

Van: S.

Verzonden: donderdag 4 oktober 2018 13:30

Aan: H.

Onderwerp: Openstaande vraag SGP Translarna

Beste R.,

Hierbij de vragen en antwoorden over Translarna door het SGP gesteld.
De antwoorden zijn afgestemd met K..

Mvg

E.

1. Hoe kan het dat het ZIN tot een negatieve conclusie komt m.b.t. dit geneesmiddel, terwijl het EMA wel positief is hierover?
2. Wat is de reden dat zo goed als alle Europese landen inmiddels dit medicijn wel vergoeden, soms met aanvullende voorwaarden bij verstrekking aan individuele patiënten? (werkt het wel, dan vergoeding. Werkt het niet, dan weer stoppen en geen vergoeding meer). Is zo'n maatwerkoplossing ook in de Nederlandse situatie mogelijk?
3. In de mail van VWS staat: 'Wel is de minister voornemens om een aparte regeling voor specifieke typen geneesmiddelen uit te werken die in gevallen een oplossing kan bieden voor snellere toegang tot potentieel veelbelovende (wees)geneesmiddelen: middelen die door de European Medicines Agency (EMA) voorwaardelijk of met minder bewijs tot de markt zijn toegelaten.' Wat is de stand van zaken en kan toegelicht worden of dit op korte termijn voor deze situatie een oplossing is?
4. Is het mogelijk persoonlijk contact op te laten nemen vanuit het ministerie met deze ouders, zodat het verhaal kan worden toegelicht van hun kant?

1. Op 23 juli 2018 heeft de CHMP-commissie van het EMA de toepassing van Translarna goedgekeurd bij kinderen van 2 tot 5 jaar. Deze beslissing is gebaseerd op resultaten van een studie die veiligheidsinformatie verzamelde. Daarnaast zette deze studie gegevens over klinische effecten op een rij, maar op dat punt vertoonde de studie volgens de CHMP tekortkomingen. De CHMP concludeert dat het veiligheidsprofiel bij kinderen van 2 tot 5 jaar niet afwijkt ten opzichte van kinderen ouder dan 5 jaar. De CHMP stelde ook vast dat de nieuwe studieresultaten op zich geen bewijs vormen voor de werkzaamheid van Translarna. Er is geen uitsluitel over de grootte van het effect, de klinische relevantie van dat effect en de mogelijk daaraan gerelateerde voordelen van behandeling met Translarna op de lange termijn.
Het Zorginstituut heeft de studies met Translarna beoordeeld en vastgesteld dat deze onvoldoende bewijs leveren voor een gunstig effect van Translarna op uitstel van verlies van het loopvermogen.

2. Er is in Nederland binnen de huidige wettelijke kaders geen mogelijkheid om een geregistreerd geneesmiddel voor een individuele patiënt te vergoeden als het geneesmiddel niet is opgenomen in het basispakket.

3. Het klopt dat de minister momenteel een aparte regeling uitwerkt voor snellere toegang tot (wees)geneesmiddelen die door het EMA voorwaardelijk of met minder bewijs tot de markt zijn toegelaten. Einde 2018 zal de minister de Kamer informeren over de verdere uitwerking hiervan. Het is nu te vroeg om te zeggen welke middelen in aanmerking komen voor de nieuwe regeling.

4. Voor nu gaan wij ervan uit dat de vragen met bovenstaande informatie voldoende zijn beantwoord.

Van: J.

Verzonden: woensdag 29 augustus 2018 11:59

Aan: H.

CC: S.; J.

Onderwerp: FW: medicijn Translarna t.b.v. Duchenne Spierdystrofie

Beste R.,

Namens K. stuur ik je deze mail. Zojuist heb ik de vader uit onderstaande mail gesproken. Zijn verhaal is wat mij betreft duidelijk en voor zover ik kan beoordelen overtuigend. Zijn kinderen hebben veel baat bij het geneesmiddel waarvoor nu besloten is geen vergoeding te regelen. Hoewel het bij sommige kinderen niet (goed) blijkt te werken, werkt het bij zijn kinderen dus wel, ook volgens de medisch specialisten van het universitaire centrum waar ze in behandeling zijn. Mijn vragen aan jou zijn daarom:

5. Hoe kan het dat het ZIN tot een negatieve conclusie komt m.b.t. dit geneesmiddel, terwijl het EMA wel positief is hierover?
6. Wat is de reden dat zo goed als alle Europese landen inmiddels dit medicijn wel vergoeden, soms met aanvullende voorwaarden bij verstrekking aan individuele patiënten? (werkt het wel, dan vergoeding. Werkt het niet, dan weer stoppen en geen vergoeding meer). Is zo'n maatwerkoplossing ook in de Nederlandse situatie mogelijk?
7. In de mail van VWS staat: 'Wel is de minister voornemens om een aparte regeling voor specifieke typen geneesmiddelen uit te werken die in gevallen een oplossing kan bieden voor snellere toegang tot potentieel veelbelovende (wees)geneesmiddelen: middelen die door de European Medicines Agency (EMA) voorwaardelijk of met minder bewijs tot de markt zijn toegelaten.' Wat is de stand van zaken en kan toegelicht worden of dit op korte termijn voor deze situatie een oplossing is?
8. Is het mogelijk persoonlijk contact op te laten nemen vanuit het ministerie met deze ouders, zodat het verhaal kan worden toegelicht van hun kant?

