

Ministerie van Volksgezondheid,
Welzijn en Sport

> Retouradres Postbus 20350 2500 EJ Den Haag

De heer en mevrouw V.

**Directoraat Generaal
Curatieve Zorg**
Directie Geneesmiddelen en
Medische Technologie

Bezoekadres:
Parnassusplein 5
2511 VX Den Haag
T 070 340 79 11
F 070 340 78 34
www.rijksoverheid.nl

Datum 16 december 2019
Betreft Vergoeding Translarna

Bijlage(n)
1

Kenmerk
1614815-198938-GMT

*Correspondentie uitsluitend
richten aan het retouradres
met vermelding van de datum
en het kenmerk van deze
brief.*

Geachte heer en mevrouw V.,

Hartelijk dank voor uw brief van 30 oktober 2019 gericht aan de vaste commissie voor Volksgezondheid, Welzijn en Sport. U vraagt mij wanneer de regeling voor snellere toegang tot weesgeneesmiddelen ingaat en of het middel Translarna onder deze regeling zal vallen.

In de eerste plaats geeft u aan dat u geen antwoord heeft gekregen op uw mail van 29 augustus 2018. Mijn excuses hiervoor. Wel heeft er tegelijkertijd een mailwisseling plaatsgevonden tussen u, de Directie Communicatie van VWS en de SGP waarin uw brief ook was opgenomen. Hierop heeft een van mijn medewerkers een antwoord geformuleerd, dat via onze Directie Communicatie naar u is gestuurd. Ik sluit de betreffende mailwisseling als bijlage bij deze brief in.

Ik lees in uw brief dat uw zoons B. en E. dit middel tot nu toe nog verstrekt krijgen via de fabrikant en dat het daardoor goed gaat met hen. Ik vind dit heel fijn voor uw zoons en voor u en kan mij tegelijkertijd voorstellen dat u zich zorgen maakt over hun toekomst.

Het nieuwe beleid voor de voorwaardelijke toelating van geneesmiddelen is met het uitgaan van de Kamerbrief beleidskader voorwaardelijke toelating geneesmiddelen op 22 oktober jl. ingegaan. Vanaf dat moment staat het fabrikanten vrij om een aanvraag in te dienen. Het nieuwe beleid richt zich specifiek op weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals. Translarna is een weesgeneesmiddel. Het doel van het nieuwe beleid is om de effectiviteit, en daarmee de pakketwaardigheid, van dergelijke middelen aan te tonen in onderzoek. Daarnaast zorgt het nieuwe beleid voor toegang voor de patiënt als het geneesmiddel voorwaardelijk wordt toegelaten en dus verder onderzocht wordt. Zie:

<https://www.rijksoverheid.nl/documenten/kamerstukken/2019/10/22/kamerbrief-over-beleidskader-voorwaardelijke-toelating-geneesmiddelen>

Het staat de fabrikant van Translarna vrij om een aanvraag in te dienen voor het nieuwe beleid voor de voorwaardelijke toelating van geneesmiddelen, ook al is dit middel eerder afgewezen voor de oude voorwaardelijke toelating. Het is dus in eerste instantie niet aan mij om een geneesmiddel voorwaardelijk toe te laten. Ik heb van het Zorginstituut begrepen dat de fabrikant met hen in gesprek is over de mogelijkheden. Of Translarna ook daadwerkelijk in de nieuwe voorwaardelijke toelating past kan ik op voorhand niet zeggen. De fabrikant moet daarvoor een goed onderzoeksvoorstel aanleveren, ondersteund door behandelaren, een onderzoeksinstelling en de patiëntenvereniging, waarmee de pakketvraag kan worden beantwoord. Vervolgens moet de fabrikant ook akkoord gaan met bepaalde randvoorwaarden, zoals een verlaagde prijs, en dient een convenant tussen partijen gesloten te worden.

Er loopt op dit moment geen herbeoordeling van het Zorginstituut naar de pakketwaardigheid van Translarna. Wel heeft het Zorginstituut dus binnenkort een gesprek met de fabrikant over de mogelijkheden van voorwaardelijke toelating.

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 uw zoons en u beiden het beste toe en sterkte.

Met vriendelijke groet,

de minister voor Medische Zorg
en Sport,

Bruno Bruins