

Toegang op maat en effectiviteitsdata

Een duurzaam model voor geneesmiddelenontwikkeling

Het huidige model van geneesmiddelenonderzoek is stuk. Betaalbare innovatieve geneesmiddelen die tijdig toegankelijk zijn voor patiënten is tegenwoordig meer uitzondering dan de regel. Op dezelfde voet doorgaan is simpelweg niet vol te houden.

Vaak wordt er een vinger gewezen naar een afzonderlijke partij voor de huidige situatie terwijl alle betrokkenen uit het publieke en private domein hun steentje hebben bijgedragen aan de optuiging van het huidige systeem van ontwikkeling en toelating. Het systeem is simpelweg tegen zijn grenzen aangelopen en incrementele veranderingen gaan ons niet uit de impasse halen: vernieuwende oplossingsrichtingen zijn noodzakelijk.

Verschillende overheden, waaronder Nederland, proberen alternatieve modellen te stimuleren die:

1. Patiënten zonder alternatieven **versneld toegang** geven tot innovatieve geneesmiddelen;
2. Het geneesmiddelenontwikkelingsproces duurzaam veranderen met als gevolg **maatschappelijk aanvaardbare prijzen**;
3. Helderheid verschaffen in de **‘echte’ waarde** van geneesmiddelen;
4. Gebruikmaken van (big) data om de **effectiviteit** te bepalen (naast de werkzaamheidsdata die bewezen tekortkomingen hebben);
5. De relatie en voordelen van private versus publieke investeringen toelichten met name op het gebied van **toegankelijkheid en eigendom van data**.

Ons alternatief en duurzaam model

Wij, myTomorrows, zijn een model aan het uitrollen waarin overheden/verzekeraars bepaalde geneesmiddelen in ontwikkeling voor specifieke groepen patiënten vergoeden met als gevolg dat:

1. Patiënten zonder alternatieven **behandeld worden en versneld toegang** krijgen tot innovatieve geneesmiddelen in ontwikkeling waarvan de veiligheid is bewezen en een indicatie van effectiviteit is aangetoond (het zelfbeschikkingsrecht is geen wassen neus meer);
2. Artsen **toegang hebben tot alle data** van geneesmiddelen in ontwikkeling en in staat worden gesteld om de beste behandeling te kiezen;
3. **Effectiviteitsdata** gelijktijdig door behandelend artsen worden verzameld met de klinische studies, **in het publieke domein worden geplaatst** en direct worden teruggekoppeld naar artsen, patiënten en regulerende instanties;
4. De overheid grip krijgt op de **prijstelling** van medicijnen en er **meer competitie en innovatie** ontstaat (wat **verdere prijsverlagingen** tot gevolg heeft).

Internet en technologische ontwikkelingen hebben ons model mogelijk gemaakt. Door de werking van geneesmiddelen direct via digitale kanalen terug te koppelen, op te slaan en te analyseren met behulp van big data en artificiële intelligentie wordt het systeem van geneesmiddelenontwikkeling en toelating meer efficiënt en transparant.

Joe Jimenez, de uittredende CEO van de farmaceutische reus Novartis, gaf onlangs in een interview toe dat het gezondheidssysteem op het punt van imploderen staat. Op de vraag hoe de gezondheidsinnovaties van de toekomst bekostigd gaan worden antwoordde hij: "The only way is to get rid of the inefficiency in the system. That's where I see digital technology starting to have a significant impact."¹

Gebrek aan competitie, innovatie en ontoereikende data

Het is algemeen bekend dat de tweede en derde fase van klinisch onderzoek zo duur is geworden dat enkel de grote farmaceutische bedrijven dit kunnen bekostigen. Veel doorbraken ("Research") komen van kleinere spelers (m.n. spin-offs universiteiten) die vanwege de hoge ontwikkelingskosten voor fase II & III ("Development") genoodzaakt zijn zich te verkopen aan spelers die de markt domineren. Dit vermindert de competitie en verhoogt de prijzen.

