

De Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen (VIG) dankt u voor de gelegenheid om te reageren op de voorgestelde doorontwikkeling van de regeling Voorwaardelijke Toelating (VT) voor geneesmiddelen.

In uw e-mail vraagt u of het voorstel, zoals geformuleerd in de appreciatie van de minister, in deze vorm werkbaar is. De VIG onderschrijft de werkbaarheid van het voorstel in de huidige vorm niet. Het risico bestaat dat de VT leidt tot aanvullende nationale onderzoeks- en bewijsvereisten, verdere stapeling van procedures en inzet van de regeling als kostenbeheersingsinstrument. Tegelijkertijd ziet de VIG ruimte voor doorontwikkeling, mits de regeling voorspelbaar, proportioneel en Europees ingebed wordt vormgegeven. Wij verzoeken u daarom de regeling zodanig aan te passen dat de VT een uitzonderlijk en werkbaar instrument blijft voor het overbruggen van specifieke bewijsgerelateerde onzekerheden en daarmee daadwerkelijk bijdraagt aan gecontroleerde en tijdige toegang tot innovatieve therapieën voor patiënten die binnen de huidige vergoedingscriteria buiten de boot vallen. Wij zullen dit in onze reactie nader toelichten.

Naar aanleiding van het voorstel dat nu voorligt, leggen wij u verder een aantal kernvragen voor:

- Wat is de wenselijkheid en haalbaarheid van een instrument als de VT waarmee Nederland routinematig aanvullende nationale onderzoeks- en datavereisten stelt bovenop Europese trajecten zoals EU HTA-JCA?
- Op welke manier wordt gewaarborgd dat wordt voorkomen dat de voorgestelde afbakening een prikkel creëert om geneesmiddelen structureel naar een VT te geleiden, waardoor de uitzondering geleidelijk de norm wordt? Wie bepaalt welke onzekerheden wel of niet een VT rechtvaardigen en welke criteria worden daarvoor gehanteerd?
- Waarom wordt gekozen voor een nationale bewijsroute op het moment dat Europees juist wordt ingezet op harmonisatie van bewijsontwikkeling, HTA-beoordeling en datageneratie en hier dus eigenlijk verder op moet worden ingezet?
- Is er een analyse gemaakt over de effecten van dit voorstel op het innovatieklimaat, investeringsbeslissingen en de positie van Nederland als introductiemarkt binnen Europa?
- Op welke manier wordt (de schijn) voorkomen dat de VT sec wordt gebruikt als strategisch kostenbeheersingsinstrument, onder het mom van onzekerheid over de klinische meerwaarde?

Echte knelpunten worden niet geadresseerd

De evaluatie van de huidige VT-regeling laat zien dat het instrument in de praktijk beperkt wordt gebruikt. Dat vraagt om een fundamentele herziening van de regeling. De voorgestelde aanpassing lijkt echter vooral te kiezen voor verruiming van de in aanmerking komende geneesmiddelen, zonder voldoende in te gaan op de oorzaken van het beperkte gebruik.

Uit de evaluatie blijkt dat deelname door bedrijven mede beperkt is gebleven door procedurele onzekerheid, financiële voorwaarden, administratieve belasting en internationale doorwerking van prijstransparantie. De kernvraag is daarom niet alleen welke geneesmiddelen onder de regeling kunnen vallen, maar vooral of de regeling voldoende voorspelbaar, uitvoerbaar en aantrekkelijk is om daadwerkelijk gebruikt te worden. Het voorliggende voorstel borgt geen van deze aspecten.

Uitzondering wordt de norm

Een belangrijk bezwaar van de VIG is het risico op het normaliseren van additionele nationale eisen. Door de VT te richten op situaties waarin sprake is van een Nederland-specifieke onderzoeksvraag, ontstaat een structurele route waarlangs aanvullende Nederland-specifieke onderzoeksvragen (kunnen) worden verbonden aan toegang tot zorg.

