

Als een dure pil je enige redding is: wie geld heeft, kan sneller genezen



[Dirk Draulans](#) Redacteur bij Knack

11/10/16 om 13:15 - Bijgewerkt om 13:48

Bron: Knack

Patiënten met zeldzame of niet-behandelbare ziekten stellen soms al hun hoop in nieuwe geneesmiddelen die nog niet officieel zijn goedgekeurd. Zulke testmedicijnen zijn vaak peperduur en worden niet terugbetaald. Experts pleiten ervoor om de toegang tot nieuwe geneesmiddelen te versnellen én de gezondheidszorg betaalbaar te houden.



Kinderkankerexpert **Marleen Renard** van het UZ Leuven vertelt over een jongetje met een neuroblastoom dat ze niet kon redden. Een neuroblastoom is de meest voorkomende tumor buiten de schedel bij kinderen - een zeldzame aandoening. 'De behandeling van kanker bij kinderen is een succesverhaal', zegt Renard. 'We genezen 70 tot 80 procent van onze patiëntjes. Een diagnose van leukemie bij kinderen was in de jaren vijftig een doodvonnis, maar nu is er meer dan 90 procent kans op genezing. Helaas geldt dat nog niet voor het neuroblastoom. Dat is de moeilijkste tumor waar we mee te maken krijgen. We verliezen de helft van onze patiëntjes.'

De vader van het jongetje was via het internet voortdurend op zoek naar middelen die zijn zoon zouden kunnen helpen, want de klassieke aanpak sloeg niet aan. Hij stelde verschillende therapieën voor, waarvan sommige alleen op dieren waren getest. 'Hij was op een gegeven ogenblik erg kwaad op ons, omdat we niet wilden meewerken om een experimenteel medicijn voor zijn zoontje te pakken te krijgen', getuigt Renard. 'Wij waren niet overtuigd van het nut daarvan, ook omdat het nog maar op één patiënt was getest. Je kunt niet gaan experimenteren met een jong kind, ondermeer omdat het per definitie wilsonbekwaam is. Het is een ander verhaal als een volwassene met volle toestemming in een experiment stapt. Maar per se willen geloven in een experimentele behandeling kan ook in de buurt komen van wat wij therapeutische hardnekkigheid noemen.'

Case 1

Een jongetje heeft neuroblastoom, een zeldzame tumor. De klassieke behandeling helpt niet. De vader is boos op de arts omdat die een experimenteel medicijn dat nog maar op één patiënt is getest niet wil gebruiken. Het jongetje haalt het niet.

Mensen kunnen zo wanhopig worden dat ze bereid zijn om zelfs voor charlatanerie te betalen. Deze zomer nog kwam een Duitse arts in het nieuws na de dood van drie patiënten die hij een experimentele kankerbehandeling had gegeven. Er zijn evenwel andere manieren om aan nieuwe geneesmiddelen te komen die hun degelijkheid hebben bewezen maar nog niet officieel op de markt zijn. De gemakkelijkste is deelnemen aan een klinische test van zo'n middel. Als dat niet lukt, omdat er geen plaats is of omdat een patiënt niet aan de vereisten voldoet, is er de mogelijkheid van wat in het jargon *compassionate use* ('gebruik uit medeleven') heet: een producent stelt een geneesmiddel dat nog niet voor terugbetaling is goedgekeurd gratis ter beschikking van een patiënt die geen andere opties heeft. Een arts kan ook met een producent onderhandelen over de vroege toegang (*'early access'*) tot een testmedicijn voor patiënten die anders geen uitzicht op genezing hebben. Wie dan wat zal betalen,

maakt deel uit van het onderhandelingsproces. Van zulke middelen is de doeltreffendheid soms nog niet overtuigend aangetoond.

