

Weesgeneesmiddelen, en de ziekten van Fabry en van Pompe: over gezondheidszorgbeleid met compassie zowel als verstand.

Excuus:

Allereerst mijn excuses dat ik niet als ACP-lid bij deze discussie aanwezig kan zijn. De reden is dat ik deze ochtend een sessie voorziet over complexe afwegingen bij de behandeling van schildklierkanker op het jaarlijkse congres van de European Society for Surgical Oncology. Een verplichting, die ik al een jaar geleden met de ESSO ben aangegaan, lang voor dat de timing en agenda van deze vergadering bekend waren.

Zoals door diverse partijen aangegeven gaat de discussie vandaag over meer dan de vergoeding van medicatie bij de ziekten van Fabry en Pompe alleen, en zelfs over meer dan weesziekten alleen.¹ De discussie raakt aan basale principes van ons zorgstelsel, en met name aan de spelregels voor het basispakket van onze zorg. Dat die zorg door de Nederlandse burger zeer hoog wordt gewaardeerd - op afstand het hoogst van alle zorgstelsels in Europa - blijkt bij herhaling uit de European Health Consumer Index. In die index, die sinds 2005 de waardering van Europese burgers voor hun zorgstelsel meet, eindigde Nederland in 2012 voor de derde keer op rij - en op afstand - als eerste. Het persbericht vermeldt: *“Nederland staat met name bovenaan op gebieden van patiënten rechten en -voorlichting, en het brede aanbod binnen het systeem... Met de indrukwekkende verbeteringen sinds 2005 is Nederland een goed voorbeeld voor andere landen om hun gezondheidsstelsels te hervormen!”*

Wat overigens ook wordt aangegeven is dat *“... ondanks de hoge positie de toegankelijkheid tot de beste medicatie in Nederland nog steeds beperkt is ...”*

Dat “brede aanbod” wordt gefinancierd vanuit een opgelegde solidariteit van alle Nederlandse burgers, gezonden en zieken, via verplichte verzekering (en verplichte acceptatie) voor het basispakket. Daaraan hangt een hoge prijs, een prijs die is gestegen van ongeveer 45 miljard in 2000 naar 90 miljard in 2011 (Zorgbalans 2012) en die alleen maar verder zal stijgen. Het 14^e Rapport Studiegroep Begrotingsruimte voorspelt: *“Bij voortzetting van de huidige groei betaalt een gezin van tweeverdieners met een inkomen van anderhalf keer modaal in 2040 bijna de helft van het inkomen aan collectieve zorg”*. Dat betekent dat onze economie, of liever die van onze kinderen en kleinkinderen, dreigt te bezwijken onder zorguitgaven die onze draagkracht ver te boven zullen gaan. Of dat gebeurt is ons aller verantwoordelijkheid.

En zeker ook de mijne als ACP-lid.

Niet voor niets heeft de Raad voor Volksgezondheid en Zorg in haar rapport “Zinnige en Duurzame Zorg” er daarom voor gepleit dat we in tijden van schaarste, zoals iedere verstandige burger dat doet met zijn huishoudbudget, de tering naar de nering zetten. Dat we voor elke euro die we met z’n allen aan die zorg uitgeven zoveel mogelijk gezondheid genereren. Hoe goed dat lukt wordt uitgedrukt in een zogenaamde kosten-effectiviteitsverhouding, met als rekeneenheden euro’s per kwaliteitsgecorrigeerd overlevingsjaar (€ / QALY, waarbij een QALY een ‘Quality Adjusted Life Year’ is, de winst in kwaliteit van leven en/of lengte van leven, die gelijk staat aan 1 jaar in optimale gezondheid). Om goede redenen, die in het RBZ-rapport te lezen zijn, pleit de RVZ voor een bovengrens van 80.000 € per QALY.

¹ Weesziekte = zeldzame ziekte, die bij < 1 op de 2.000 mensen voorkomt

Terug naar waar het vandaag om gaat, Fabry en Pompe. De behandelingen waar het vandaag om gaat zijn zowel heel duur als – met uitzondering van die bij de klassieke vorm van de ziekte van Pompe, weinig effectief. Die combinatie leidt tot kosten-effectiviteitsverhoudingen variërend van 300.000 tot 900.000 € per QALY voor de klassieke vorm van Pompe, tot wel 3 à 15 miljoen € per QALY voor Fabry en niet-klassieke Pompe. Dat laatste is tot bijna tweehonderd keer zo hoog als de RVZ-bovengrens van 80.000 €.

Als we die medicatie dan toch besluiten te vergoeden, betekent dat impliciet dat we voor de gemiddelde mens met niet-klassieke Pompe bijna 200 keer zoveel over hebben als voor iemand met een andere, niet zeldzame ziekte, zoals reuma, Parkinson of kanker.

