

Op weg naar medicatievergoeding

Rob van den Brule

Senior Field-based Medical Advisor Jazz Pharmaceuticals

STSN contactdag, zaterdag 17 mei 2025

Wie ben ik?

- Rob van den Brule
- Opgeleid als Landbouwkundig ingenieur in Wageningen
- Sinds 1995 werkzaam in de farmaceutische industrie
- Meer dan 20 jaar werkzaam op medische afdelingen, o.a. Pfizer en Biogen:
 - Uitleg geven over ziektebeelden en medicatie
 - Vragen van artsen en patiënten beantwoorden
 - Buitendienst trainen
 - Reclame-uitingen controleren
 - Wetenschappelijk onderzoek begeleiden
 - Wetenschappelijke literatuur bijhouden
 - Ondersteunen bij vergoedingsdossiers
 - Fase 4 studies



Waarom duurt de reis zo lang?

Een stofje is nog geen geneesmiddel

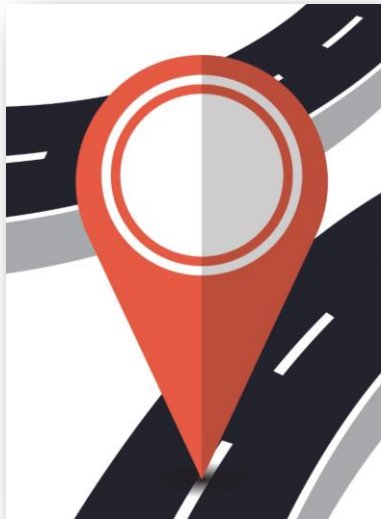
- Testen of het stofje kan werken
- Testen naar de veiligheid van het stofje
- Testen van de effectiviteit van het stofje
- Het dossier indienen bij de overheid, na goedkeuring is het stofje een geneesmiddel
- Vergoeding aanvragen voor het geneesmiddel bij de overheid
- Eerste praktijkervaringen inventariseren
- Uiteindelijk opname in de behandelrichtlijnen

Stap voor stap

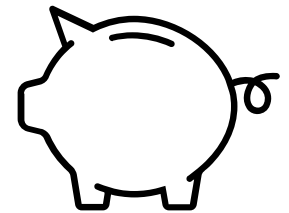
1. Waarom denk je dat iets zou kunnen werken?
2. De overheid wil bewijs = onderzoek
3. Hoe bewijs je dat iets werkt?
4. Registratie
5. Vergoeding
6. Finish



Stap 1: Waarom denk je dat iets zou kunnen werken?



- Door ontdekking van een werkingmechanisme:
Bijvoorbeeld maagzuurremmers
- Door toevallige ontdekking bij bestaand gebruik:
Een middel dat tegen de ene ziekte wordt gegeven,
werkt in dezelfde persoon ook tegen de andere
ziekte

