Ik heb de vragenlijst die mij is toegezonden niet ingevuld, omdat de sommige vragen getuigen van een gebrek aan kennis van geneesmiddelenontwikkeling en vergoeding, terwijl een aantal belangrijke vragen niet wordt gesteld. Een discussie over “dure” geneesmiddelen is betrekkelijk zinloos indien deze buiten de context van de besteding van het zorgbudget wordt geplaatst. De volgende gegevens zijn hierom van belang (afkomstig van het CBS):

* Nederland besteedt ongeveer 7% van het zorgbudget aan geneesmiddelen. Dit is ruim onder het Europees gemiddelde.
* De totale uitgaven aan geneesmiddelen zijn in de laatste 10 jaar min of meer stabiel. Dit in tegenstelling tot de uitgaven aan specialisten en zorginstellingen, die wel significant toenemen. De kosten van dure (innovatieve) geneesmiddelen worden gecompenseerd door steeds goedkopere geneesmiddelen.
* De verdeling van de kosten van geneesmiddelen over de leeftijd categorieën (CBS, peiljaar 2014) is opmerkelijk: Van de €2,294m die 2014 aan geneesmiddelen werd uitgegeven, ging meer dan 60% naar geneesmiddelen voor patiënten boven de 70 jaar, en meer dan 35% naar patiënten boven de 75 jaar. Het is zeer onwaarschijnlijk dat deze kosten worden veroorzaakt door de dure geneesmiddelen voor kanker, de ziekte van Pompe, Gaucher, Fabry, etc. waar de discussie zich nu op concentreert.

Een aantal constateringen die naar mijn mening de discussie zouden moeten leiden:

