

Medicijn voor de Maatschappij

Marleen Kemper





Hoe het begon: 2018 Chenodeoxycholzuur (CDCA)

- Xenbilox[®] tegen galstenen
- Sinds 1975 “off-label” bij CTX
- Zorgverzekeraars vergoeden CDCA voor CTX: coulanceregeling



Onverklaarbare prijsstijging

Fabrikant	Prijs per jaar(€)
Falk (Jaren 80/90)	300-500
Sigma-Tau (tot 2017)	30.000-40.000
Leadiant GmbH (2017)	160.000-220.000

- Per 1 april 2018 stop vergoeding zorgverzekeraars
- Patiënten zitten zonder essentieel geneesmiddel

Hoe een farmaceut de prijs van een oude pil vervijfhonderdvoudigde

Medicijnprijzen Een ziekenhuis en een farmaceut strijden over een medicijn voor een ernstige stofwisselingsziekte. De farmaceut zorgde ervoor dat het medicijn in tien jaar in prijs steeg van een paar honderd euro tot anderhalve ton.

Enzo van Steenberghe & Lucien Hordijk © 24 augustus 2018





2018 magistrale bereiding CDCA



BMJ 2018;361:k2103 doi: 10.1136/bmj.k2103 (Published 10 May 2018)

Page 1 of 1



NEWS

Dutch hospital makes own drug for rare condition after manufacturer hikes price to €170 000

Tony Sheldon

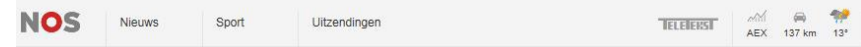
Utrecht

A hospital in Amsterdam has begun producing its own cost price version of the orphan medicine Chenodeoxycholic acid Leadiant (CDCA), a primary bile acid used in treating a rare hereditary metabolic disorder, cerebrotendinous xanthomatosis (CTX), after the manufacturer hiked up the price more than fivefold.

This price increase came after the European Medicines Agency approved the drug's market authorisation with an indication for CTX (EMA/241528/2017).

understand the justification for such a price rise in this instance, as CDCA had already been shown to be safe and effective and so the registration dossier required only a literature review and two retrospective cohort studies.

Bruno Bruins, Dutch health minister, praised the initiative in a letter to parliament. He said that no one disputed that the drug industry needed incentives because of the costs involved with research into new drugs. But he had strong objections to using orphan drug legislation to authorise an already known effective



AMC zet farmaceut buitenspel met eigen medicijn

© 05-04-2018, 12:13 AANGEPAST 05-04-2018, 09:35 BINNENLAND



Een apothekersassistente vult de capsules met het medicijn NOS

Een wereldprimeur in de strijd tegen zeer dure geneesmiddelen. De apotheek van het AMC in Amsterdam gaat een medicijn maken tegen een zeldzame ziekte en de zorgverzekeraars gaan dat vergoeden. Het bestaande, identieke middel van farmaceut Leadiant wordt niet langer vergoed na een drastische prijsverhoging. Het gaat om CDCA dat al tientallen jaren in gebruik is voor de behandeling van patiënten met de erfelijke stofwisselingsziekte CTX.

