

Hoeveel mag een leven kosten?



Kunstwerk van de Brit Damien Hirst, vorig jaar in Museum Brandhorst in München, over de mens als slachtoffer van zijn omgeving.

Foto AFP

Patiënten met een zeldzame stofwisselingsziekte kunnen worden behandeld met extreem dure medicijnen. Zet het zoden aan de dijk? Eerste deel van een tweeluik over 'weesgeneesmiddelen'. Door **Maarten Evenblij**

Er zijn medische behandelingen die jaarlijks per patiënt vele honderdduizenden euro's aan geneesmiddelen kosten. Daarbij gaat het om medicijnen voor ernstige ziekten die zeer weinig voorkomen, en waarvan geen enkele patiënt de kosten kan opbrengen. Voor de vergoeding ervan door de overheid zijn er speciale regelingen, zoals de Beleidsregel Dure Geneesmiddelen. Voor enkele duizenden patiënten in Nederland is 135 miljoen euro beschikbaar. Gelukkig voor de, vaak jonge, patiënten, die zonder die medicijnen snel zouden overlijden.

Maar welke middelen voor vergoeding in aanmerking komen, wanneer een duur middel weer van de lijst wordt gehaald en vooral hoe de prijs van een medicijn tot stand komt, dat speelt zich af in een wat schimmig licht. De ene club adviseert de andere, belangengroepen worden geraadpleegd, er wordt gekeken naar de prijs in de ons omringende landen, maar een democratische controle via bijvoorbeeld het parlement ontbreekt. Ook het ministerie van VWS zegt zich niet te bemoeien met de prijs van de desbetreffende middelen. En dat terwijl het niet om kleine bedragen gaat.

Neem de ziekte van Pompe. Gemiddeld kost de behandeling van een patiënt met deze dodelijke spieraandoening 300 duizend euro per jaar. Levenslang. Een hoop geld, maar er is voor deze patiënten geen alternatief. Pompe is een zeer zeldzame ziekte die wordt veroorzaakt door een genetisch defect, waardoor een specifiek eiwit in de cellen ontbreekt of niet goed werkt. Dat leidt tot een schadelijke ophoping van stofwisselingsproducten. Vooral spiercellen worden door deze zogenoemde stapelingsziekte getroffen.

Baby's die met deze aandoening worden geboren, sterven, zonder behandeling, meestal binnen het eerste jaar doordat hun ademhalingspijpen het laten afweten of hun hartspier het opgeeft. De aandoening kent ook een mildere vorm, die zich pas op latere leeftijd, in de tienerjaren of als men volwassen is, openbaart. Dan neemt de spierkracht van de patiënt steeds verder af, tot het ademen onmogelijk wordt.

Er is een medicijn dat uit in het laboratorium gekweekte zoogdiercellen wordt gehaald. Het biotechnologisch bedrijf Genzyme brengt dat eiwit als een zogeheten 'weesgeneesmiddel' op de markt onder de naam Myozyme. Weesgeneesmiddelen zijn medicijnen tegen ziekten die zich bij minder dan 5 op de 10 duizend patiënten voordoen (maximaal 8 duizend in Nederland). Voor het op de markt brengen en vergoeden ervan zijn er speciale, relatief soepele regels. De medicijnen zijn razend duur, want de ontwikkelingskosten moeten worden terugverdiend op een klein aantal patiënten. Met Myozyme worden nu wereldwijd zo'n duizend patiënten behandeld, over tien jaar zullen dat er 4.500 zijn, verwacht Genzyme.

Behalve Myozyme staan er in Neder-

land nog zeven medicijnen op de lijst die behoort bij de zogeheten Beleidsregel Weesgeneesmiddelen. Het zijn bijna allemaal eiwitten voor patiënten met zeldzame stapelingsziekten, genoemd naar hun ontdekkers, zoals Pompe, Fabry, Hurler-Scheie en Hunter. Een behandeling wordt binnen het ziekenhuis gegeven en kost jaarlijks tussen de 40 duizend euro voor een baby tot 600 duizend euro voor een volwassene. De prijs betreft louter het medicijn, en is exclusief de behandeling en eventuele aanvullende therapie.

Financiering

Er komen meer van zulke geneesmiddelen aan. De Europese Unie heeft inmiddels 58 weesgeneesmiddelen geregistreerd, die dus ook in Nederland zijn toegelaten. Naast middelen tegen aangeboren stofwisselingsziekten gaat het dikwijls om geavanceerde middelen tegen specifieke en vaak zeldzame vormen van kanker of aandoeningen aan het zenuwstelsel. Ze worden hier echter (nog) niet allemaal vergoed.

De financiering van geneesmiddelen in Nederland is ingewikkeld. Er is een onderscheid tussen gebruik binnen en buiten het ziekenhuis, en tussen verschillende beleidsregels. Behalve de acht middelen van de Beleidsregel Weesgeneesmiddelen zijn er ook weesgeneesmiddelen die niet via het ziekenhuis worden verstrekt of onder een andere regeling vallen - zoals de Beleidsregel Dure Geneesmiddelen.