Bij iedere beperkende pakket-maatregel zal er geprotesteerd worden door de patiënten die door de maatregel getroffen worden, en door hun naasten en hun behandelend artsen. Dat is begrijpelijk, te verwachten en gewenst in ons systeem van publieke argumentatie en besluitvorming.

De vraag is niet of er bezwaar wordt gemaakt, maar of de bezwaren hout snijden, en wat de alternatieven zijn voor de voorgenomen maatregel. De belangrijkste bezwaren daarom maar, één voor één:

1. *Het pakketcriterium kosteneffectiviteit heeft onvoldoende juridische basis?*

Kosteneffectiviteit is één van de vier pakketprincipes, die ACP en CVZ al langere tijd meewegen. Voor het eerst doet zich nu de situatie voor dat dit criterium als enige zo extreem negatief uitvalt, en daarmee de belangrijkste reden is om uitsluiting te bepleiten. Dat klopt. Daarmee gaat van deze casus ook een krachtige voorbeeldfunctie uit voor toekomstige vergelijkbare gevallen. Een duurzaam pakketbeheer vraagt om wettelijke verankering - niet verwerping - van een kostenbeheersingsprincipe waarvoor vooralsnog geen alternatieven zijn. Het vraagt bovenal om politieke en maatschappelijke duidelijkheid, over de kaders waarbinnen we onze discussies voeren en onze keuzes maken.

2. *Kosteneffectiviteit geldt niet voor weesziekten en weesgeneesmiddelen?*

Industrieel winstbejag, in combinatie met de afzet van medicijnen in een kleinere patiënten groep, is de reden voor een hogere winstmarge per patiënt bij weesziekten. Het hele programma weesgeneesmiddelen is voortgekomen uit het besef dat patiënten met weesziekten niet gestraft mogen worden voor markprincipes van de farmaceutische industrie. De schimmigheid waarmee de industrie de prijsstelling omgeeft maakt de discussie er overigens niet makkelijker op. Vanwege dat besef is het jaarlijkse therapie-bedrag van 300.000 € tot 900.000 € per patiënt - 5 tot 10 keer zo hoog als de RVZ-grens – dan ook geen reden om onmiddellijk “neen” te adviseren. Echter, betogen dat er bij weesgeneesmiddelen, anders dan alle andere (ernstige) ziekten, geen enkele kosteneffectiviteitsgrens mag worden gebruikt is m.i. moreel onverdedigbaar. Daarmee zouden we immers discriminatie bij weesziekten vervangen door discriminatie bij niet-zeldzame ziekten.

3. *Alleen effectiviteit telt, niet de kosten?*

Waarom dat argument niet houdbaar is, is in de inleiding al aangegeven. Het is niet verbazingwekkend dat de farmaceutische industrie, die per patiënt per jaar honderdduizenden euro's terugverdient aan dit middel, met dit argument komt. Diezelfde fabrikant weigert inzicht te geven in de reële ontwikkelkosten, waarvan tenminste een deel voor rekening komt van (ook van belastinggeld betaalde) onderzoekers in Leiden en Rotterdam. Het is

voor rekening van Genzyme, niet het CVZ, dat onduidelijk is hoe groot dat deel is. Dat zelfs de gratis verstrekking van medicijnen in Afrika in de strijd wordt gegooid om de hoge, bewust ondoorzichtig gehouden, prijs te rechtvaardigen, doet op zijn zachtst gezegd ongelofwaardig aan, om ergere termen niet te gebruiken.

4. *Het medicijn is in individuele patiënten wel effectief?*

Dit is een moeilijk op waarde te schatten bezwaar.

Een tegenargument is dat het, zeker bij een ziekte met een zo grillig beloop als Pompe, (moeilijk zo niet) onmogelijk is om op basis van één individu conclusies te trekken over behandelbaarheid. Immers, tijdens iedere medische behandeling is er wel een patiënt met wie het beter gaat, en kan een andere patiënt ondanks behandeling achteruit gaan of zelfs overlijden.

Conclusies over therapie-effectiviteit trekken we daarom in de wetenschap op basis van de balans tussen voor- en nadelen in een patiëntengroep van voldoende grootte. Met dat inzicht heeft de Evidence Based Medicine ons inmiddels verlost van veel niet-bewezen onzinnigheden. Wat in dit bezwaar wel nadere aandacht behoeft, is het feit dat de ziekte van Pompe qua beloop en behandelbaarheid minder eenduidig uiteenvalt in twee zwart-wit gescheiden groepen dan sommige publicaties suggereren. Subgroepen (juvenile vormen) of individuen met niet-klassieke Pompe zouden wel eens minder kunnen verschillen van de klassieke vorm dan we hopen, al dan niet in relatie tot de mate van enzymdeficiëntie. Het zal echter om slechts weinig patiënten gaan. Immers, als het er velen waren, dan waren de uitkomst-verschillen in wetenschappelijke studies bij de niet-klassieke Pompe veel groter geweest.