GESCHREVEN DOOR

Rinke van den Brink

Redacteur gezondheidszorg





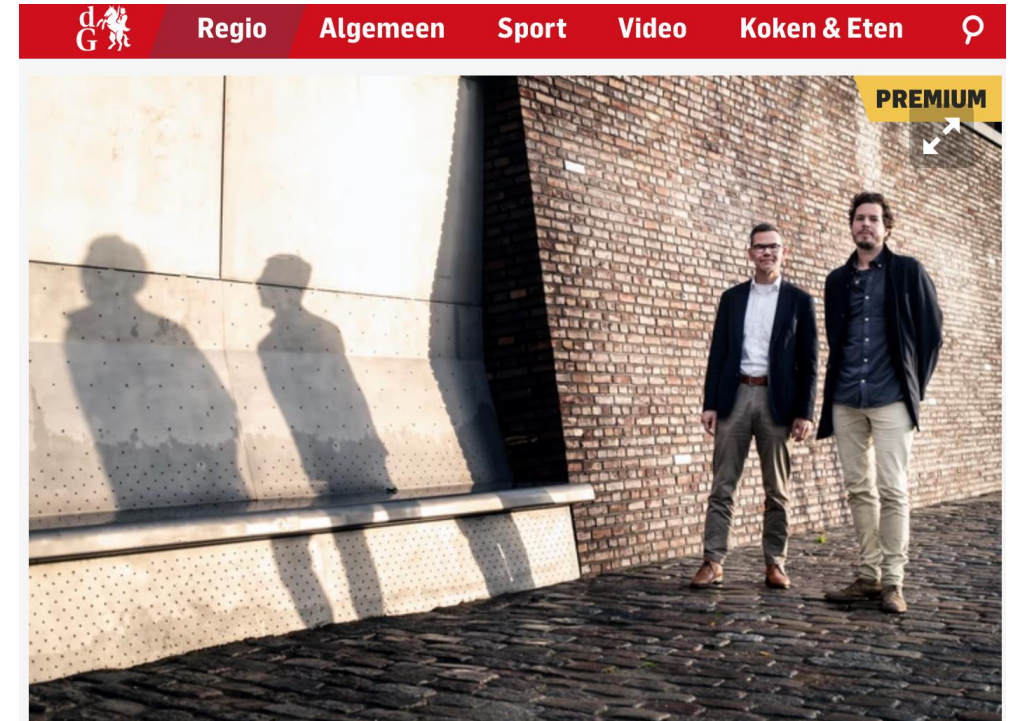
2021 Mexiletine

Farmaceut vraagt 100 keer de originele prijs voor medicijn tegen spierziekte

14 jan 2021 · leestijd 2 minuten



De farmaceut Lupin vraagt veel te veel geld voor het middel Namuscla, een medicijn voor een zeldzame spierziekte. Het bedrijf maakt misbruik van de regels, vindt het Zorginstituut Nederland, dat het basispakket samenstelt. Het instituut adviseert om Namuscla dan ook niet in het basispakket voor zorgverzekeringen op te nemen. Het is aan minister Tamara van Ark (Medische Zorg) om de knoop door te hakken.



▲ Neurologen Baziël van Engelen (links) en Bas Stunnenberg. © Paul Rapp

De medicijnprijs maal zestien: 'Wat geeft de fabrikant het recht?'

NIJMEGEN - Een medicijn, ontwikkeld voor een andere ziekte, blijkt óók te helpen tegen erfelijke spierstijfheid. Maar een fabrikant koopt de rechten en verhoogt de prijs met tienduizenden euro's.



Mexiletine

1975

Registratie van mexiletine door Boehringer Ingelheim voor de behandeling van ventriculaire arritmieën onder de naam Mexitil

1983

Eerste publicatie over het gebruik van mexiletine bij myotonische dystrofie (zeldzame spierziekte)