'Farmaceutische bedrijven zijn dikwijls welwillend, maar toch irriteert het me dat ze geen energie stoppen in geneesmiddelen voor zeldzame ziekten', zegt Renard. 'Een voorbeeld is Rituximab, een middel tegen lymfeklierkankers dat ook complicaties bij weefseltransplantaties tegengaat. Het is moeilijk te verkrijgen en peperduur. Voor de terugbetaling van zulke middelen is er een Bijzonder Solidariteitsfonds dat de kosten helpt dekken. Maar het is altijd afwachten of een patiënt daarvoor in aanmerking komt. Anderzijds zijn er oudere middelen die wel terugbetaald worden, maar die bijna niet meer gemaakt worden omdat er geen winst meer uit te halen is. Zoals Actinomycin, dat goed werkt tegen bepaalde kankers. Sommige actoren in de sector dromen waarschijnlijk van de wondermiddelen die naar verluidt op komst zijn. Maar zo kunnen ze patiënten in een moeilijk parket brengen.'

Frustrerende zoektocht

De Nederlandse ondernemer **Ronald Brus** (van de biotechbedrijven Crucell en Galapagos) kreeg in 2012 te horen dat zijn vader longkanker had. Brus is arts van opleiding en maakte carrière in de medische sector. Via contacten kwam hij er snel achter dat er in de Verenigde Staten medicijnen in de maak waren die uitstekende resultaten vertoonden en zijn vader zouden kunnen helpen. Brus zette alles op alles om aan zo'n middel te komen, maar tevergeefs: zijn vader stierf voor hij alle bureaucratische hordes had genomen. Een van de geneesmiddelen waarnaar hij zocht, Keytruda, is ondertussen op de markt voor de behandeling van huid- en longkanker.

Case 2

De vader van Ronald Brus krijgt longkanker. Er zijn nieuwe testmedicijnen in de VS, maar de vader sterft nog voor de zoon alle bureaucratische hordes kan nemen.

Die ervaring maakte Brus zo boos dat hij een nieuwe onderneming startte: myTomorrows, waarmee hij niet alleen de toegang tot geneesmiddelen wil vergemakkelijken, maar ook hun ontwikkeling gestroomlijnder wil laten verlopen. (zie kader) 'MyTomorrows is een platform waarop artsen en patiënten kunnen grasduinen in meer dan 300.000 klinische tests', legt Brus uit. 'We bieden ook mogelijkheden voor *early access*: we tonen alle programma's die daarover in de wereld lopen. Daarenboven hebben we afspraken met zestien biotechbedrijven die de middelen die ze in ontwikkeling hebben via ons te koop aanbieden - we hopen dat het er tegen het einde van het jaar veertig zullen zijn. Ons platform moet zich ontwikkelen op een manier vergelijkbaar met de muziekstreamingsite Spotify: als je

begint, krijg je niet meteen grote namen als The Rolling Stones, die volgen pas als ze zien dat het werkt. We besparen artsen en patiënten in ieder geval een frustrerende zoektocht langs niet behulpzame bedrijven en ingewikkelde wettelijke regelingen, die daarenboven van land tot land kunnen verschillen. Voor bedrijven kan het nuttig zijn dat ze gegevens over de werkzaamheid van hun middelen uit de gewone dagelijkse praktijk krijgen, en niet uit gecontroleerde ziekenhuisstudies. Wij garanderen een goede follow-up van onze gebruikers.'

Brus wil *early access* en andere manieren om patiënten in nood aan geneesmiddelen te helpen, naar een hoger niveau tillen: 'Wij stellen voor dat mensen die testmedicijnen nodig hebben ze effectief kunnen gebruiken, zodat iedereen er zijn voordeel mee doet. Als we dat voor een groot aantal patiënten doen, kunnen we via aangepaste software de effecten op een sluitende manier analyseren. Een van de andere facetten waar wij sterk op focussen, is *off-label use*: de mogelijkheid om een geneesmiddel te gebruiken voor een andere aandoening dan die waarvoor het geregistreerd is. Zoals voor longkanker in plaats van huidkanker. Dat heeft al tot doorbraken geleid.'