Hoeveel patiënten er in Nederland met zulke geneesmiddelen worden behandeld, is onduidelijk. In gespecialiseerde universitaire centra krijgen naar schatting 175 patiënten de middelen die vallen onder de Beleidsregel Weesgeneesmiddelen. In totaal worden er, aldus de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen, in Nederland 300 tot 500 patiënten met weesgeneesmiddelen behandeld in ziekenhuizen, en nog een paar duizend buiten ziekenhuizen. Daarmee was in 2008 een bedrag geroemd van 135 miljoen euro, waarvan 35 miljoen binnen ziekenhuizen werd uitgegeven. Op een totaalbedrag van 5 miljard euro voor farmaceutische hulp is dat nog geen 3 procent.

Medicijnen van de Beleidsregel Wees-

geneesmiddelen worden binnen aangegeven expertisecentra voor zeldzame aandoeningen voorgeschreven en betaald. Het betrokken universitair medisch centrum krijgt de medicijnkosten uiteindelijk volledig vergoed door de overheid. Dat geschiedt voor vier jaar.

Binnen die tijd moet het kenniscentrum een doelmatigheidsonderzoek doen. Dat wordt beoordeeld door het College voor Zorgverzekeringen (CVZ), dat de Nederlandse Zorgautoriteit (NZa) adviseert over een eventuele verlenging van de vergoeding en de bijbehorende voorwaarden. Begin 2011 moeten de eerste weesgeneesmiddelen van de lijst Weesgeneesmiddelen worden beoordeeld, en eind 2010 twee middelen van de lijst Dure Geneesmiddelen.

Maar hoe kan een medicijn dat elk jaar 300 duizend euro of meer kost, ooit doelmatig worden genoemd? Wat mag een leven kosten? De Raad voor de Volksgezondheid & Zorg (RVZ) heeft in zijn rapport *Zinnige en Duurzame Zorg* (2006) voorgesteld een grens te hanteren van 80 duizend euro per gewonnen gezond levensjaar. Daarmee zou Nederland al aan de hoge kant zitten, vergeleken met andere industriële landen, die (expliciet, maar meestal impliciet) bedragen van 12 duizend tot 70 duizend euro hanteren.

In de discussies die op het RVZ-rapport volgden, hebben de politici hun vingers niet willen branden aan een concreet bedrag. Het zou betekenen dat er bij het inzetten van overheidsgeld keuzen moeten worden gemaakt.

Baby's

In het Rotterdamse expertisecentrum voor lysosomale ziekten worstelt kindergeneeskundige prof. Ans van der Ploeg met de vraag hoe de doelmatigheid van een duur geneesmiddel kan worden aangevoerd. Zij heeft ongeveer 125 patiënten, vooral met de ziekte van Pompe, onder behandeling met weesgeneesmiddelen, van wie elf baby's. Begin volgend jaar moet zij een doelmatigheidsonderzoek over Myozyme inleveren.

Van der Ploeg: 'Behandeling van baby's met Myozyme is spectaculair. Stierven baby's vroeger binnen acht maanden doordat ze langzaam maar zeker al hun spierfuncties verloren, nu zie je dat ze

kunnen leren lopen. Omdat wij pas tien jaar geleden als eerste deze therapie toepasten, weet ik nog niet hoe oud deze kinderen kunnen worden en wat hun te wachten staat. Het is de eerste spierziekte waarvoor een behandeling bestaat.'

Kinderen die de ziekte hebben, kunnen nu misschien wel 60 worden, maar niet zonder voortdurende behandeling en waarschijnlijk niet zonder problemen. Problemen bijvoorbeeld met de spraak, die sterk samenhangt met de fijne motoriek. Ondanks de therapie kunnen kinderen toch afhankelijk worden van beademing of van een rolstoel. Bij volwassenen wordt de therapie nog niet zo lang toegepast en is er dus minder ervaring mee.

Van der Ploeg: 'Vorige maand hebben we bij de eerste omvangrijke studie met negentig patiënten aangetoond dat volwassenen die Myozyme krijgen, het beter doen dan patiënten die een nepmiddel, een placebo, krijgen. Na 78 weken Myozyme liepen patiënten bij een looptest van zes minuten gemiddeld 28 meter meer en was hun longfunctie 3 procent beter.'

Dat klinkt niet als een wondermiddel. 'Je moet realistisch zijn', zegt Van der Ploeg. 'Als je de achteruitgang in spierfunctie weet stil te zetten of te vertragen, en kunt voorkomen dat patiënten aan de beademing of in een rolstoel terechtkomen, is dat een wezenlijke verbetering van de kwaliteit van leven.'

Maar voor een half miljoen euro per jaar? Van der Ploeg: 'Als behandelaar sta ik voor mijn patiënt. Ik wil mij dan niet met de kosten hoeven bezig te houden. Ik voel mij wel maatschappelijk verantwoordelijk en zoek dan ook naar optimale vormen van behandeling. Maar het is ethisch onmogelijk om straks tegen deze patiënten te zeggen: je moet ermee stoppen!'

Dat gaat ook niet zomaar gebeuren, verzekert het College voor Zorgverzekeringen (CVZ). Een eventueel besluit om de vergoeding van een middel te beëindigen of te beperken tot geselecteerde patiëntengroepen zal alleen gelden voor nieuwe patiënten. Voor anderen komt er waarschijnlijk een overgangperiode. De definitieve beslissing neemt de NZa na een advies van het CVZ. Die consulteert daarbij alle belanghebbende partijen.