrijft het FBG het belang van stroomlijning van de bestaande regelgeving. Ook de eis van het CCMO dat voor fase I trials van biologische agentia documentatie over productie van drie batches moet worden geleverd is een knelpunt, met name als deze agentia ontwikkeld worden voor een klein aantal patiënten. Daarnaast is de financiering in het ontwikkelingstraject van een potentieel product van laboratorium naar kliniek een knelpunt. Aangezien de Raad voor GezondheidsOnderzoek een advies Translationeel onderzoek voorbereidt, wordt dit knelpunt nu niet verder uitgewerkt.

3.1. Toelating tot de markt

Voor de toelating dient een aantal zaken wettelijk omschreven te zijn. Langdurig uitblijven van de wettelijke regelgeving veroorzaakt een knelpunt voor de toegankelijkheid, hetgeen zich voordoet bij producten met bewerkt lichaamsmateriaal. Zogenaemde tissue engineered products zoals bewerkte huid en kraakbeenpreparaten zijn daardoor minder snel toegankelijk voor patiënten dan gewenst. Uitblijven van regelgeving belemmert ook de ontwikkeling van producten in Nederland en daarmee verbonden economische activiteiten. Op Europees niveau is er wetgeving in de maak op het gebied van registratie vereisten voor Advanced Therapy (gene therapy, stamcellen, tissue engineering) die echter majeure vertraging heeft opgelopen waardoor deze technologie veel minder snel ter beschikking dreigt te komen. Voor biomedische producten is eveneens een knelpunt dat de Europese regelgeving inzake veranderingen in het productieproces stringenter is dan voor andere therapeutica. Er zijn 47 variaties van het type I (minor), maar 22 daarvan zijn niet van toepassing bij biomedische producten zodat in die gevallen de strengere regels voor type II (major) in werking treden, hetgeen vertraging veroorzaakt.

3.2. Registratie voor verschillende toepassingen

Voor sommige biomedische producten zijn verschillende indicaties, zoals het voornoemde infliximab dat bij diverse auto-immuunaandoeningen effect heeft. De toegankelijkheid kan lijden onder het verschijnsel dat voor een bepaalde indicatie wel een registratie bestaat, maar voor een andere niet. Voor infliximab als middel voor ernstige vormen van de ziekte van Crohn is daardoor vertraging in de toegankelijkheid ontstaan. Een ander voorbeeld is rituximab dat ook wordt voorgeschreven aan patiënten met de ziekte van Waldenström, maar niet voor deze aandoening is geregistreerd en daarom niet altijd wordt vergoed. Deze vorm van off-label use is meer zichtbaar bij biotechnologische en dure geneesmiddelen. De beleidsregels voor geregistreerde geneesmiddelen bieden soelaas voor de geregistreerde indicaties, maar gelden niet voor de ongeregistreeerde indicaties. Bedrijven zijn niet altijd bereid om nieuwe (met name zeldzame) indicaties te registreren omdat zij daarvoor aanvullend onderzoek moeten doen, dat vaak lastig uit te voeren is vanwege de kleine patiëntenpopulaties en relatief gezien duur kan zijn. Ook kan het registratieproces nog gaande zijn terwijl artsen en patiënten het betreffende middel al zouden willen toepassen. Een ander knelpunt voor toegankelijkheid is dat geneesmiddelen die geregistreerd zijn buiten Europa (bijvoorbeeld in de VS) zonder aanvullende administratieve werkzaamheden (van behandelaar, apotheker en hoofdinspecteur voor de Gezondheidszorg) niet toegankelijk zijn voor patiënten in Nederland. Hoewel dit geldt voor zowel biomedische als niet biomedische producten is dit met name een knelpunt voor behandeling van patiënten waarvoor geen andere behandelingsmogelijkheid is dan een dure biomedische behandeling.

3.3 Knelpunten rond de vergoeding

Problemen met de vergoeding van biomedische producten verminderen de toegankelijkheid. De knelpunten bestaan vooral uit het ontbreken van (volledige) vergoeding, maar ook onduidelijkheid over continuïteit van financiering is van belang. Ondanks de beleidsregels terzake komen die knelpunten regelmatig voor, vooral bij dure geneesmiddelen. Maar ook bij monitoring van therapie kan de financiering een belemmering vormen.