2004

Registratie van Mexitil doorgehaald

2014

Orphan drug designation voor myotonische aandoeningen toegekend

2018

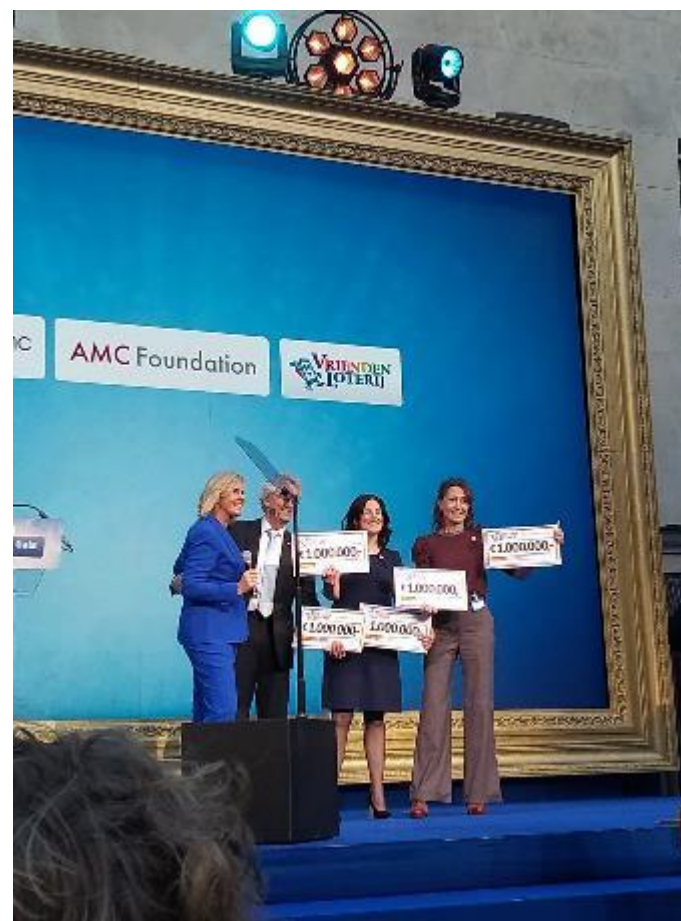
Namuscla goedgekeurd door de EMA

2021

Negatief advies over de opname van Namuscla in het basispakket door het Zorginstituut Nederland (+- € 24.000 p.p.p.j.)



2019 Medicijn voor de Maatschappij



www.medicijnvoordemaatschappij.nl



[Medicijn voor de Maatschappij](https://www.linkedin.com/company/medicijn-voor-de-maatschappij)



info@medicijnvoordemaatschappij.nl



[@MedicijnvdMaats](https://twitter.com/MedicijnvdMaats)





Doel: Langdurige en betaalbare beschikbaarheid van medicijnen voor patiënten met een zeldzame ziekte

Academia-driven pharma

1. Beschikbaarheid verbeteren
2. Regulatory science
3. Kennisplatform

Visie:

- Academie kan meer, maar niet alleen
- Goede aansluiting bij veldpartijen (UMC's, apothekers, overheid, verzekeraars, farma)
- Er is niet één route: bestuderen en proberen
- Gewoon doen



1. Beschikbaarheid verbeteren

Ondersteuning

Bereiden

Met partners naar de markt brengen

1. Middel of optimale behandeling nu of in de toekomst niet toegankelijk
2. Unmet medical need
3. Geen andere partij werkt aan duurzame beschikbaarheid
4. Probleemeigenaar bereid om mee te werken



Beschikbaarheid mexiletine

Geen geregistreerd handelsproduct

Import als niet-geregistreerd geneesmiddel

Capsules zijn wel elders op de markt
(bijv. in Japan)

Goedkeuring voor import door IGJ beoordeeld

Apotheekbereiding





Mexiletine

- Bereiding door verschillende apotheken
- Verschillende sterktes (met name voor cardiologie)

search/results

Zoekresultaten

- Informatorium Medicamentorum (5)
 - Categorie
 - Uitgebreid zoeken
- Medicatiebewaking (59)
- Prijs en logistiek (21)
 - 30-dagen-lijst (0)
 - G-Standaard Bedrijven (8)
 - G-Standaard Handelsproducten (13)
- Productzorg (1)
- Bereiding (0)
- Zelfzorg (0)
- Patiëntenvoorlichting (0)
- Dossiers Farmacotherapie (0)

Filterkeuze onthouden

Verwijder alle filters

Mexiletine
Informatorium Medicamentorum > NIET-GECLASSIFICEERDE STOFFEN

MEXILETINE CAPSULE 167MG TA
Prijs en logistiek > G-Standaard Handelsproducten > M > METRO-MIANS

MEXILETINE HCL CAPSULE 50MG SVM
Prijs en logistiek > G-Standaard Handelsproducten > M > METRO-MIANS

MEXILETINE CAPSULE 167MG AMC
Prijs en logistiek > G-Standaard Handelsproducten > M > METRO-MIANS

MEXILETINE CAPSULE 83,5MG TA
Prijs en logistiek > G-Standaard Handelsproducten > M > METRO-MIANS

MEXILETINE-TEVA HYDROCHLORIDE CAPSULE 200MG
Prijs en logistiek > G-Standaard Handelsproducten > M > METRO-MIANS

MEXILETINE HCL CAPSULE 100MG A15
Prijs en logistiek > G-Standaard Handelsproducten > M > METRO-MIANS

MEXILETINE CAPSULE 125MG AMC
Prijs en logistiek > G-Standaard Handelsproducten > M > METRO-MIANS