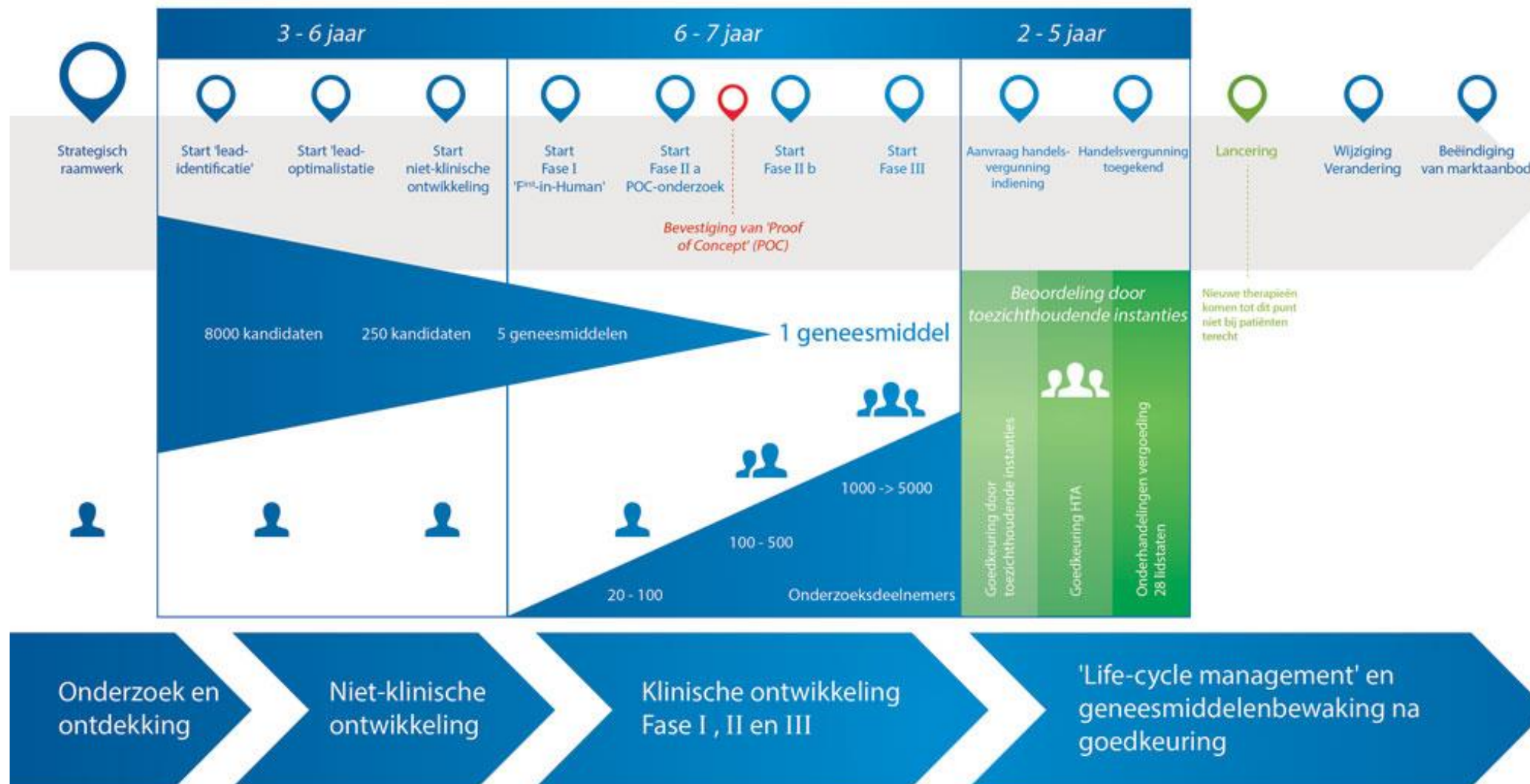


Stap 2: De overheid wil bewijs = onderzoek



- Effectiviteit
 - ✓ Aangetoond moet worden dat het werkt
- Veiligheid
 - ✓ Bijwerkingen
 - ✓ Combinatie met andere medicijnen
 - ✓ Gevolgen van overdosering
 - ✓ Gebruik bij zwangerschap, kinderen

Overzicht van beslissingspunten en ontwikkelingsstappen bij geneesmiddelenonderzoek en -ontwikkeling



Patiëntbetrokkenheid



Beslissingspunt

Stap 3: Hoe bewijs je of iets werkt?

- Laboratorium onderzoek



- Fase I: In gezonde mensen testen, is het veilig?
- Fase II: Doet het wat de bedoeling is? En is het veilig?
- Fase III: Hoe goed werkt het? En is het veilig?
- Fase IV: Hoe goed en veilig is het middel in de praktijk?

Fasen van klinische ontwikkeling



Fase I

Humane farmacologie
'First-in-human'

Fase II

Therapeutisch
Verkennd

Fase III

Therapeutisch
Bevestigend

Fase IV

Ook bekend als 'na goedkeuring'
'Life-cycle management'

- Veiligheid, gezonde vrijwilligers
- Hoe werkt het?

Fasen van klinische ontwikkeling



Fase I

Humane farmacologie
'First-in-human'

Fase II

Therapeutisch
Verkennd

Fase III

Therapeutisch
Bevestigend

Fase IV

Ook bekend als 'na goedkeuring'
'Life-cycle management'

- Veiligheid, mensen met de ziekte
- Werkt het?

Fasen van klinische ontwikkeling



Fase I

Humane farmacologie
'First-in-human'