* Nieuwe innovatieve geneesmiddelen zijn altijd duur: In de afgelopen 20 jaar zijn er discussies geweest over de prijs van cholesterolverlagers, maagzuurremmers en HIV geneesmiddelen. De prijs van deze geneesmiddelen, die 20 jaar geleden voorpaginanieuws was, is in de loop der jaren aanzienlijk gedaald. Zodra de innovatiekosten zijn terugverdient worden de meeste geneesmiddelen (spot)goedkoop. Dit model heeft er in de afgelopen jaren voor gezorgd dat patiënten met voorheen onbehandelbare ziekten nu in goede gezondheid kunnen leven. Er zijn mij geen andere modellen bekend die de ontwikkelingen van nieuwe geneesmiddelen waarborgen. In landen waar de overheid hiervoor verantwoordelijk was (Rusland, China) zijn nooit innovatieve geneesmiddelen ontwikkeld en deze landen zijn door een grote kennisachterstand nog steeds afhankelijk van westerse farmaceutische ontwikkelingen.
* Van een aantal geneesmiddelen is bekend dat lang na de terugverdientijd de kosten om onduidelijke redenen sterk zijn gestegen (bijvoorbeeld de adrenaline “pen”) en een aantal bedrijven heeft hiervan -onder andere door een monopoliepositie- bovenmatig geprofiteerd (Mylan, Valeant). Dit zijn uitzonderingen en de genoemde bedrijven zijn inmiddels (terecht) in zwaar weer terechtgekomen. Het is de taak van de overheid om erop toe te zien dat niet-innovatieve geneesmiddelen niet bovenmatig worden vergoed. Het heeft echter geen zin om de discussie over dure geneesmiddelen te laten leiden door uitzonderingen of excessen die binnen het huidige systeem kunnen worden gecorrigeerd.
* Er bestaat wereldwijd consensus dat een discussie over de prijs van geneesmiddelen alleen zinvol is als deze wordt bezien in de context van de *kosten-effectiviteit*. Er zijn tal van voorbeelden van goedkope geneesmiddelen met een lage kosteneffectiviteit en dure geneesmiddelen die zeer kosteneffectief zijn. Het huidige vergoedingssysteem voor nieuwe geneesmiddelen in Nederland vereist een kosten-effectiviteit analyse. Met andere woorden, geneesmiddelen die niet kosten-effectief zijn, worden niet vergoed (enkele uitzonderingen, bijvoorbeeld hemofilie, daargelaten). Het is onduidelijk waarom deze systematiek in de huidige discussie buiten beschouwing wordt gelaten.
* Door de overheveling zijn de dure geneesmiddelen een probleem geworden van de ziekenhuizen, die de kosten niet kunnen opbrengen uit de beperkte stijging van hun budget. Maar tegelijkertijd zijn de uitgaven van de overheid aan de “niet-overgehevelde” (extramurale) geneesmiddelen in de afgelopen jaren fors gedaald. De totale uitgaven aan geneesmiddelen (als percentage van het zorgbudget) zijn hiermee vrijwel gelijk gebleven. Met andere woorden: Het probleem van de dure geneesmiddelen wordt niet veroorzaakt door een stijging van de totale uitgaven aan geneesmiddelen, maar is een direct (en wellicht bedoeld) gevolg van de overheveling. Een ander probleem van de overheveling is dat de ziekenhuizen niet in staat blijken te zijn om een competitieve prijs voor dure geneesmiddelen te onderhandelen en hierdoor worden dure geneesmiddelen nog duurder. Het is moeilijk te begrijpen waarom de overheid moedwillig de onderhandelingspositie ten opzichte van farmaceutische bedrijven heeft verzwakt. Het is eveneens moeilijk te begrijpen dat de huidige minister in sommige gevallen het geheim onderhandelt met farmaceutische bedrijven, waarbij de onderhandelde vergoeding van het geneesmiddel niet openbaar wordt gemaakt, en waarbij de minister zonder inbreng patiënten en behandelaars restricties aan het gebruik oplegt (bijvoorbeeld Sovaldi).
* Nieuwe geneesmiddelen -niet betere specialisten of grotere ziekenhuizen- hebben in de afgelopen 25 jaar de belangrijkste bijdrage aan de verbeterde gezondheid van patiënten met chronische ziekten (reuma, de ziekte van Crohn, colitis ulcerosa, multipele sclerose) en kanker geleverd. Het is opmerkelijk dat het percentage van het zorgbudget dat aan geneesmiddelen wordt besteed desondanks niet is toegenomen. Dit in tegenstelling tot het budget dat wordt besteed aan specialisten en ziekenhuizen. Patiënten met HIV of kanker hebben meer baat bij een effectief geneesmiddel dan bij een duur nieuw ziekenhuis.
* De ontwikkeling van een nieuw geneesmiddel kost ongeveer $1,5-2,0 miljard. De ontwikkelingstijd van een geneesmiddel is gemiddeld 10 jaar en de terugverdientijd gemiddeld 7 jaar. Het grootste deel van de kosten van een nieuw geneesmiddel wordt gerecupereerd in de Verenigde Staten. Men kan daarom begrip hebben voor de gedachte dat de USA de ontwikkeling van geneesmiddelen voor Europa subsidieert. Het is ook eenvoudig uit te rekenen hoeveel een geneesmiddel jaarlijks moet opbrengen om de ontwikkelingskosten terug te verdienen.
* Een veel groter probleem dan de kosten van nieuwe geneesmiddelen is het geringe aantal nieuwe geneesmiddelen dat op de markt komt, namelijk gemiddeld 25 per jaar in Europa en de Verenigde Staten; dit ondanks een researchbudget van farmaceutische bedrijven dat wereldwijd cumulatief minimaal $100 miljard bedraagt. Van deze nieuwe geneesmiddelen is maar een derde innovatief. Er zijn tal van ziekten waarvoor helemaal geen geneesmiddel beschikbaar is, en het gebrek aan nieuwe antibiotica is algemeen bekend. Indien de ontwikkelingskosten van nieuwe geneesmiddelen niet meer kunnen worden terugverdiend, worden zulke geneesmiddelen niet meer ontwikkeld.
* In Nederland bestaat de gedachte dat de ontwikkeling van geneesmiddelen goedkoper en/of sneller zou kunnen worden geëffectueerd door kennisinstituten zoals universiteiten. Deze gedachte berust op een opmerkelijk gebrek aan kennis van geneesmiddelenontwikkeling. De ontwikkeling van een nieuwe geneesmiddel is even complex en duur als het ontwerpen en bouwen van een vliegtuig, en kost meer tijd. De universiteit van Delft staat wereldwijd bekend om zijn afdeling Lucht- en Ruimtevaarttechniek, maar het zou zeer opmerkelijk zijn als deze universiteit zou aankondigen dat het in eigen beheer een opvolger van de Boeing 747 ging ontwerpen en bouwen. In Nederland is een hoogleraar die aankondigt zelf een geneesmiddel te gaan produceren echter voorpaginanieuws.
  + Veel geneesmiddelen berusten op ontdekkingen die het gevolg zijn van fundamenteel onderzoek, maar er is geen enkele universiteit wereldwijd die in de afgelopen 25 jaar een geneesmiddel heeft ontwikkeld dat tot de markt is toegelaten.
* Een andere gedachte is dat kleine biotechnologiebedrijven de plaats van farmaceutische bedrijven kunnen overnemen. Dit is onwaarschijnlijk.
  + Bij de EMA zijn meer dan 1000 SME’s (minder dan 250 werknemers en een omzet van minder dan €50m/jaar) aangemeld. Deze meer dan 1000 bedrijven hebben gedurende het bestaan van de EMA in totaal 9 geneesmiddelen voor registratie aangemeld, waarvan er 6 tot de markt zijn toegelaten.
  + Van belang is te vermelden dat anderzijds 60-80% van alle geneesmiddelen die door farmaceutische bedrijven worden ontwikkeld, door deze bedrijven zijn gekocht van een klein biotechnologie bedrijf. Hiervoor zijn twee belangrijke redenen:   
    1) Grote beurs-genoteerde farmaceutische bedrijven kunnen het risico van vroege ontwikkeling van geneesmiddelen niet meer dragen en worden voor mislukte programma’s onmiddellijk door aandeelhouders afgestraft. Vaak zijn er meer dan 100 projecten nodig om 1 geneesmiddel in de klinische fase verder te ontwikkelen en 90% van de geneesmiddelen die in de klinische fase komt haalt de registratie niet. Het uitvalpercentage bij de ontwikkeling van geneesmiddelen is daardoor zeer hoog.  
    2) Kleine biotechnologiebedrijven kunnen de kosten van de klinische ontwikkeling van een geneesmiddel veelal niet opbrengen: Een enkel klinisch registratie onderzoek voor aandoeningen zoals verhoogd cholesterol, verhoogde kans op trombose, reuma, de ziekte van Crohn, etc., kost minimaal €500m.
* Het is om bovenstaande redenen onbegrijpelijk dat de minister van VWS subsidies verstrekt aan initiatieven zoals Fairmedicine en de ontwikkeling van nieuwe antibiotica door Nederlandse kennisinstituten. De kans dat deze subsidies zullen leiden tot een nieuw geneesmiddel is nihil (het zou goed zijn als de rekenkamer hier aandacht aan zou besteden), en voor de vele miljoenen aan uitgedeelde subsidies kunnen tal van patiënten worden behandeld met een duur geneesmiddel.