MEXILETINE CAPSULE 83MG AMC
Prijs en logistiek > G-Standaard Handelsproducten > M > METRO-MIANS

MEXILETINE CAPSULE 42MG AMC
Prijs en logistiek > G-Standaard Handelsproducten > M > METRO-MIANS

MEXILETINE CAPSULE 167MG CZE
Prijs en logistiek > G-Standaard Handelsproducten > M > METRO-MIANS

MEXILETINE HYDROCHLORIDE





Apotheekbereiding

Drie situaties waarin apothekers kiezen voor een apotheekbereiding:

- 1 medicijn geschikt maken voor een specifieke patiënt: “op maat”
- 2 het medicijn is niet verkrijgbaar
- 3 voor wetenschappelijk onderzoek





Zorginstituut Nederland > Publicaties >

GVS-advies chenodeoxycholzuur (Chenodeoxycholic acid Leadiant®) bij de behandeling van cerebrotendineuze xanthomatose (CTX)

Het Zorginstituut heeft getoetst of chenodeoxycholzuur (Chenodeoxycholic acid Leadiant®) opgenomen kan worden in het Geneesmiddelenvergoedingssysteem (GVS). Er is daarbij eerst gekeken of het middel onderling vervangbaar is met een geneesmiddel wat al opgenomen is in het GVS. Dat is niet het geval. Er is wel een zogenaamde apotheekbereiding beschikbaar. Echter het beleid van VWS is om geregistreerde geneesmiddelen te prefereren boven niet-geregistreerde middelen. Op basis van de criteria voor GVS-beoordelingen komt chenodeoxycholzuur (Chenodeoxycholic acid Leadiant®) in aanmerking voor opname op bijlage 1B. Het Zorginstituut geeft de minister in overweging om te onderhandelen over de prijs. Het geregistreerde middel is namelijk vele malen duurder dan de apotheekbereiding.

Zorginstituut Nederland > Publicaties >

GVS-advies mexiletine (Namuscla®) bij de behandeling van non-dystrofische myotonie

Het Zorginstituut heeft beoordeeld of het medicijn mexiletine (Namuscla®) kan worden opgenomen in het geneesmiddelenvergoedingssysteem (GVS). Als een geneesmiddel in het GVS is opgenomen, komt het voor vergoeding uit de basisverzekering in aanmerking. Bij de beoordeling heeft het Zorginstituut Namuscla® vergeleken met andere medicijnen met mexiletine. Op basis hiervan zijn wij tot de conclusie gekomen dat het medicijn net zo goed werkt als die andere middelen.

De prijs van Namuscla® is wel veel hoger dan van de andere medicijnen. Deze hogere prijs ondermijnt de solidariteit van ons zorgstelsel. Daarom adviseert het Zorginstituut de minister voor Medische Zorg en Sport om Namuscla® niet te vergoeden. Om ervoor te zorgen dat mexiletine voor patiënten toch beschikbaar blijft, adviseert het Zorginstituut ook om de (veel goedkopere) apotheekbereidingen wel in de basisverzekering op te nemen.



De uitdagingen

- Goede grondstoffen zijn/worden schaars
- Kwaliteitseisen aan bereiding nemen toe
- Magistrale bereiding is zeer arbeidsintensief
- De kosten wegen vaak niet op tegen de opbrengsten

Gevolg: Steeds minder apotheken zullen bereiden

Apotheekbereiding is niet altijd de oplossing



Financieel Dagblad 2019



Onderzoek

- toepasbaarheid apotheekbereidingen
- kwaliteit (magistrale) bereidingen
- magistrale bereidingen in studieverband

27.5.2014

NL

Publicatieblad van de Europese Unie

L 158/1

I

(Wetgevingshandelingen)

VERORDENINGEN

VERORDENING (EU) Nr. 536/2014 VAN HET EUROPEES PARLEMENT EN DE RAAD

van 16 april 2014

betreffende klinische proeven met geneesmiddelen voor menselijk gebruik en tot intrekking van Richtlijn 2001/20/EG

(Voor de EER relevante tekst)

HET EUROPEES PARLEMENT EN DE RAAD VAN DE EUROPESE UNIE,

Gezien het Verdrag betreffende de werking van de Europese Unie, en met name artikel 114 en artikel 168, lid 4, onder c),