Graag ontvang ik je reactie.

Met vriendelijke groet,

G,

SGP

Tweede Kamer der Staten-Generaal

Postbus 20018, 2500 EA Den Haag

Bezoekadres: Plein 2, Den Haag

Alle informatie over de Tweede Kamer is te vinden op www.tweedekamer.nl. U kunt de Tweede Kamer ook volgen op [Facebook](#) en [Twitter](#). Download ook de gratis Tweede Kamer vergaderagenda app in de Apple of Android store.

Van: Verhoek Printing Consultants [<mailto:verhoek@printingconsultants.nl>]

Verzonden: woensdag 29 augustus 2018 10:26

Aan: S.

Onderwerp: RE: medicijn Translarna t.b.v. Duchenne Spierdystrofie

Geachte heer Van der S

Aanvullend op onze mail van afgelopen maandag, bijgaand onze reactie aan minister Bruins.

Vriendelijke groet,

R. en N.

Van: V. Printing Consultants

Verzonden: maandag 27 augustus 2018 11:35

Aan: S.

Onderwerp: FW: medicijn Translarna t.b.v. Duchenne Spierdystrofie

Geachte heer Van der S.

Hierbij stellen wij u op de hoogte van het volgende. Tot onze verbazing ontvingen wij afgelopen week onderstaande reactie op onze brief aan minister Bruins. De mail naar de minister is destijds ook in cc naar commissie VWS gegaan, maar voor de volledigheid vindt u deze nogmaals in bijlage. Met vriendelijke groet,

R. en N.

Van

Verzonden: dinsdag 21 augustus 2018 15:53

Aan: V. Printing Consultants

Onderwerp: FW: medicijn Translarna t.b.v. Duchenne Spierdystrofie

Geachte heer en mevrouw V.,

Dank voor uw brief van 31 juli 2018 waarin u aangeeft dat de fabrikant van Translarna stopt met de gratis verstrekking van dit middel voor uw zoons met Duchenne. U vraagt of de minister van VWS kan bemiddelen in deze situatie. Ik vind het verdrietig te lezen dat uw zoons deze ziekte hebben en dat zij dit middel nu niet meer toegediend kunnen krijgen.

Tot mijn spijt kan ik u geen positief antwoord geven op uw verzoek. De minister kan hierin geen rol vervullen. Compassionate use programma's worden goedgekeurd door het College ter beoordeling van geneesmiddelen (CBG). Een goedkeuring van een dergelijk programma geldt voor 1 jaar. Na dit jaar kunnen fabrikanten een verlenging aanvragen bij het CBG. Ik weet niet of dit gebeurd is.

Verder is het zo dat het Zorginstituut in december 2017 de minister heeft geadviseerd om ataluren (Translarna®) niet op te nemen op lijst 1B van het Geneesmiddelenvergoedingssysteem (GVS). Uit onderzoek blijkt dat ataluren een therapeutische minderwaarde heeft ten opzichte van het placebo. Daarnaast is ataluren op basis van de gehanteerde criteria geen kandidaat voor voorwaardelijke toelating. Een gunstig effect van ataluren op uitstel van verlies van het loopvermogen is nog onvoldoende aangetoond.

De minister heeft besloten het advies van het Zorginstituut over te nemen en Translarna niet op te nemen op bijlage 1B van de Regeling zorgverzekering. Wel is de minister voornemens om een aparte regeling voor specifieke typen geneesmiddelen uit te werken die in gevallen een oplossing kan bieden voor snellere toegang tot potentieel veelbelovende (wees)geneesmiddelen: middelen die door de European Medicines Agency (EMA) voorwaardelijk of met minder bewijs tot de markt zijn toegelaten.

Ik kan mij voorstellen dat mijn reactie op uw brief niet beantwoordt aan wat u hoopt en daardoor teleurstellend voor u kan zijn. Het spijt mij dat ik niet meer voor u kan doen. Niettemin hoop ik dat ik uw brief op deze manier voldoende beantwoord heb en wens u en uw zoons het beste toe en sterkte.

Ik vertrouw erop u hiermee voldoende te hebben geïnformeerd.

Met vriendelijke groeten,

I. P.

Publieksvoorlichting VWS

Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport

Postbus 20350

2500 EJ Den Haag
www.rijksoverheid.nl

Van: V. Printing Consultants

Verzonden: woensdag 1 augustus 2018 14:39

Aan: Minister voor Medische Zorg en Sport

CC: cie.vws@tweedekamer.nl

Onderwerp: medicijn Translarna t.b.v. Duchenne Spierdystrofie

Hooggeachte heer Bruins,

In bijlage vindt u een brief van ons, inzake uw besluit omtrent het medicijn Translarna.

Dat wij dit voor onze zonen doen – ze zijn voor de wet inmiddels volwassen – is vanwege het feit dat zij hier zelf niet toe in staat zijn.

Hoogachtend,

R. en N.