

## 2018Z16103

Vragen van het lid **Dik-Faber** (ChristenUnie) aan de Minister voor Medische Zorg over *de vergoeding van het medicijn Translarna* (ingezonden 14 september 2018).

### Vraag 1

Bent u bekend met het medicijn Translarna (ataluren) voor een specifieke groep kinderen met spierdystrofie van Duchenne door een nonsense mutatie in het dystrofinegen? Hoeveel kinderen in ons land gebruiken dit medicijn? Klopt het dat de fabrikant PTC Therapeutics gestopt is met het gratis verstrekken van dit medicijn? Kunt u aangeven sinds wanneer het middel beschikbaar is en wat de reden ervan is dat de fabrikant de gratis verstrekking beëindigt?

### Vraag 2

Kunt u aangeven waarom de fabrikant geen verlenging heeft aangevraagd voor het «compassionate-use-»programma, of verlenging inderdaad mogelijk was en tegen welke vergoeding?

### Vraag 3

Is u bekend dat het European Medicines Agency (EMA) en het Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) positief hebben geadviseerd over het medicijn en onlangs op basis van nieuwe studies zelfs hebben aanbevolen om het medicijn ook voor kinderen jonger dan 5 jaar aan te bieden?

### Vraag 4

Kunt u aangeven waarom het Zorginstituut negatief heeft geadviseerd over het medicijn Translarna (ataluren)? Deelt u de mening dat de gehanteerde criteria voor (voorwaardelijke) toelating tot het basispakket onvoldoende geschikt zijn voor een weesgeneesmiddel zoals Translarna, waar slechts een beperkte groep kinderen gebruik van maakt?

### Vraag 5

Klopt het dat Translarna in 22 landen in Europa wel wordt vergoed en dat de onderhandelingen met de medicijnfabrikant in België en Ierland nog gaande zijn? Kunt u verklaren waarom het medicijn in 22 landen wél wordt vergoed en in ons land niet? Ziet u mogelijkheden om aan te sluiten bij de onderhandelingen die in België (en/of Ierland) worden gevoerd?

Vraag 6

eelt u de mening dat naar Translarna voldoende praktijkonderzoek is gedaan?  
Kunt u uw antwoord toelichten?

Vraag 7

Herinnert u zich uw toezegging om een aparte regeling uit te werken voor weesgeneesmiddelen waarvan de effectiviteit nog ter discussie staat, maar die door specifieke groepen patiënten als effectief worden ervaren? Kunt u aangeven wanneer die regeling gereed is?

Vraag 8

Denkt u dat de groep kinderen met spierdystrofie van Duchenne een beroep kunnen doen op deze regeling?

Vraag 9

Bent u bereid in overleg te treden met de fabrikant om verstrekking te bepleiten in de tussenliggende periode om te voorkomen dat kinderen onnodig achteruit gaan in hun ziekte?