Wij voorzien dat deze route breder kan worden gebruikt dan nu wordt beoogd. Wanneer voor behandelstrategieën, patiëntensubgroepen, uitkomstmaten of pakketvragen afzonderlijke Nederlandse eisen kunnen worden geformuleerd, ontstaat het risico dat data die elders in Europa worden geaccepteerd in Nederland terzijde worden geschoven. Via aanvullende nationale trajecten moeten dan alsnog additionele studies worden opgezet voordat volledige toegang in Nederland mogelijk wordt.

In vrijwel ieder vergoedingsdossier van innovatieve geneesmiddelen kunnen onzekerheden worden geïdentificeerd die te vertalen zijn naar Nederland-specifieke onderzoeksvragen. In combinatie met de voorwaarde van een sterk gereduceerde prijs kan dit leiden tot strategisch beoordelings- of onderhandelingsgedrag en tot onzekerheid over introductie in Nederland, met mogelijke gevolgen voor patiënten. Daarnaast kunnen ook vraagstukken ontstaan ten aanzien van andere behandelstrategieën en/of toepassingen die niet onderzocht zijn in de klinische studie. Deze vraagstukken kunnen veelal in de dagelijkse praktijk beantwoord worden, bijvoorbeeld door dataverzameling in registries. Het beantwoorden van deze vraagstukken middels een VT traject is daarbij niet passend.

Voorkom nationale stapeling en borg Europese inbedding

De zorgen over de VT kunnen niet los worden gezien van de bredere ontwikkeling binnen het Toekomstig Stelsel Geneesmiddelen (TSG). In onze consultatiereactie op het TSG-proces hebben wij aangegeven dat het TSG-voorstel onvoldoende waarborgt dat innovatieve middelen sneller beschikbaar komen, waaronder voor patiënten waarbij sprake is van een hoge medische noodzaak. Daarbij hebben wij expliciet gewezen op de opstapeling van processtappen en lage betalingsbereidheid als risico's voor introductie van geneesmiddelen in Nederland.

De voorgestelde invulling van de VT sluit naar onze mening aan bij een bredere beweging richting extra processtappen, aanvullende nationale eisen en sterke kostenbeheersing, in plaats van het faciliteren van gecontroleerde toegang. In plaats van onzekerheden pragmatisch te overbruggen, dreigt de VT een aanvullende schakel te worden in een steeds omvangrijker systeem van risicoduiding, gebruiksafspraken en nationale bewijsvereisten. Daarnaast moet een instrument als de VT niet op zichzelf staand worden aangepast, maar duidelijk worden ingebed in het TSG, met heldere rollen, criteria en verantwoordelijkheden.

Onvoldoende prikkels

De VIG heeft fundamentele bezwaren tegen een afbakening die primair wordt gebaseerd op de vraag of bedrijven onvoldoende prikkels zouden hebben om Nederland-specifiek onderzoek uit te voeren. Deze formulering suggereert dat het uitblijven van dergelijk onderzoek vooral voortkomt uit een gebrek aan bereidheid of commerciële motivatie aan de kant van bedrijven. Dat beeld is te eenzijdig.

In veel gevallen ontstaat de aanvullende onderzoeksvraag juist doordat Nederland andere keuzes maakt dan andere landen. Het kan gaan om een afwijkende standaardbehandeling, andere uitkomstmaten, specifieke eisen aan pakketbeoordeling of een focus op een subpopulatie die in internationale studies niet afzonderlijk is onderzocht. Dit zijn keuzes binnen het Nederlandse zorgstelsel zelf, die ertoe leiden dat internationaal gegenereerde en geaccepteerde data voor Nederland verminderd toepasbaar is en waarvan de verantwoordelijkheid niet aan bedrijven valt toe te schrijven.

