

## **Bijdrage Biogen – Ronde Tafel Farmaceutische Industrie – 2 oktober 2017**

### **Introductie**

- We begrijpen dat geneesmiddelprijzen en toegang tot geneesmiddelen een punt van grote zorg zijn voor patiënten, artsen, verzekeraars en de overheid. We blijven met al deze partijen samenwerken om te waarborgen dat patiënten toegang hebben tot geneesmiddelen die een grote impact hebben op het leven van patiënten. Tegelijkertijd helpen we om oplossingen te vinden waarin een goede afweging wordt gemaakt tussen de behoefte aan essentiële geneesmiddelen, aan een houdbaar geneesmiddelenbudget en aan blijvende investeringen in nieuwe behandelingen.
- Deelname aan dit rondetafelgesprek is voor ons een welkome gelegenheid om onze wil tot samenwerking te benadrukken. Wij geloven dat dit een belangrijke eerste stap kan zijn op weg naar een constructieve dialoog en het gezamenlijk werken aan mogelijke oplossingen.

### *Biogen*

- Biogen is een biotechnologisch bedrijf dat zich volledig richt op neurologische aandoeningen. We hebben een breed portfolio geneesmiddelen tegen multiple sclerose (MS) en we hebben recent een handelsvergunning gekregen voor het eerste geneesmiddel tegen de zeldzame spierziekte SMA.
- Daarnaast lopen we voorop bij onderzoek naar nieuwe geneesmiddelen tegen nog niet te genezen neurologische aandoeningen, zoals de ziekte van Alzheimer, de ziekte van Parkinson en ALS.
- Biogen richt zich daarmee op onontgonnen terrein. Dit is risicovol, maar in enkele gevallen gaan we succes hebben en wanneer dat gebeurt, zal dat leiden tot medische doorbraken.

### **De situatie**

- In de afgelopen jaren vond in Nederland een hevig debat plaats over uitgaven aan zorg, waarbij uitgaven aan weesgeneesmiddelen steeds vaker als een van de voornaamste oorzaken worden gezien.
- In het afgelopen decennium is ongeëvenaarde vooruitgang geboekt bij de behandeling van zeldzame ziektes. Er komen steeds meer geneesmiddelen beschikbaar voor deze vaak levensbedreigende ziektes.<sup>i</sup> Die geneesmiddelen zijn bovendien geavanceerder en effectiever dan we tien jaar geleden konden dromen.<sup>ii</sup>
- Tegelijk kennen weesgeneesmiddelen een andere kostendynamiek dan geneesmiddelen die zijn ontwikkeld voor grotere patiëntengroepen. Doordat ze worden ontwikkeld voor kleine groepen kennen ze bij introductie een hogere prijs en dit wordt door velen gezien als een punt van zorg.<sup>i</sup> Echter, de impact van weesgeneesmiddelen op de uitgaven is relatief beperkt; in Europa gaat het om 4-5 procent van de geneesmiddelenuitgaven.<sup>iii</sup>
- Ondanks deze beperkte impact op geneesmiddelenuitgaven, duren onderhandelingen over de vergoeding van weesgeneesmiddelen in Nederland maanden of zelfs jaren en is de uitkomst vaak onzeker. Patiënten hebben al die tijd geen toegang, terwijl het vaak om levensbedreigende en progressieve ziektes gaat.

### *Ons standpunt*

- We moeten erkennen dat het ontwikkelen van baanbrekende geneesmiddelen miljarden aan onderzoeksgeld vereist, inclusief kostbare maar noodzakelijke klinische onderzoeken en de vaak decennialange inzet van grote groepen mensen om deze geneesmiddelen bij patiënten te

krijgen. Er is echter geen enkele garantie, zelfs met al deze investeringen, dat dit resulteert in een geregistreerd geneesmiddel.<sup>iv</sup>

- Biogen investeert bijvoorbeeld op dit moment 2,5 miljard dollar in de ontwikkeling van één geneesmiddel tegen Alzheimer. Ter vergelijking: met dat bedrag kan de Noord-Zuidlijn worden gefinancierd. Tegelijk is de kans dat een geneesmiddel tegen Alzheimer de eindstreep haalt minder dan één procent.<sup>v</sup>
- We investeren dus jarenlang veel tijd en geld om nieuwe geneesmiddelen beschikbaar te maken voor patiënten. Als we hierin succesvol zijn, hebben we een beperkte periode om voldoende inkomsten te genereren om door te kunnen gaan in onze continue zoektocht naar de volgende behandeling of genezing.