Niet-geregistreerd gebruik

Eva Decantere heeft veel te danken aan dat niet-geregistreerde gebruik van een geneesmiddel. Toen ze elf was, werd bij haar een agressieve vorm van kinderreuma vastgesteld. Tien maanden lang had ze zware koorts, en al haar gewrichten waren ontstoken. Ze schakelde van het ene medicijn over naar het andere, zonder permanente verbetering. Toen ze achttien was, liep het helemaal mis en moest ze wachten op nieuwe medicatie. Na anderhalf jaar kon ze terecht in een studie voor het middel RoActemra. Het overleg met de producent duurde zo lang, omdat het middel was goedgekeurd voor kinderen met kinderreuma en volwassenen met volwassenreuma, maar niet voor een volwassene met kinderreuma - zo surrealistisch kan het worden. In de wachttijd moest ze haar tweede heup door een prothese laten vervangen. Als het vlotter was verlopen, had ze die misschien nog gehad. Vervolgens ging het acht jaar goed, maar in 2011 liep het weer fout en werd een aanval van haar eigen afweercellen op bloed en lever haar bijna fataal. In 2014 gebeurde hetzelfde. Toen werd beslist dat ze met de medicatie moest stoppen.

'Mijn artsen waren ondertussen het nieuwe middel Ilaris op het spoor,' vertelt ze, 'maar dat werd in België nog niet terugbetaald, hoewel het Europees al erkend was. De producent startte uiteindelijk toch een *compassionate use*-programma, waardoor ik een groot deel van de behandeling - kostprijs 20.000 euro per maand - niet zelf hoeft te betalen. Het Bijzonder Solidariteitsfonds ging ook akkoord om een deel van de

kosten voor zijn rekening te nemen, anders had ik de behandeling nooit kunnen krijgen. Nu hoef ik alleen de ziekenhuiskosten te betalen.'

Case 3

Eva Decantere heeft kinderreuma van toen ze elf was. Ze schakelt van het ene medicijn over op het andere, zonder blijvende verbetering. In 2011 wordt de ziekte haar bijna fataal. Dankzij een peperduur nieuw geneesmiddel - dat ze niet zelf hoeft te betalen - kan ze nu weer gaan werken.

Dankzij het nieuwe geneesmiddel kon Decantere zelfs opnieuw gaan werken. 'Maar ik blijf het er moeilijk mee hebben dat je als patiënt soms zelf op zoek moet naar achterpoortjes om een medicijn te pakken te krijgen', zegt ze. 'Ik stel me ook steeds meer vragen bij de transparantie van bedrijven wat de prijszetting van hun geneesmiddelen betreft. Waarom leggen bedrijven nooit uit waarom een middel precies de prijs krijgt die wij ervoor moeten betalen?'

Monopoliepositie

De prijszetting van geneesmiddelen is een van de stokpaardjes van reumatoloog **Rene Westhovens** van het UZ Leuven. 'Vroege toegang tot testmedicijnen kan belangrijk zijn voor patiënten met zeldzame aandoeningen waarover geen studies beschikbaar zijn. Zulke situaties vergen een aparte aanpak, onder meer via instanties als de Rijksdienst voor Ziekte- en Invaliditeitsverzekering (Riziv) en haar College voor weesgeneesmiddelen, waar ik voorzitter van ben. (Weesgeneesmiddelen zijn medicijnen die niet in productie worden genomen omdat ze geen winst opleveren, bijvoorbeeld omdat ze zeer zeldzame ziekten behandelen, nvdr). Ons land heeft recent ook een regeling uitgewerkt om testmedicijnen die nog niet Europees geregistreerd zijn onder bepaalde voorwaarden vervroegd beschikbaar te kunnen stellen.'

Westhovens toont wetenschappelijke publicaties, ook van zijn hand, die aantonen dat het huidige marktsysteem een eerlijke prijszetting tegenwerkt. Een striemend artikel in *The Journal of the American Medical Association* besloot dat de prijszetting van geneesmiddelen in de VS meer gebaseerd is op wat de markt kan dragen dan op de reële kosten voor de ontwikkeling. De belangrijkste prijsbepalende factor is de exclusiviteit, die mee in de hand wordt gewerkt door octrooien en overheidsregulatie. Dat kan natuurlijk niet. 'Vijftien jaar geleden kostte een innoverende behandeling voor een patiënt met reumatoïde artritis 15.000 euro per jaar,' stelt Westhovens, 'maar nu zijn er veel meer goede behandelingen en toch blijft het peperduur. Als er al negen middelen tegen een ziekte bestaan, zou je mogen verwachten dat het tiende een stuk goedkoper is. Maar dat is niet het geval.'

