

## Vragen gesteld door de leden der Kamer, met de daarop door de regering gegeven antwoorden

### 3732

Schriftelijke vragen van het lid **Van Gerven** (SP) aan de Minister voor Medische Zorg over *het bericht dat Novartis gemanipuleerde data gebruikte* (ingezonden 9 augustus 2019).

Antwoord van Minister **Bruins** (Medische Zorg) (ontvangen 29 augustus 2019).

Vraag 1

Wat is uw reactie op het artikel «Novartis gebruikte gemanipuleerde data»?<sup>1</sup>

Antwoord 1

Ik heb kennisgenomen van het artikel. Als een leverancier tijdens een centrale beoordelingsprocedure niet transparant handelt en bewust informatie manipuleert of achterhoudt, dan vind ik dat een zeer kwalijke zaak. Het is de verantwoordelijkheid van de leverancier om bij de instanties een volledig dossier aan te leveren op basis waarvan de werkzaamheid en veiligheid van een geneesmiddel kan worden beoordeeld.

Vraag 2

Wat zegt dit volgens u over de integriteit van Novartis, niet in de laatste plaats aangezien het hier over het duurste medicijn ooit gaat?

Antwoord 2

De FDA verklaart dat AveXis (onderdeel van Novartis) op de hoogte was van de gemanipuleerde gegevens voordat Zolgensma werd goedgekeurd. De leverancier informeerde de FDA hier echter pas over nadat het product was goedgekeurd. Naar mijn mening dient transparantie in de goedkeuringsprocedure bij ieder farmaceutisch bedrijf voorop te staan. Het is een slechte zaak dat dit bij AveXis niet het geval lijkt te zijn geweest.

Vraag 3, 4

Om welke data gaat het precies? Vormt deze onthulling aanleiding om uit werkbaarheids- of veiligheidsoverwegingen deze therapie niet toe te laten? Kunt u uw antwoord toelichten?

Zal er een extra nauwkeurig proces te pas komen aan de goedkeuring van Zolgensma en andere van Novartis afkomstige middelen door het European

<sup>1</sup> Het Financieele Dagblad, 9 augustus 2019, «Novartis gebruikte gemanipuleerde data»

Medicines Agency (EMA)? Kunt u de specifieke consequenties voor het goedkeuringsproces toelichten?

Antwoord 3, 4

De FDA heeft 6 augustus jl. naar buiten gebracht dat gemanipuleerde gegevens zijn ingediend in het kader van de goedkeuringsprocedure voor Zolgensma bij de FDA in de Verenigde Staten. Volgens de verklaring<sup>2</sup> van de FDA gaat het om gegevens die AveXis indiende ter ondersteuning van de ontwikkeling van het productieproces van Zolgensma. De FDA geeft verder aan dat de geconstateerde manipulatie van deze gegevens niets veranderen aan de positieve beoordeling van de informatie uit de klinische studies. Volgens de FDA ondersteunt de totale bewijslast voor de werkzaamheid en veiligheid van Zolgensma nog steeds een gunstige verhouding tussen de risico's en de baten van het geneesmiddel. Wel geeft de FDA aan de data over het productieproces van de leverancier te evalueren. In Europa gelden voor Zolgensma dezelfde regels als voor andere nieuwe geneesmiddelen waarvoor toelating wordt gevraagd op de Europese markt. De werkzaamheid en veiligheid van Zolgensma worden op dit moment centraal beoordeeld door de European Medicines Agency (EMA). Op dit moment beoordelen de specialisten bij de EMA -waaronder vertegenwoordigers van het Nederlandse College ter Beoordeling van Geneesmiddelen- de ingediende gegevens voor Zolgensma. Daarbij moet ook worden bepaald of signalen uit de Verenigde Staten van invloed zijn op de lopende beoordelingsprocedure in Europa.

Vraag 5

Bent u van mening dat Europa hier punitieve consequenties aan zou moeten verbinden voor Novartis, net zoals de Food and Drug Administration (FDA) overweegt strafrechtelijke maatregelen te nemen? Zo ja, welke? Zo nee, waarom niet?

Antwoord 5

Ik kan niet vooruitlopen op eventuele gevolgen en/of maatregelen vanuit de Europese Unie richting AveXis. Ik merk wel op dat de situatie in Europa anders is dan in de Verenigde Staten. In de Verenigde Staten stelde AveXis de FDA van de manipulatie van data op de hoogte nadat Zolgensma was goedgekeurd, ondanks dat men al kennis van de manipulatie had voordat de goedkeuring was verleend. De goedkeuring van de vergunningsaanvraag voor Zolgensma bij de EMA is echter nog niet afgerond. Dat biedt de aanvrager de gelegenheid om het dossier waar nodig aan te vullen met nieuwe gegevens die nodig zijn om te komen tot een juiste afweging door de EMA. Ik kan me goed voorstellen dat de EMA de signalen uit de Verenigde Staten meeneemt in de lopende beoordelingsprocedure van Zolgensma

Vraag 6

Welke gevolgen zal dit voorval hebben voor de extreem hoge prijs van Zolgensma?

Antwoord 6

De leverancier heeft vooralsnog niet openbaar gemaakt wat de prijs in Nederland gaat worden. Wanneer Zolgensma – naar verwachting – tegen een zodanig hoge prijs wordt aangeboden dat het valt onder de wettelijke criteria voor de pakkeetsluit, wordt het eerst in de sluis geplaatst en volgt een beoordeling door Zorginstituut Nederland. Als het Zorginstituut mij daarop adviseert om te onderhandelen over de prijs van Zolgensma, zal ik kritisch kijken naar de gevraagde prijs. Dit alles staat echter los van de huidige signalen uit de Verenigde Staten.

<sup>2</sup> <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/statement-data-accuracy-issues-recently-approved-gene-therapy>