5. *Een éénmaal gegeven behandeling mag je niet meer afpakken?*

Er zijn in de geschiedenis van de geneeskunde veel behandelingen geweest die minder effectief bleken dan we eerst dachten. Het merendeel van de medische behandelingen enkele eeuwen geleden was onzin. Omdat geneeskunde niet alleen een kunst, maar ook een wetenschap is, zijn we daarmee gestopt, en hebben we nu behandelingen die wel werken.

6. *Dit is kapitaalvernietiging van het vele relevante onderzoek?*

Het is inderdaad ongewenst dat alle onderzoek wordt stopgezet.

Echter, voor onderzoek zijn andere, betere financieringsmethoden denkbaar dan het basispakket, die meer garantie bieden op onderzoeksresultaten.

Men vraagt zich overigens af, in het licht van de vele ontwikkelingsstappen die door onderzoekers in Leiden en Rotterdam zijn gezet, welk resterend deel van die ontwikkeling voor rekening van Genzyme kwam. En of dat resterende deel wel rechtvaardigt dat er honderden miljoenen of miljarden moeten worden terugverdiend, voor een deel van de Nederlandse belastingbetaler die een deel van het universitaire onderzoek al zelf medefinancierd heeft.

Een heldere toetsing van argumenten wordt gemakkelijk verstoord, wanneer de discussie wordt verhit c.q. vertroebeld naar een scherp contrast tussen kil-hardvochtige apparatsjiks met hun getallen enerzijds, en aansprekende mensen met een gezicht, verhaal en emoties anderzijds. Die karikatuur gaat voorbij aan het feit dat deze tientallen miljoenen de zorg bij andere patiënten verdringen. Bij wie veel meer gezondheidswinst per euro kan worden geboden, en waar, bij niet-financiering, dan weer andere persoonlijke drama's ontstaan.

Van de zes genoemde bezwaren tegen de voorgestelde pakketmaatregel lijken er slechts twee enig hout te snijden. Dat is 1) het argument dat indicatie tot verstrekking op individueel niveau moet worden getoetst en 2) het argument dat de pakketmaatregel onderzoek en vooruitgang kan frustreren.

Beide bezwaren pleiten er sterk voor om weesziekten en weesgeneesmiddelen onder te brengen in een apart programma of fonds. Onder regie van een ter zake kundige en onafhankelijke commissie, die verstandig en rechtvaardig is, maar ook bereid is streng te zijn.

In zo'n programma kunnen zowel ontwikkeling als verstrekking van weesgeneesmiddelen worden ondergebracht. En bij uitstek in zo'n programma kunnen koppelingen gemaakt worden tussen het conditioneel vergoeden van zorg en slim onderzoek (bijvoorbeeld N-1 studies). Om die weinige patiënten te identificeren bij wie een middel wèl (kosten)effectief is.

Anderzijds kan daardoor worden voorkomen worden dat jaarlijks vele tonnen per patiënt, en vele tientallen miljoenen landelijk, worden besteed aan behandelingen die geen reële winst opleveren.

Alle patiënten hebben recht op compassie, en op werkzame behandeling binnen redelijke en houdbare kaders.

Geen van de ingebrachte bezwaren rechtvaardigt mijns inziens dat medicijnen met een zo buitenproportionele kosteneffectiviteitsverhouding worden gefinancierd vanuit het gewone basispakket, samen met al die andere zorg waarvoor heel veel strengere regels gelden.

Dat zou ernstige gevolgen hebben voor de pakketprincipes die zo noodzakelijk zijn voor duurzame zorg, voor onszelf, maar zeker ook voor volgende generaties, uw en mijn kinderen en kleinkinderen. Het zou de koers die de minister heeft ingezet richting "zinnig en zuinig" ernstig verstoren, en een precedent scheppen aan de hand waarvan toekomstige kostenbeheersing nog veel moeilijker wordt. In het licht van de ernstige zorgkostenstijgingen die ons zonder sturing nog te wachten staan, is dat een recept voor een rampscenario.

Prof. Dr. Job Kievit, chirurg, Hoogleraar Medische Besliskunde *)

Leids Universitair Medisch Centrum

Afdelingen Heelkunde en Medische Besliskunde

j.kievit@lumc.nl

Diemen-Valencia, 21-9-2012

*) Lid van de Advies Commissie Pakket van het College voor Zorgverzekeringen (CVZ), en verder o.a. van de Gezondheidsraad, de Raadscommissie voor Gezondheidsonderzoek (RGO), en het Kwaliteitsconsortium van de Nederlandse Federatie van Universitair Medische Centra (NFU)