Nature bracht een artikel over uitdagingen voor 'Big Pharma' om de kosten voor de ontwikkeling van geneesmiddelen te drukken. Bedrijven zetten veel te lang in op geneesmiddelen die amper verschillen van wat al op de markt is, zodat ze enorm moeten investeren in promotie. De kosten van mislukkingen recupereren ze dan via de prijszetting van de (schaarse) succesnummers. Intrigerend was de suggestie om klinische tests voor op zijn minst geneesmiddelen voor zeldzame ziektes (of tropische ziektes met een laag rendement voor de industrie) in ontwikkelingslanden te doen, waar ze veel minder kosten maar naar verluidt even goede gegevens kunnen opleveren.

Klassengeneeskunde

Geneesmiddelen betaalbaar houden voor zowel de patiënten als de overheid, dat staat ook hoog op de agenda van kankerexpert **Jacques De Grève** van het UZ Brussel. Tegen 2020 zullen kankermiddelen een kwart van alle terugbetalingen uitmaken, onder meer omdat er veel nieuwe dure middelen op komst zijn. Er worden in de VS nieuwe behandelingen voorgesteld waarvan we nu al weten dat ze nooit naar Europa zullen komen, omdat ze veel te duur zijn om terug te betalen. 'Op dit ogenblik missen we in België geen enkele vitale behandeling tegen kanker om financiële redenen, maar dat dreigt in de toekomst wel te zullen gebeuren', waarschuwt De Grève. 'We zouden dan een soort klassengeneeskunde krijgen, waar elke weldenkende arts van gruwet.'

Case 4

De vrouw van Jan Vandenwyngaerden heeft vergevorderde borstkanker. Chemotherapie helpt niet meer. Ze betalen 65.000 euro per jaar voor een experimentele behandeling. Zijn vrouw overlijdt begin 2016.

Ex-bedrijfsleider **Jan Vandenwyngaerden**, ook bestuurder bij Kom Op Tegen Kanker, kan erover meespreken. Zijn vrouw vocht zeven jaar lang tegen een vergevorderde vorm van borstkanker. Hormonale behandelingen en chemotherapie werkten niet meer, en uiteindelijk bleef er als enige mogelijkheid een experimentele immuuntherapie over - het nieuwste wapen in de strijd tegen kanker. Maar het middel werd toen tegen huidkanker getest en nog niet tegen borstkanker, waardoor het koppel niet in aanmerking kwam voor een studie. 'We hadden geen tijd om op de resultaten te wachten, dus besloten we om op eigen houtje de experimentele behandeling te volgen', vertelt Vandenwyngaerden. 'Die zou ons 65.000 euro per jaar kosten, maar omdat er een kans was dat ze zou aanslaan, hebben we niet gearzeld. Het heeft helaas niet mogen baten, mijn echtgenote is begin dit jaar overleden. We leerden er de harde les uit dat experimentele geneesmiddelen voor iedereen

beschikbaar zijn als je er het geld voor hebt. Dat is niet eerlijk, maar zo werkt het in het huidige systeem.'

Jacques De Grève schreef met de Vlerick Business School een rapport waarin wordt nagegaan of de toegang tot dure geneesmiddelen in de toekomst gegarandeerd zal zijn. Hij blijft optimistisch: 'Ik ben ervan overtuigd dat het mogelijk is.

Farmaceutische bedrijven worden nu te veel beschermd tegen prijscompetitie, omdat ze voortdurend aankomen met het argument dat hun onderzoek zo duur is. Ik denk dat we baat hebben bij een andere aanpak. De samenleving moet aanvaarden dat farmabedrijven onderzoeksrisico's moeten nemen en winst willen maken. En farmabedrijven moeten begrijpen dat ze mensen een beter leven moeten geven via medicijnen die de maatschappij zich kan veroorloven. Over die voorwaarden moet de overheid steviger onderhandelen. Een echte prijscompetitie tussen bedrijven zal trouwens niet ten koste gaan van onderzoek en ontwikkeling, zoals de bedrijven steeds beweren, maar zal échte innovatie stimuleren. Daar zal op termijn iedereen voordeel bij hebben.'