Gezien het voorstel van de Europese Commissie,



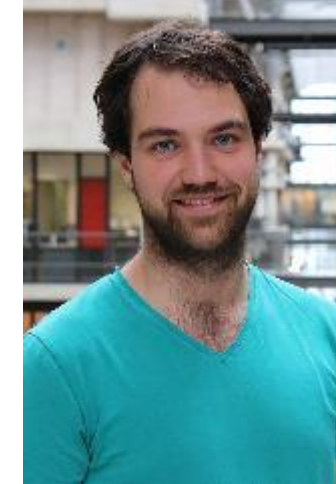
2. Regulatory Science

- Toegankelijkheid ultra-weesgeneesmiddelen
- “Fair pricing” model
- Adaptive pathways
- Onafhankelijke registers
- Regulatorische aspecten van projecten onderzoeken





Mexiletine “fair pricing” model



ScienceDirect

Contents lists available at [sciencedirect.com](https://www.sciencedirect.com)
Journal homepage: www.elsevier.com/locate/jval

Cost-Based Price Calculation of Mexiletine for Nondystrophic Myotonia

Sibren van den Berg, MSc, Vincent van der Wel, MSc, Saco J. de Visser, PhD, Bas C. Stunnenberg, MD, MSc, Lonke Timmers, PharmD, PhD, Martijn H. van der Ree, MD, Pieter G. Postema, MD, PhD, Carla E.M. Hollak, MD, PhD

NOS Oud medicijn soms voor hogere prijs weer op de markt, tool brengt reële prijs in beeld

Van Ark keurt misbruik wetgeving weesgeneesmiddelen af

09-06-2021

Het is onwenselijk dat farmaceuten bestaande behandelingen tegen veel hogere prijzen zonder onderbouwing opnieuw op de markt introduceren als weesgeneesmiddel, vindt minister van Medische Zorg Tamara van Ark. “Ik keur dit af”, schrijft de minister in antwoord op Kamervragen.

De minister wil dat de Europese weesgeneesmiddelenwetgeving wordt aangescherpt om dergelijke situaties in de toekomst te voorkomen. Op dit moment wordt deze wetgeving herzien. Van Ark heeft er begrip voor dat fabrikanten bij de status van weesgeneesmiddel gedurende een bepaalde periode marktexclusiviteit krijgen, omdat de kosten voor een medicijn voor een kleine groep patiënten terugverdiend moeten worden. “Maar deze regels zijn niet bedoeld om lange tijd excessief hoge prijzen in rekening te kunnen brengen voor geneesmiddelen die al jaren bekend zijn.” Zorginstituut Nederland (ZIN) verkent op dit moment of het haalbaar is om in een vroeg stadium dit soort ontwikkelingen te signaleren. Samen met onderzoekers van het Amsterdam UMC ontwikkelde het ZIN een rekenmodel om reële prijzen te kunnen berekenen voor oude medicijnen die opnieuw