#### *Onze zorgen*

- Het baart ons zorgen dat in deze discussie maatregelen zijn voorgesteld die op korte termijn wellicht voor besparingen kunnen zorgen, maar die het op langere termijn minder aantrekkelijk maken om te investeren in de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen.
- Bedrijven zullen immers minder snel geneigd zijn tot grote en onzekere investeringen als ze na registratie kunnen worden vervangen door een apotheekbereiding of kunnen worden geconfronteerd met een dwanglicentie.<sup>vi</sup>
- Datzelfde geldt voor plannen om stimuleringsmaatregelen voor weesgeneesmiddelen te beperken. Het is aan deze maatregelen te danken dat onderzoek naar weesgeneesmiddelen zo'n vlucht heeft genomen.<sup>vii</sup> Dat moeten we niet op het spel zetten, want 95 procent van de zeldzame ziektes is nog altijd niet te behandelen.<sup>viii</sup>

#### **Oplossingen**

- We geloven dat er meerdere oplossingen zijn die kunnen bijdragen aan een houdbaar geneesmiddelenbudget. Voorbeelden zijn biosimilars, internationale samenwerking en een vroegtijdige en constructieve dialoog.

#### *Biosimilars*

- Biosimilars bieden een effectieve manier om significante besparingen te realiseren en de toegang tot biologicals te verbreden. Zo dragen ze bij aan een houdbaar geneesmiddelenbudget en maken ze geld vrij om te investeren in nieuwe geneesmiddelen.
- In 2017 en 2018 gaat in Nederland ongeveer 600 miljoen euro aan geneesmiddelenomzet van patent. Dat is meer dan 10 procent van het geneesmiddelenbudget.<sup>ix</sup> Een groot gedeelte van deze geneesmiddelen betreft biologicals. We moeten de mogelijkheid tot besparingen erkennen en aangrijpen om budget vrij te maken voor de financiering van nieuwe geneesmiddelen, waaronder weesgeneesmiddelen.

#### *Internationale samenwerking*

- Toenemende internationale samenwerking is een andere interessante benadering waarbij Nederland voorop loopt.
- Wij zijn voorstander van internationale samenwerking, zeker op het gebied van zeldzame aandoeningen, mits de samenwerking verder gaat dan enkel prijs en vergoeding en ook het gehele zorgtraject meeneemt. De toegenomen schaalgrootte biedt bijvoorbeeld ook kansen om het hele zorgproces te verbeteren, de tijd tot diagnose te verkorten en om degelijke patiëntenregisters op te zetten om bewijs te vergaren over de effectiviteit van geneesmiddelen in de dagelijkse praktijk.

## Dialogoog

- Vanuit Biogen gaan we al in een vroeg stadium van de ontwikkeling van een geneesmiddel in gesprek met andere partijen binnen de zorg, waaronder vergoedingsautoriteiten. Onze ervaring leert dat een open dialoog met andere partijen cruciaal is om, in elke fase van het ontwikkelingstraject, weloverwogen beslissingen te nemen.
- Juist dit punt is cruciaal voor de situatie in Nederland. We moeten erkennen dat alle partijen in deze discussie valide punten hebben ingebracht en dat we alle partijen nodig hebben om houdbare oplossingen te realiseren.
- Het vinden van houdbare oplossingen is een gezamenlijke verantwoordelijkheid. We hopen dat deze Ronde Tafel een belangrijke eerste stap is op weg naar een constructieve dialoog en gezamenlijke oplossingen.

## Referenties

---

<sup>i</sup> E Tambuyzer. Rare diseases, orphan drugs and their regulation: questions and misconceptions. *Nature Reviews Drug Discovery* 2010;9, 921. Zie ook European Medicines Agency, Orphan Medicines Figures 2000-2016, [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Other/2015/04/WC500185766.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2015/04/WC500185766.pdf).

<sup>ii</sup> Zie bijvoorbeeld A Aartsma-Rus, FDA Approval of Nusinersen for Spinal Muscular Atrophy Makes 2016 the Year of Splice Modulating Oligonucleotides. *Nucleic Acid Therapeutics* 2017, 27:67.

<sup>iii</sup> C Schey et al., Estimating the budget impact of orphan medicines in Europa: 2010-2020. *Orphanet Journal of Rare Diseases* 2011;6: 62.

<sup>iv</sup> M Hay et al., Clinical development success rates for investigational drugs. *Nature Biotechnology* 32, 1 (2014); 46.

<sup>v</sup> J Carrell, Biogen CEO Scangos Commits \$2.5B to a high-stakes Alzheimer's gamble, *Fierce Biotech*, 28 april 2015; J Cummings, T Morstorf en K Zhong. "Alzheimer's disease drug-development pipeline: few candidates, frequent failures, *Alzheimers Res Ther* 2014;6:37.

<sup>vi</sup> Raad Voor Volksgezondheid en Samenleving, *Opinie: Aanpak dure geneesmiddelen vergt meer dan alleen onderhandelen over de prijs*, 21 juni 2017; [https://www.raadrvs.nl/uploads/docs/OpinieRVS\\_Orkambi.pdf](https://www.raadrvs.nl/uploads/docs/OpinieRVS_Orkambi.pdf).

<sup>vii</sup> V Giannuzzi et al., Orphan medicinal products in Europa and the United States to cover needs of patients with rare disease: an increased common efforts is to be foreseen. *Orphanet Journal of Rare Diseases* 2017;12:64.

<sup>viii</sup> K Young et al. A comparative study of orphan drugs prices in Europe. *Journal of Market Access & Health Policy* 2017,5;1297886.

<sup>ix</sup> Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen, *MedicijnMonitor2017*, pagina 21.