Proportionele en voorspelbare voorwaarden

De VIG plaatst ook kanttekeningen bij de uitwerking van de financiële voorwaarden. Wanneer bedrijven wordt gevraagd een geneesmiddel beschikbaar te stellen tegen een sterk gereduceerde prijs, aanvullend onderzoek mogelijk te maken en meerjarige dataverzameling te ondersteunen, moet vooraf duidelijk zijn welke financiële randvoorwaarden gelden, hoe deze zich verhouden tot de resterende onzekerheid en hoe wordt omgegaan met een positieve uitkomst na afloop van het VT-traject.

Een onvoldoende onderbouwde benadering van prijsverlaging, budgetplafonds of kortingsadviezen kan ertoe leiden dat deelname aan de VT praktisch onaantrekkelijk en onhaalbaar wordt. Daarmee zou het primaire doel van de regeling, gecontroleerde toegang in combinatie met bewijsontwikkeling, worden ondermijnd. Daarnaast moet te allen tijde worden voorkomen dat de VT als strategisch beoordelings- en onderhandelingsinstrument kan worden gebruikt sec om de uitgaven aan innovatieve geneesmiddelen te beheersen.

Europees ingebed onderzoek

Wij zijn van mening dat Nederland-specifieke onderzoeksvragen niet louter mogen leiden tot geïsoleerde Nederland-specifieke onderzoekstrajecten. Zeker bij kleine patiëntpopulaties is het vaak niet realistisch om uitsluitend op basis van onderzoek in Nederland binnen redelijke termijn robuuste conclusies te trekken. Hiervoor zijn grotere Europese en/of mondiale studies nodig. Internationale samenwerking, Europese registraties, real-world-data-infrastructuren en aansluiting bij Europese HTA-ontwikkelingen zijn noodzakelijk om betekenisvolle datageneratie mogelijk te maken.

De voorgestelde afbakening doet daar onvoldoende recht aan wanneer zij te strikt uitgaat van onderzoek dat geen bredere waarde voor het geneesmiddelenbedrijf zou hebben. De VIG vindt dat Nederland-specifieke bewijsontwikkeling waar mogelijk moet aansluiten op Europese trajecten, in plaats van daarvan los te worden georganiseerd. Waar aanvullende informatie over de Nederlandse praktijk, door zowel overheid als het geneesmiddelenbedrijf, relevant wordt gevonden, verdient het gebruik van bestaande Nederlandse registers en real-world data-infrastructuren de voorkeur boven het opzetten van geïsoleerde, nationale studies.

Tot slot

De VIG ondersteunt snelle en verantwoorde toegang tot veelbelovende geneesmiddelen voor patiënten met een hoge on vervulde behandelbehoefte. Die steun kan echter alleen in de praktijk betekenis krijgen als de VT daadwerkelijk wordt gebruikt. Aangezien de minister zelf erkent dat de voorgestelde aanpassingen mogelijk tot nog minder animo onder geneesmiddelenbedrijven leiden, is heroverweging noodzakelijk: een regeling die deelname ontmoedigt, ondergraaft haar eigen doelstelling om juist deze patiënten sneller toegang te bieden en verwordt daarmee tot niets anders dan een papieren instrument.

Het huidige voorstel voor de herziening van de VT is dus niet wenselijk voor geneesmiddelenbedrijven en zal in de praktijk onhaalbaar en onwerkbaar zijn. Enkel als alle belangrijke randvoorwaarden uit de evaluatie en de consultatie worden geborgd, ziet de VIG ruimte om de VT door te ontwikkelen tot een instrument dat gecontroleerde toegang en betekenisvolle datageneratie daadwerkelijk ondersteunt. In afwezigheid hiervan zien wij geen plek voor de voorwaardelijke toelating.

Wij blijven graag bereid om hierover met VWS, het Zorginstituut en andere betrokken partijen in gesprek te gaan.

Met vriendelijke groet,

Carla Vos
Algemeen Directeur