

# Mening: Een kwestie van kiezen en delen in de zorg

In 2012 was collectieve vergoeding van dure geneesmiddelen voor de zeldzame ziekten Pompe en Fabry onderwerp van brede maatschappelijke discussie. Kanters *et al.* (2013) laten de verhoudingen tussen kosten en baten van de

middelen voor de ziekten van Pompe en Fabry zien. Deze zijn respectievelijk 900.000 euro (Pompe-kinderen), 15.300.000 euro (Pompe-volwassenen) en 3.300.000 euro (Fabry) per gewonnen QALY (een maatstaf voor een voor kwaliteit gecorrigeerd levensjaar). Als we deze verhoudingen relateren aan de verhouding van 80.000 euro die in 2006 door de Raad voor de Volksgezondheid en Zorg is voorgesteld, kan geconcludeerd worden dat deze middelen niet doelmatig zijn (RVZ, 2006). De geneesmiddelen voor Pompe en Fabry worden echter ook na 2013 vergoed vanuit het basispakket. Dat besluit heeft de minister genomen na het bereiken van een positief onderhandelingsresultaat (er wordt over een substantiële prijsverlaging gerept) met de fabrikanten van de middelen (VWS, 2013).

Daarmee is de discussie over vergoeding van dure geneesmiddelen niet af. Een relevante vraag is welke motieven ten grondslag liggen aan het opnemen van ondoelmatige geneesmiddelen voor zeldzame ziekten in het basispakket. Deze vraag is onverwijld actueel omdat over een aantal weesgeneesmiddelen nog een besluit genomen moet worden. Dit geldt bijvoorbeeld voor idursulfase, galsulfase (voor respectievelijk mucopolysaccharidose II en VI) en eculizumab voor patiënten met paroxysmale nachtelijke hemoglobininurie (PNH). Voor al deze middelen geldt dat de kosten-baten-verhouding ver boven de 80.000 euro per extra QALY ligt. Daarnaast loopt er een door ZonMw gefinancierd project (Hakkaart-van Roijen, 2012) dat inventariseert welke criteria voor weesgeneesmiddelen anders dan de gebruikelijke criteria een rol spelen bij pakketbeslissingen. De gebruikelijke criteria, volgens de trechter van Dunning, zijn: noodzakelijke zorg (vaak uitgelegd als voldoende hoge ziektelast), werkzaamheid en doelmatigheid van de behandeling en tot slot eigen rekening en verantwoording. Het laatste geldt bijvoorbeeld bij een bril. Zonder een bril is de ziektelast voor iemand die bijziend is hoog, toch wordt de bril niet vergoed uit het basispakket.

Het onderhandelingsresultaat dat de minister heeft bereikt voor Pompe en Fabry is geheim en kan ons dus niet helpen bij de beantwoording van de vraag welke criteria voor weesgeneesmiddelen een rol zouden moeten spelen. Hoeveel we zouden kunnen leren van het nu geheim gehouden onderhandelingsresultaat kan eenvoudig worden geïllustreerd. Bij patiënten met een meer voorkomende ziekte waarvan de ziektelast maximaal is, bijvoorbeeld patiënten met een ernstige long- of leveraandoening die zonder transplantatie op relatief

**EDDY ADANG**

Universitair hoofddocent aan het Radboud  
universitair medisch centrum

korte termijn zouden overlijden, geldt dat de minister rond de 80.000 euro per extra QALY wil betalen. Voor patiënten met een zeldzame ziekte zoals Fabry ligt dit anders. Uitgaande van een incrementele kosten-effectiviteitsratio van 3.300.000 euro per extra

QALY is het verschil tussen wat de minister wil betalen voor een extra QALY met of zonder zeldzame ziekte ongeveer een factor 40. Dit betekent dat de minister bereid is veertig keer zoveel in de ziekte Fabry te investeren dan in een meer voorkomende ziekte met gelijke zorgbehoefte. Gegeven een vast budget en een gelijk effectverschil is de minister bereid om veertig andere patiënten de zorg te ontzeggen om de zorg van één patiënt met Fabry te betalen. Welke andere verdelingscriteria rechtvaardigen dit? Mogelijk toegankelijkheid in de zin dat het aanbod van weesgeneesmiddelen opdroogt omdat bij een te lage betalingsbereidheid de winstprikkel voor de industrie afwezig is. Ook in deze context vaak genoemd, betreffen de kleine aantallen patiënten en de daarmee samenhangende beperkte budgetimpact. Ten slotte kan het een rol spelen dat er geen alternatieve behandeling is. Men kan al deze criteria of het criterium zeldzaamheid als zodanig onderdeel maken van een multi-criteria-beslissinganalyse. Hieruit komt dan de vraag naar voren hoe deze criteria ten opzichte van elkaar gewogen moeten worden. Dit impliceert wel dat er onderscheid gemaakt wordt tussen patiënten met gelijke zorgbehoeften. Dat is precies wat de minister nu ook doet.

Men kan het ook direct benaderen. Als zeldzaamheid een criterium is, dan geldt de vraag hoeveel de maatschappij bereid is patiënten met een zeldzame ziekte extra te compenseren. Aansluitend is de vraag wat bij zeldzame ziekten dan wel een passend niveau is voor de kosten per QALY. Ook al door de geheimhouding is er tot nu toe geen enkele transparantie. Dit kan de indruk wekken dat voor weesgeneesmiddelen *the sky the limit* is. Daar is geen betrokken partij mee gebaat. Daarom moet gepleit worden voor een transparant besluitvormingskader voor weesgeneesmiddelen waar een breed maatschappelijk draagvlak voor is.

## LITERATUUR

Hakkaart-van Roijen, L. (2012) *HTA guidelines to assist in the decision making process for the reimbursement of orphan drugs*. ZonMw programma Doelmatigheidsonderzoek Farmacotherapie op [www.zonmw.nl](http://www.zonmw.nl).

Kanters, T., A. van der Ploeg, M. Rutten-van Molken en L. Hakkaart (2013) Vergoeding duur middel vraagt breder fundament. *Medisch contact*, 2013(42), 2150–2154.

RVZ (2006) *Rapport zinnige en duurzame zorg*. Zoetermeer: Raad voor de Volksgezondheid en Zorg.

VWS (2013) *Geneesmiddelen voor ziekten van Pompe en Fabry blijven vergoed*. Artikel op [www.rijksoverheid.nl](http://www.rijksoverheid.nl).

De auteur heeft verklaard dit artikel alleen te publiceren in ESB en niet elders te publiceren in wat voor medium dan ook. Het is wel toegestaan om het artikel voor eigen gebruik en voor publicatie op een intranet van de werkgever van de auteur aan te wenden.