

# De Menukaart in 't kort

## Wees Financieel Bewust – 2024

### De toegang tot weesgeneesmiddelen kan én moet sneller!

Het A-Team 'Wees Financieel Bewust' heeft zich het afgelopen jaar gericht op de problemen die de toegang tot weesgeneesmiddelen bemoeilijken. Om deze problemen aan te pakken, heeft het team een overzicht gemaakt van alternatieve manieren om deze geneesmiddelen te vergoeden. Dit initiatief is ontstaan uit de noodzaak om nieuwe behandelingen beter toegankelijk te maken voor patiënten met een zeldzame aandoening. Het huidige vergoedingssysteem sluit niet goed aan op de uitdagingen van weesgeneesmiddelen, wat leidt tot vertragingen en beperkte toegang. Overheden en verzekeraars krijgen niet altijd genoeg antwoorden, terwijl fabrikanten vinden dat de gevraagde bewijzen onrealistisch zijn. Het A-Team benadrukt dat het anders moet en kan, met meer acceptatie van onzekerheden, het verdelen van risico's en snellere toegang tot medicijnen.

### De specifieke uitdagingen van weesgeneesmiddelen op een rijtje.

Zeldzame aandoeningen, waarvan er ruim 7000 zijn, treffen meer dan een miljoen Nederlanders. Voor de meeste is geen behandeling beschikbaar, wat jaarlijks tot 15.000 sterfgevallen leidt (voetnoot 1). Ter vergelijking: dementie veroorzaakt 16.000 doden per jaar (voetnoot 2). Patiënten hebben dringend behoefte aan behandelingen, maar vanwege de zeldzaamheid blijft dit moeilijk zonder samenwerking binnen het veld. De toegang tot weesgeneesmiddelen stagneert. Kosten van nieuwe middelen zijn vaak hoog en door de kleine patiëntgroepen zijn onderzoekgegevens niet altijd zo robuust als bij middelen voor grote groepen patiënten. Hierdoor duurt het vergoedingsproces lang en steeds vaker worden nieuwe middelen niet vergoed. Slechts drie van de tien nieuwe weesgeneesmiddelen zijn beschikbaar in Nederland, en de wachttijd stijgt (voetnoot 3).

### Wat houdt de menukaart met vergoedingsmodellen in?

Het A-Team introduceert een optie om het huidige vergoedingsproces in Nederland iets minder zwart-wit te benaderen: een menukaart met alternatieve vergoedings- en financieringsmogelijkheden voor weesgeneesmiddelen waarbij een duidelijk 'ja' nog niet mogelijk is, maar waarbij 'nee' ook geen wenselijke uitkomst is. Zo kunnen nieuwe weesgeneesmiddelen beschikbaar komen op een manier die voor alle betrokken partijen aanvaardbaar is.

De menukaart biedt vijf alternatieve vergoedingsmodellen, elk ontworpen om verschillende vormen van onzekerheid aan te pakken, met als doel een realistisch evenwicht te vinden tussen toegankelijkheid en aanvaardbaarheid voor alle betrokken partijen, inclusief patiënten, verzekeraars, fabrikanten en de maatschappij. De keuze van een vergoedingsmodel per behandeling of geneesmiddel hangt af van de vorm van onzekerheid. Per weesgeneesmiddel kan worden gekeken waar de grootste onzekerheid ligt en hoe dit het best kan worden ondervangen.



## Vijf alternatieve vergoedingsmodellen die het bestaande Nederlandse vergoedingssysteem aanvullen



### Het Lerend Systeem

Bij het Lerend Systeem wordt een weesgeneesmiddel direct na EMA-goedkeuring vergoed, ondanks dat er nog onzekerheden zijn over de effectiviteit. Deze onzekerheden worden gecompenseerd door een initiële hoge korting, die afneemt naarmate meer bewijs wordt verzameld. Op deze manier wordt de nettoprijs van het geneesmiddel stapsgewijs verhoogd, op basis van het bewijs over de therapeutische waarde dat geleidelijk wordt verzameld.

### Het Omgekeerd Lerend Systeem

Dit model is vergelijkbaar met het lerend systeem, maar met een omgekeerde aanpak: het Omgekeerd Lerend Systeem start juist met de maximale nettoprijs van een geneesmiddel. De aanvankelijke prijs correspondeert met een hoge verwachte effectiviteit, met de mogelijkheid om deze prijs stapsgewijs en met terugwerkende kracht te verlagen als de effectiviteit tegenvalt. Dit model heeft vooral potentieel voor weesgeneesmiddelen waar relatief weinig onzekerheid bestaat. De hoge nettoprijs komt dan overeen met de verwachte waarde van het product, met een soort 'vangnet' voor betalende partijen als de waarde tegenvalt.

### Pay-for-Performance

In het Pay for Performance model is de behandeling eerst gratis en wordt alleen vergoed bij duidelijke verbetering. Dit 'alles of niets'-systeem verschilt van het lerend systeem, omdat de vergoeding direct volledig is bij succes. Het model is vooral geschikt voor weesgeneesmiddelen bij ziekten met een snel verloop, waar de effectiviteit snel meetbaar is. Bij ziektes met een langzamer of variabel verloop, of bij eenmalige behandelingen zoals genterapie, is een lerend systeem beter.

### Het Netflix model

Het 'Netflix' model biedt tegen een vaste prijs onbeperkte toegang tot een geneesmiddel voor een afgesproken periode, ongeacht het aantal behandelende patiënten. Dit geeft vooraf zekerheid over de totale kosten. Het verschilt van 'kosten per patiënt' modellen, zoals een budget cap, dat Spanje en Italië vaak toepassen. Dit model kan efficiënter zijn, omdat het kosten loskoppelt van patiëntentoeegang, waardoor zorgverleners zich kunnen richten op de beste zorg zonder kostenoverwegingen.

### Prijzdaling na exclusiviteitsverlies

Met dit model wordt gekeken naar de lange-termijn betaalbaarheid van weesgeneesmiddelen. Een optie voor weesgeneesmiddelen is om de prijsdruk aan de voorkant te 'verlichten', maar tegelijkertijd afspraken te maken over prijsdalingen na afloop van de exclusiviteitsperiode. Partijen kunnen bij de initiële prijsonderhandeling al overeenkomen dat na het verlies van exclusiviteit een aanzienlijke korting wordt toegepast, waardoor de prijs dichterbij de kostprijs komt te liggen. Door dit mee te nemen in kosteneffectiviteitsberekeningen, zal bovendien een gunstigere kosteneffectiviteit ontstaan.

<sup>1</sup> Zeldzame aandoeningen | Volksgezondheid en Zorg (vzinfo.nl)

<sup>2</sup> Ranglijsten | Wat zijn de belangrijkste doodsoorzaken? | Volksgezondheid en Zorg (vzinfo.nl)

<sup>3</sup> EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2023 Survey, Published June 2024

**Deze factsheet geeft een verkorte weergave van de menukaart**

Wilt u meer lezen? Bekijk dan het complete document op [weesgeneesmiddelen.nl](https://weesgeneesmiddelen.nl)