Voor middelen die onder de Beleidsregel Dure geneesmiddelen vallen, is de vergoeding 80 procent. Hoewel deze vergoeding hoger is dan het oorspronkelijke maximum van 75 procent, vormen bepaalde middelen een naar verhouding hoge belasting voor ziekenhuisbudgetten. Dat onvolledige vergoeding een drempel op kan werpen is gebleken uit het gebruik van herceptine (een kankergeneesmiddel dat pas beter toegankelijk werd na berichten in de pers over ongelijke behandelingen).

Voor middelen die onder de Beleidsregel Weesgeneesmiddelen vallen, wordt bij verstrekking in Universitaire centra 95 procent vergoed. In geval van zeer dure middelen of als een centrum relatief veel patiënten behandelt (bijvoorbeeld als expertisecentrum) gaan ook hier budgettaire overwegingen een belemmering vormen. Hierbij zij aangetekend dat naar verwachting het aantal geneesmiddelen in deze categorie toe zal nemen, onder andere voor lysosomale stapelingsziektes.

Ook het verschil tussen intra- en extramuraal financiering maakt duidelijk dat onvolledige vergoeding soms een knelpunt voor de toegankelijkheid is. Terwijl voor een ziekenhuisbudget een plafond is afgesproken, komt een product bij toediening thuis in het vergoedingsstelsel GVS terecht, waar in principe een open-eind financiering van toepassing is. Problemen kunnen onder meer ontstaan als eerst intramuraal en vervolgens extramuraal wordt behandeld. Ook andersom kunnen problemen ontstaan als een patiënt die extramuraal behandeld wordt met een duur geneesmiddel langdurig wordt opgenomen in een ziekenhuis of verpleeghuis, waarbij de behandeling door het ziekenhuis/verpleeghuis moet worden bekostigd. Voorbeelden uit de praktijk hierbij zijn imiglucerase voor de ziekte van Gaucher en epoprostenol voor pulmonale hypertensie. Het verschil in financiering kan zelfs tot afschuifgedrag leiden. Een voorbeeld van deze discrepanties is te vinden bij het voorschrijfgedrag ten aanzien van het antilichaam rituximab en de chemische signaalremmer imatinib. Het eerste biomedische product moet intramuraal worden gebruikt, het tweede product kan extramuraal. Beide producten worden toegepast als therapie bij hematologische kankers (diffuus groot B-cel lymfoom resp. chronische myeloïde leukemie). Hoewel het

eerste minder duur is dan het tweede (per gewonnen levensjaar, gecorrigeerd voor kwaliteit van leven), wordt het veel minder voorgeschreven omdat het ten laste komt van het ziekenhuis, en het tweede onder het GVS valt.

Behalve knelpunten in de vergoeding als zodanig, kan door gebrek aan vertrouwen in de continuïteit van vergoedingen een knelpunt ontstaan. Het lijkt vanzelfsprekend dat deze continuïteit bestaat, maar dat is niet voor iedereen duidelijk.

3.4 Overige regelgeving

Het toedienen van een naakt-DNA vaccin zou volgens een bepaalde interpretatie van de huidige regelgeving de betrokken persoon tot een genetisch gemodificeerd organisme maken. Dat vormt een knelpunt voor de toepassing van dergelijke vaccins.

3.5 Diagnostische knelpunten

De sterke toename van de medisch-biologische kennis, in het bijzonder op het gebied van de genetica, maakt dat steeds vaker de diagnostiek een knelpunt vormt voor de toegankelijkheid. Het is niet alleen voor de huisarts onmogelijk om het grote aantal zeldzame aandoeningen te kennen dat de laatste jaren in beeld is gebracht. Ook voor de specialisten wordt dat meer en meer een probleem. Dat kan een knelpunt vormen voor de toepassing van biomedische producten bij die aandoeningen. Diagnostische knelpunten beperken zich echter niet tot de zeldzame erfelijke aandoeningen. Ook de opsporing van bepaalde aandoeningen zoals hepatitis C en de onderdiagnostiek van diabetes zijn belemmeringen voor optimale behandelingen.

3.6 Knelpunten in de communicatie

Voor 'kleine' producenten en voor voorschrijvers zijn de regels inzake registratie en vergoedingen soms niet duidelijk. De betreffende informatie is weliswaar beschikbaar, maar niet gemakkelijk toegankelijk. Ook is voor kleingebruikers de daarbij optredende administratieve belasting relatief hoog.