

Geachte leden van de Adviescommissie Pakket,

Ik sta hier namens de onderzoekers en behandelaars van het wereldwijd erkende Pompe Expertisecentrum van het Erasmus MC. Wij maken ons grote zorgen. Hebben we het vandaag over wat een mensenleven mag kosten? Hebben we het vandaag over beperking van onze Academische taak? Is het niet onze taak als universiteit de geneeskunst vooruit te brengen en innovatieve behandelingen voor onze patiënten te ontwikkelen. Hebben we het vandaag over waar Nederland wil staan als ambitieuze kenniseconomie?

Allereerst:

Wij kunnen ons niet vinden in het advies om alglucosidase alfa in de toekomst alleen te vergoeden voor Pompe patiënten die als baby ziekteverschijnselen krijgen; en niet voor alle andere patiënten, die als peuter, kleuter, puber of als volwassene ziek worden.

De ziekte van Pompe is een spierziekte die zich op elke willekeurige leeftijd kan presenteren. De oorzaak van de ziekte is voor iedereen gelijk. Alle patiënten hebben een erfelijk tekort van hetzelfde eiwit, dat wordt aangevuld door toediening van alglucosidase alfa, het medicijn waar het vandaag om gaat.

Het is tegen alle wetenschappelijke logica in om alleen baby's met de ziekte van Pompe te behandelen en alle andere patiënten, het merendeel van de patiënten, niet. Het advies van CVZ is ons inziens louter gebaseerd op kostenbaten analyses en gaat volledig voorbij aan alle kennis en inzicht die in een periode van 40 jaar omtrent dit ziektebeeld werd opgebouwd.

Wij zijn het op een belangrijk punt wel eens met het CVZ. Namelijk en ik citeer - dat de ziekte van Pompe een ernstige ziekte is, dat alglucosidase alfa (Myozyme®) een therapeutische meerwaarde heeft ten opzichte van de best ondersteunende zorg bij alle patiënten met de ziekte van Pompe, dat alglucosidase alfa (Myozyme®) dus bewezen effectief is bij de behandeling van patiënten met de ziekte van Pompe en dat de ziekte door zijn ernst een claim op de solidariteit rechtvaardigt.

Wij vinden het dan ook een onbegrijpelijk, prematuur en maatschappelijk onverantwoord om in de toekomst baby's nog wel, maar peuters, kleuters pubers en volwassenen niet meer te behandelen, terwijl CVZ zelf aangeeft dat er geen alternatieve behandeling, met vergelijkbaar effect, beschikbaar is. Het besluit om oude patiënten nog wel en nieuwe patiënten niet meer te behandelen, tenzij je baby bent, vinden wij onethisch en medisch onverantwoord.

CVZ vindt de effecten bij volwassenen te beperkt. Wij vinden dat er zo kort na de introductie van het medicijn al aanzienlijke resultaten zijn geboekt. De meeste analyses bij volwassenen hebben betrekking op slechts 2 jaar behandeling. Dat is heel kort voor een erfelijke voortschrijdende ziekte. Toch zien we in die korte periode bij volwassenen al significante effecten op loopafstand, longfunctie, spierkracht en zelfs overleving.

De conclusies dat de overlevingswinst van patiënten slechts zeer beperkt zou zijn, vinden wij ronduit misleidend. Wij vinden dat meer onderzoek nodig is naar de effecten op lange termijn bij zowel peuters, kleuters, pubers en volwassenen. Ook is er meer onderzoek nodig naar factoren die bepalen welke patiënten de meeste baat hebben bij de handeling. Dit kan ook helpen om in de toekomst richtlijnen voor behandeling aan te scherpen. Wij werken daaraan met onze internationale collegae.

Het advies van CVZ conflicteert met onze academische taakstelling. Het Erasmus MC ziet het als academisch ziekenhuis als één van haar belangrijkste taken om innovatieve behandelingen te ontwikkelen voor patiënten, met als doel de gezondheidssituatie en toekomst van patiënten te verbeteren.

Met de ontwikkeling van enzymtherapie voor de ziekte van Pompe is het Erasmus MC er in geslaagd om vanuit het laboratorium een daadwerkelijke therapie te ontwikkelen voor een ziekte die voorheen onbehandelbaar was. Het is het resultaat van 25 jaar onderzoek. Hiermee is de ziekte van Pompe wereldwijd de eerste behandelbare erfelijke spierziekte. Hiermee zet Nederland zich ook als

kenniseconomie internationaal op de kaart.

Het opvolgen van het advies van CVZ brengt echter een halt toe aan het vergaren van verdere wetenschappelijke kennis. Verdere behandeling van patiënten is nodig om de bestaande behandeling verder te verbeteren en nieuwe innovatieve behandelmethoden te ontwikkelen, die nog effectiever en goedkoper zijn.

Ook brengt het toekomstige initiatieven ten aanzien van de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen voor andere zeldzame ziekten in gevaar. Indien het voorlopig advies van CVZ wordt opgevolgd rijst zelfs de vraag of het nog wel zinvol is om in de toekomst innovatieve behandelingen voor andere weesziekten te ontwikkelen als uiteindelijk toch blijkt dat men deze weesgeneesmiddelen onbetaalbaar vindt. Wij zijn ons bewust van de stijgende kosten in de gezondheidszorg en dat CVZ keuzes moet maken. De Nederlandse overheid dient ons inziens daarom in de toekomst vooraf richtlijnen op te stellen ten aanzien van de bekostiging van weesgeneesmiddelen en niet achteraf zoals nu gebeurt en waar onze patiënten de dupe van worden. Wij vinden dat onethisch.

Wij voorspellen dat in de toekomst meer discussie zal ontstaan over de vergoeding van weesgeneesmiddelen. Gebruik de huidige situatie om er van te leren. Wij zijn graag bereid om onze ervaringen en expertise te delen en waar mogelijk een adviserende rol te spelen voor het CVZ en het ministerie van VWS.

Prof dr. Ans van der Ploeg, hoofd van het Centrum Lysosomale en Metabole Ziekten van het Erasmus MC en behandelaar van patiënten met de ziekte van Pompe.