'De patiënt wordt al 30 jaar niet goed bediend'

*Ronald Brus wil een nieuw model voor de ontwikkeling van geneesmiddelen.
'Farmabedrijven moeten octrooien met elkaar delen.'*



Ronald Brus © HH

Ondernemer Ronald Brus, die met zijn myTomorrows de farmaceutische industrie wil dwingen nieuwe wegen in te slaan, is niet mals voor de sector: 'In de jaren 1950 duurde het drie tot vijf jaar voor een geneesmiddel dat onder octrooi was genomen op de markt kwam. Nu duurt het dertien tot vijftien jaar! Grote bedrijven laten de ontwikkeling van nieuwe middelen steeds meer over aan kleine biotechbedrijven, die ze opkopen als blijkt dat ze iets nuttigs in de pijplijn hebben. Dat op zichzelf werkt al prijsverhogend. Je kunt je ook afvragen of wij dat als maatschappij willen. Als Apple ooit aan IBM was verkocht, hadden we misschien nooit een iPhone gehad.'

Wilt u kleine biotechbedrijven de kans geven om zelf hun middelen op de markt te brengen?

RONALD BRUS: Er is altijd de vraag in welke mate klinische tests representatief zijn voor wat er in de echte wereld gebeurt. Ik ben ervan overtuigd dat gegevens uit de dagelijkse praktijk steeds belangrijker gaan worden, waardoor de ontwikkeling en evaluatie van een geneesmiddel sneller kan. En dat kan dan weer de kostprijs drukken. De derde fase van een klinische test op een selectie van patiënten is op veel gebieden achterhaald. Het is daarenboven peperduur en tijdrovend, waardoor de ontwikkelaars van die nieuwe medicijnen - biotechbedrijven bijvoorbeeld - zich aan een grote firma moeten verkopen, want ze kunnen het zelf financieel niet aan.

Is het goed dat patiënten druk zetten op het systeem?

BRUS: Veel patiënten beginnen te begrijpen dat de term 'ontwikkeling' van een geneesmiddel niet correct is: na fase 1 van een klinische test wordt een middel niet verder ontwikkeld, het wordt alleen nog getest - de ontwikkeling is afgesloten. Dan kunnen mensen voor zichzelf een risicoanalyse doen van wat ze te winnen of te verliezen hebben. Als de achterliggende data goed zijn, waarom zou je zo'n middel dan geen vertrouwen geven? Het is uiteindelijk de patiënt die betaalt voor zijn gezondheid, maar wij zijn van mening dat hij de laatste dertig jaar niet goed bediend is, gezien de prijszetting in de sector.

Hoe dekt u zich in tegen patiënten die risico's lopen met nieuwe middelen?

BRUS: Het is belangrijk dat je eerlijk en transparant bent over wat je doet. Net als bij de derde fase van een klinische test laten wij patiënten een informed consent tekenen. Maar ik ben er niet bang voor. Ik ken geen enkel geval waarin het fout is gegaan.

Waar hoopt u binnen 25 jaar te staan?

BRUS: Wij hopen dat met ons systeem veel geneesmiddelen voor belangrijke ziektes sneller beschikbaar zullen worden. Finaal hoop ik dat er een ander soort farmaceutische industrie zal opstaan. Nu blijven bedrijven op een octrooi zitten tot een middel op de markt is. Het zou logischer zijn dat ze hetzelfde doen als wat in de elektronica-industrie de regel is: dat je octrooien met elkaar gaat delen. Wij streven op alle niveaus naar meer transparantie over de gegevens. Als er op die manier sneller inzicht komt in de commerciële waarde van een octrooi, kun je het met anderen gaan delen, zodat die er verder op kunnen bouwen. Ook dat zal een significante kostenbesparing opleveren die de patiënt en de maatschappij ten goede komt.