3. Kennisplatform

*Voor patiënten, apothekers, artsen,
industrie, verzekeraars, overheden etc*

Informatie delen

Kennis vergaren

Projecten ondersteunen

Publiceren





Apotheker of arts
ervaart een
probleem in het
verstrekken van een
geneesmiddel

Apotheker of arts
zoekt hulp bij het
platform Medicijn
voor de Maatschappij

Medicijn voor de Maatschappij
geeft advies,
ondersteunt en
onderneemt actie

Medicijn voor de Maatschappij
onderzoekt en
verbetert
achterliggende
problemen

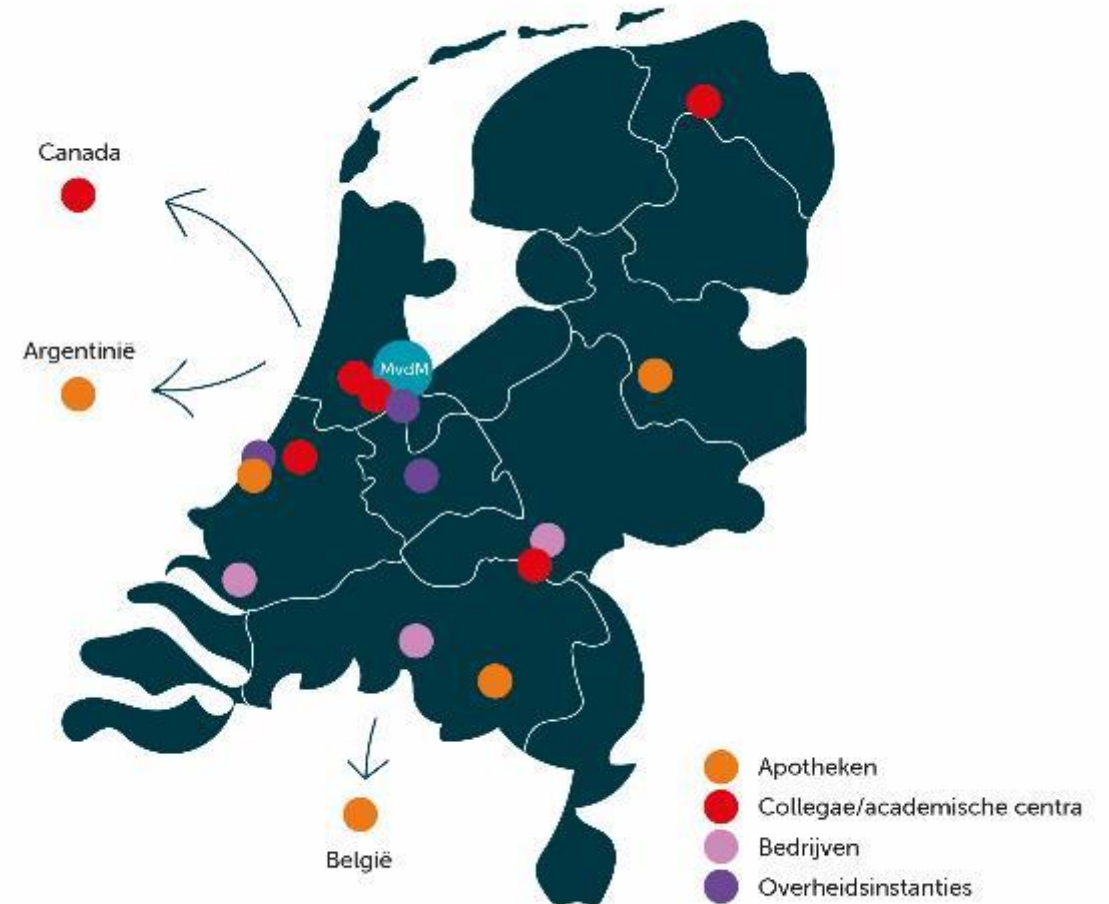




Samenwerkingen

- Beroepsgroep+PO
 - artsen, UMC's, United for Metabolic Diseases
- Apothekers
 - KNMP, NVZA, collega apothekers
- Overheid
 - VWS, Zorginstituut, ZN, verzekeraars, CBG

juristen, KNAW, farmaceutische bedrijven, grootbereiders etc



Teamwork



VRIENDENLOTERIJ

Prof. dr. Carla Hollak

Dr. Marleen Kemper

Sibren van den Berg, promovendus

Dr. Bart Jacobs

Vincent van der Wel, MSc

Yasmin Polak, promovenda

Mary Duijnker

Daphne Schoenmakers, promovenda

Dr. Saco de Visser

Natalja Bouwhuis, promovenda

Colinda Post, promovenda

Noa Rosenberg, promovenda

Nina Stolwijk, promovenda

Jochem Wolfert, student

Martijn Braakhuis, promovendus

Hoang Lan Le



Kennis-
platform

Projecten

Onderzoek

Langdurige en
betaalbare
beschikbaarheid
van medicijnen



voor patiënten
met zeldzame
ziekten

www.medicijnvoordemaatschappij.nl



[Medicijn voor de Maatschappij](https://www.linkedin.com/company/medicijnvoordevdm)



info@medicijnvoordemaatschappij.nl



[@MedicijnvdMaats](https://twitter.com/MedicijnvdMaats)



www.MedicijnvoordeMaatschappij.nl



[Medicijn voor de Maatschappij](#)



info@medicijnvoordemaatschappij.nl



[@MedicijnvdMaats](#)