

Vaste Kamercommissie voor VWS
T.a.v. de griffier
Per e-mail: cie.vws@tweedekamer.nl

Datum 2 oktober 2024 Kenmerk 50/JvA/jb/22 Bijlagen Position paper
Onderwerp Inbreng voor overleg initiatiefnota 'Geneesmiddelen weer binnen bereik'

Geachte leden van de vaste Kamercommissie VWS,

Op maandag 7 oktober bespreekt u de initiatiefnota van dhr. Krul over 'Geneesmiddelen weer binnen bereik' (TK 36343). In deze nota komt een aantal mogelijke oplossingen aan bod om de beschikbaarheid, bereikbaarheid en betaalbaarheid van medicijnen te vergroten. Spierziekten Nederland is blij dat dit onderwerp zo prominent op uw agenda staat aangezien problemen rondom dit onderwerp veel patiëntengroepen raken, waaronder mensen met een spierziekte.

Eerder vroegen wij aandacht voor de trage en beperkte beschikbaarheid van effectieve en innovatieve weesgeneesmiddelen tegen spierziekten, ondanks dat er steeds meer van zulke geneesmiddelen ontwikkeld worden. Dit deden we o.a. door aanwezigheid bij het Commissiedebat Hulp- en geneesmiddelenbeleid op 30 mei en met onze position paper *Effectieve en innovatieve weesgeneesmiddelen traag, niet of te beperkt beschikbaar: spierziektepatiënt de dupe*, bijgevoegd bij deze mail. Voor het notaoverleg willen we u graag nogmaals op deze paper attenderen en enkele nuanceringen en overwegingen meegeven op de in de initiatiefnota voorgestelde oplossingen.

1. In onze paper benoemen we de zeldzaamheid van spierziekten in combinatie met stringente beoordelingscriteria als een van de redenen waardoor nieuwe medicijnen (weesgeneesmiddelen) voor onze achterban laat en beperkt beschikbaar komen: de gevraagde zekerheid is door de kleine patiëntenaantallen soms simpelweg met geen mogelijkheid te leveren. In de initiatiefnota wordt een nóg strakkere beoordeling van spécialités voorgesteld (voorstel 4). Onze zorg is dat extra eisen leiden tot een nog beperktere toegankelijkheid en/of verdere vertraging in de procedures. Voor mensen met een hoge unmet medical need, zoals mensen met ernstige en progressieve spierziekten, betekent dit extra onomkeerbare en mogelijk onnodige achteruitgang. Wij vragen u daarom om een betere prioritering voor medicijnen tegen juist dit soort ziekten; hierbij zijn er geen alternatieven en uitstel of afstel staat gelijk aan kiezen de ziekte haar gang te laten gaan.
2. Wat betreft de inzet van biomarkers, ook genoemd in voorstel 4, willen we aankaarten dat deze steeds meer meegenomen worden in klinische studies om een indruk te krijgen van de werkzaamheid van een medicijn. Biomarkers geven echter niet één op één inzicht in wat een medicijn écht oplevert voor het leven van patiënten. Daarvoor moeten o.i. altijd functionele uitkomstmaten en kwaliteit van leven leidend zijn.

3. Tot slot wordt in de initiatiefnota gestuurd op praktijkonderzoek naar de effectiviteit van geneesmiddelen. Spierziekten Nederland ondersteunt dit voorstel van harte. Het is ook een van de oplossingsrichtingen die wij hebben voorgesteld in ons position paper. Dit onderzoek vraagt echter een aanzienlijke investering van de academische expertise centra, bovenop de lopende werkzaamheden. Wij vragen u daarom – net als eerder – om structurele financiering beschikbaar te maken voor het uitvoeren van dit praktijkonderzoek.

We wensen u een constructief overleg. Hartelijk dank dat u deze overwegingen meeneemt.

Met vriendelijke groet,

Jovanka Vis



Directeur Spierziekten Nederland