

Samenvatting

Deze studie richt zich op de overeenkomsten en verschillen in het registratiebeleid en het vergoedingsbeleid tussen extramurale reguliere geneesmiddelen en extramurale weesgeneesmiddelen. Er zal hierbij een antwoord gevonden worden op de volgende vraagstelling: Wat zijn de verschillen tussen het extramurale farmaceutische- en het weesgeneesmiddelenvergoeding- en registratiebeleid op het gebied van het beoordeling- en het besluitvormingsproces in Nederland en wat zijn hiervan mogelijke consequenties voor een patiënt met een zeldzame aandoening?

Of extramurale weesgeneesmiddelen en extramurale reguliere geneesmiddelen bij het vergoedingsbeleid wel of niet gelijk behandeld moeten worden is een ethisch dilemma. In Engeland is deze discussie al gevoerd. Hierbij vinden McCabe en het NICE dat de doelmatigheidseisen voor beide middelen gelijk moeten zijn en dat de dure extramurale weesgeneesmiddelen niet zomaar vergoed moeten worden (McCabe 2005). Moberly vindt echter dat er alles aan gedaan moet worden, om een patiënt met een zeldzame ziekte te behandelen. Volgens hem moet er dus voor extramurale weesgeneesmiddelen een uitzondering gemaakt worden (Moberly 2005). In Nederland is deze discussie tot nu toe niet gevoerd en is het verschil in het vergoedingsbeleid tussen extramurale weesgeneesmiddelen en extramurale reguliere geneesmiddelen niet transparant. Om erachter te komen of er in Nederland een verschil is in het vergoedingsbeleid tussen extramurale weesgeneesmiddelen en extramurale reguliere geneesmiddelen en hoe de belanghebbenden in Nederland hier tegenover staan, is er een kwalitatief onderzoek uitgevoerd. Door verschillende belanghebbenden te interviewen, is er een ruime blik verkregen op het vergoedingsbeleid.

Met behulp van het framework van Hutton zijn de beoordeling- en de besluitvormingsfase van het vergoedingsbeleid van extramurale reguliere geneesmiddelen en extramurale weesgeneesmiddelen met elkaar vergeleken (Hutton 2006). Hieruit is gebleken dat de beoordelingsfase voor de extramurale reguliere geneesmiddelen en de extramurale weesgeneesmiddelen gelijk is. Een verzoek voor opname in het Geneesmiddelen Vergoedings Systeem (GVS) wordt voor beide middelen door het Ministerie van Volksgezondheid Welzijn en Sport (VWS) doorgestuurd naar het College Voor Zorgverzekeringen (CVZ). Het CVZ heeft hiervoor een speciale commissie, de Commissie Farmaceutische Hulp (CFH). Zowel voor extramurale reguliere geneesmiddelen als voor extramurale weesgeneesmiddelen beoordeelt de CFH of het geneesmiddel al dan niet vervangbaar is. Ook worden de therapeutische meerwaarde en de doelmatigheid beoordeeld door deze commissie. Wanneer de CFH een positief advies afgeeft aan het CVZ en het CVZ

geeft een positief advies aan het Ministerie van VWS, dan bepaalt het Ministerie van VWS aan de hand van dit advies of het extramurale weesgeneesmiddel of het extramurale reguliere geneesmiddel in het GVS komt.

Pas bij de besluitvorming ontstaat er een verschil in het vergoedingsbeleid tussen extramurale weesgeneesmiddelen en extramurale reguliere geneesmiddelen. Dit blijkt uit het feit dat het CVZ wat welwillender is in hun advies aan het Ministerie van VWS bij extramurale weesgeneesmiddelen dan bij extramurale reguliere geneesmiddelen. Doordat voor weesgeneesmiddelen de therapeutische meerwaarde en de doelmatigheid vaak lastig vast te stellen zijn, is de CFH bij extramurale weesgeneesmiddelen minder streng bij het farmaco-economisch dossier. Soms wordt er zelfs vrijstelling gegeven voor het inleveren van dit dossier (van Weely 2008, persoonlijke communicatie). Om extramurale weesgeneesmiddelen waarvan de therapeutische meerwaarde en de doelmatigheid nog niet voldoende zijn aangetoond volgens de CFH toch te kunnen vergoeden, bestaat er voor extramurale weesgeneesmiddelen een specifieke subsidieregeling. Hierdoor kan het middel toch verstrekt worden en er wordt met de subsidie een verder onderzoek naar het middel gefinancierd.

Er bestaat dus een verschil in de besluitvorming van het vergoedingsbeleid tussen extramurale weesgeneesmiddelen en extramurale reguliere geneesmiddelen. Er wordt door de CFH van het CVZ welwillender gekeken bij extramurale weesgeneesmiddelen dan bij extramurale reguliere geneesmiddelen. Verder is er voor extramurale weesgeneesmiddelen een subsidieregeling die getroffen kan worden wanneer er onvoldoende gegevens bekend zijn over de therapeutische meerwaarde en de doelmatigheid van het geneesmiddel. Hierdoor wordt een weesgeneesmiddel vrijwel altijd vergoed. Er zijn dus geen negatieve consequenties van het registratie- en vergoedingsbeleid voor een patiënt met een zeldzame aandoening.