Ook resulteert het huidige systeem in een eenzijdige focus op ziekten die 'financieel rendabel' zijn. Het stoppen van onderzoeksprojecten waar patiënten baat bij hebben omdat de (aandeelhouders van) dominante marktspelers een hoger rendement op hun investeringen willen is niet in het belang van de volksgezondheid en belemmert competitie en innovatie.

Scott Gottlieb, de baas van de Amerikaanse toezichthouder FDA, zei hierover onlangs in een speech: "Because the costs are so high, sometimes a drug targeted to a less profitable circumstance might not be developed at all... we need to make sure that we have markets that are competitive, and that let us capture those savings in the form of lower prices."²

In ons model waar bepaalde geneesmiddelen in ontwikkeling voor specifieke groepen patiënten zonder alternatieven worden vergoed geef je kleinere innovatieve ondernemingen de mogelijkheid langer zelfstandig te blijven en vergroot je de broodnodige concurrentie en innovatie. En door de effectiviteitsdata gelijktijdig met het klinische onderzoek te verzamelen en openbaar te maken krijg je snel inzicht of het geneesmiddel in de 'echte' wereld (buiten de klinische onderzoek setting) werkt of niet. In beide gevallen leidt dit tot lagere kosten en toenemende innovatie.

Er is sinds geruime tijd veel kritiek op de grote, dure werkzaamheidsstudies. Dat vindt ook de Economist: "Yet in some cases it is clear that the demand for ever-larger clinical trials of new drugs has done little for safety, has raised costs and rewarded chiefly the very largest companies that can afford to run them."³

¹ Forbes, September 7, 2017 - Departing Novartis CEO Sets His Eyes On Silicon Valley

² RAPS 2017 Regulatory Convergence Conference, September 11, 2017 - Washington, DC

³ Economist, April 1, 2017, "Drug of choice"

Betaalbare geneesmiddelen

Om betaalbare geneesmiddelen te realiseren maken wij afspraken met overheden/verzekeraars over de prijs van het geneesmiddel voor én na toelating. Dit gaat niet op basis van ondoorzichtige onderhandelingen maar aan de hand van openbare data die aangeven hoe effectief het geneesmiddel is onder patiënten buiten de klinische studies. Pas dan heb je een representatieve populatie en kan je de 'echte' waarde van een geneesmiddel bepalen. Vanwege de afspraken over de prijs voor én na toelating wordt tevens voorkomen dat de overheid dubbel betaalt voor haar investeringen.

Conclusies en aanbevelingen

myTomorrows heeft sinds 2014 meer dan 2000 patiënten buiten Nederland geholpen (zonder calamiteiten) en meer dan 7000 aanvragen van artsen ontvangen. Het is evident dat wij patiënten en artsen in een duidelijke behoefte voorzien en willen ons model en aannames verder uitwerken en toetsen door een aantal pilots te starten. Ons voorstel hiertoe ligt bij het Ministerie van VWS en wanneer geaccepteerd zullen de pilots door academische ziekenhuizen worden opgezet in samenwerking met alle relevante toezichthouders.

Vooraanstaande experts werkzaam in medische, academische en toezichthoudende instanties in binnen- en buitenland ondersteunen onze aanpak en pilots. Sinds juni 2016 zijn wij in gesprek met VWS om de pilots daadwerkelijk te realiseren en komen voornamelijk bureaucratische obstakels tegen.

Omdat nieuwe innovatieve modellen niet in bestaande structuren en regelgeving passen zal het overheidsbeleid moeten worden aangepast wat enige tijd lijkt te duren. Een subsidieregeling zou ook een mogelijkheid zijn maar VWS heeft gekozen om de huidige voorwaardelijke toelatingsprocedure onder handen te nemen. Een brief met beleidsvoornemens is op 27 februari naar de Kamer gestuurd en voor de zomer zou er een update zijn die wij niet vernomen hebben.

Als de beleidsvoornemens worden doorgezet en vervolgens zijn gefinaliseerd hopen wij te kunnen starten met artsen in Nederland te faciliteren in het behandelen van patiënten zonder alternatieven alsmede ons model dat tot betaalbare geneesmiddelen moet leiden verder uit te werken en toetsen: een win-win voor alle partijen.