Wat kan er worden gedaan aan dure geneesmiddelen?

* Aangezien er geen stijging is van het percentage van het zorgbudget dat aan geneesmiddelen wordt besteed, is de vraag waarom er iets moet worden gedaan aan dure geneesmiddelen. Het huidige probleem is vrijwel volledig ontstaan door budgetverschuiving (de overheveling), waardoor dure geneesmiddelen nu door de ziekenhuizen worden betaald, en steeds goedkopere geneesmiddelen buiten het ziekenhuis (dit budget is in de afgelopen 5 jaar met ongeveer 25% afgenomen). Een eenvoudige oplossing zou zijn om dit te repareren.
* Het is onduidelijk waarom zou moeten worden afgestapt van het huidige systeem van een kosteneffectiviteitanalyse die aan de vergoeding is verbonden. Geneesmiddelen die niet kosteneffectief zijn worden in Nederland niet vergoed. Van belang is te vermelden dat een aantal zeer dure geneesmiddelen voor zeer zeldzame ziekten nauwelijks invloed hebben op het totale geneesmiddel budget, en hiervoor wordt soms een uitzondering gemaakt. Een voorbeeld hiervan is de vergoeding van de behandeling van hemofilie met stollingsfactoren. De kosten van deze behandeling zijn veel hoger dan de maximaal toegestane kosten in het huidige vergoedingssysteem. Echter, zonder deze behandeling is de levensverwachting van deze patiënten minder dan 20 jaar en met de behandeling is de levensverwachting vrijwel normaal. Het is zeer onwaarschijnlijk dat de vergoeding van de medicamenteuze behandeling in Nederland zal vervallen, terwijl deze zeer veel duurder is dan in het huidige vergoedingsysteem is toegestaan.
* Het is denkbaar om een (tender) systeem in te voeren, waarbij een geneesmiddel wordt vergoed op basis van effectiviteit binnen een bepaalde patiëntenpopulatie. Gedacht kan worden aan het percentage patiënten met een bepaalde kanker dat geneest, of het percentage patiënten met een chronische aandoening dat in complete remissie is. Het voordeel van dit systeem is dat, in tegenstelling tot het huidige systeem, de patient er direct van profiteert. Op dit moment zijn er aanwijzingen dat patiënten met kanker of chronische ziekten om budgettaire redenen niet altijd de beste behandeling krijgen. Er zijn ook sterke aanwijzingen dat patiënten om budgettaire redenen naar (academische) ziekenhuizen worden verwezen voor een dure behandeling. Een van de grootste obstakels voor de invoering van een dergelijk systeem is het ontbreken van ziekenhuis-specifieke gegevens met betrekking tot behandeling van deze ziekten. De redenen hiervoor zijn dat deze gegevens vaak niet worden geregistreerd (reuma, Crohn, multipele sclerose, etc), of niet openbaar worden gemaakt (kanker). Met andere woorden, het is voor een patient of verzekeraar vaak onmogelijk om te weten wat de uitkomst van een behandeling is in een bepaald ziekenhuis. Het is uit de kankerregistratie bekend dat er tussen de verschillende ziekenhuizen grote verschillen kunnen zijn in de uitkomst van patiënten met bepaalde vormen van kanker. Het zou een grote vooruitgang zijn als ziekenhuizen verplicht zouden worden om de uitkomst van de behandeling van ziekten op een uniforme en uitwisselbare wijze registreren en te rapporteren.
* Het lijkt zinvol om te onderzoeken waarom meer dan 35% van het totale geneesmiddelen budget wordt gebruikt door patiënten boven de 75 jaar. Het is niet waarschijnlijk dat dit het gevolg is van dure geneesmiddelen en een doelmatiger gebruik van geneesmiddelen bij oudere patiënten kan budget vrijmaken voor geneesmiddelen die een veel grotere gezondheidswinst opleveren bij jongere patiënten.