Fase II

Therapeutisch
Verkennd

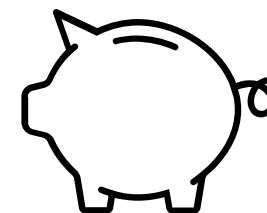
Fase III

Therapeutisch
Bevestigend

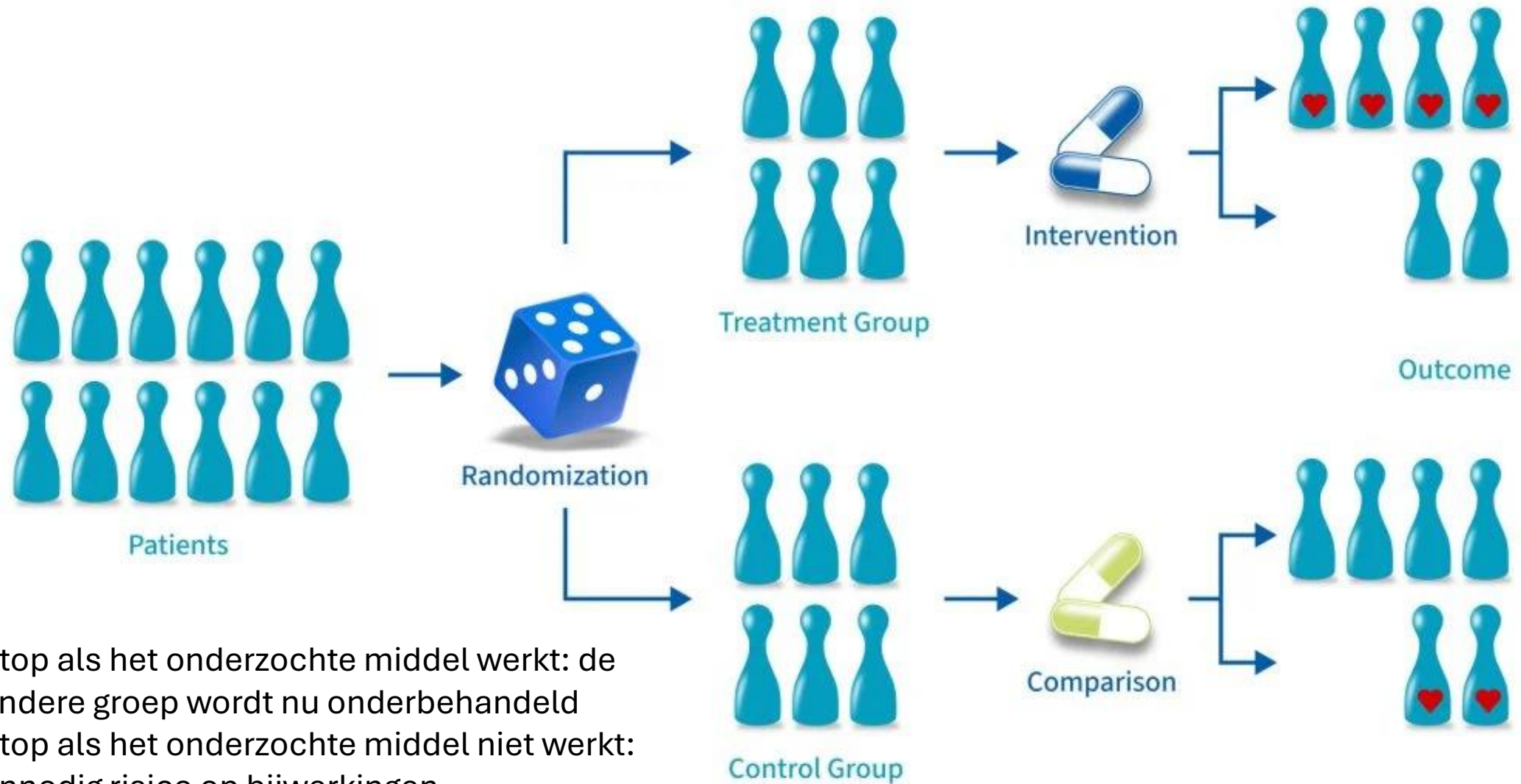
Fase IV

Ook bekend als 'na goedkeuring'
'Life-cycle management'

- Effectiviteit en veiligheid
- Hoe goed werkt het?
- Bijwerkingen
- In overleg met autoriteiten
- Zo kort mogelijk vanwege ethische en financiële redenen



Randomized Controlled Trial



- Stop als het onderzochte middel werkt: de andere groep wordt nu onderbehandeld
- Stop als het onderzochte middel niet werkt: onnodig risico op bijwerkingen

Fasen van klinische ontwikkeling



Fase I

Humane farmacologie
'First-in-human'

Fase II

Therapeutisch
Verkennd

Fase III

Therapeutisch
Bevestigend

Fase IV

Ook bekend als 'na goedkeuring'
'Life-cycle management'

- Dagelijkse praktijk
- Echte patiënten
- Combinatie met andere geneesmiddelen
- Werkt het dan ook?
- Is het dan ook veilig?
- Zeldzame bijwerkingen
- Lange termijn

Stap 4: Registratie



- Vroeger was er weinig regulering en konden veel (genees)middelen vrij op de markt worden gebracht.
- In Nederland moeten geneesmiddelen sinds 1 januari 1958 geregistreerd worden, Wet op Geneesmiddelenvoorziening (WOG).¹
- Sinds 2007 vervangen door de Geneesmiddelen Wet.¹
- Tegenwoordig bestaat er naast een nationale toelatingsprocedure ook een Europese toelatingsprocedure via het European Medicines Agency (EMA) voor het verkrijgen van een (voorlopige) handelsvergunning.²
- Daarna wordt de vergoeding per land bepaald.

¹ https://nl.wikipedia.org/wiki/Wet_op_de_geneesmiddelenvoorziening

² <https://www.cbg-meb.nl/onderwerpen/hv-centrale-procedure>

Stap 5: Vergoeding

Na registratie start het vergoedingstraject



Hoe ziet het toegangstraject eruit?

Na een (voorwaardelijke) marktvergunning kan in Nederland via verschillende routes vergoeding worden toegekend¹:

In dit geval
gebruik in het
ziekenhuis

Intramuraal
(Add-on)

Extramuraal
(GVS)

Wanneer komt een geneesmiddel in de sluis?

De minister van VWS kan besluiten om een geneesmiddel in de sluis te plaatsen als:
...het geneesmiddel onderdeel is van een **ziekenhuisbehandeling**

...en de **verwachte kosten** heel hoog zijn

per jaar > € 20 miljoen
voor de samenleving

of: per jaar > € 50.000
per patiënt en
> € 10 miljoen
voor de samenleving



Wat is de sluis voor dure geneesmiddelen?

Nieuwe ziekenhuisgeneesmiddelen zijn soms heel duur...
en vaak is onduidelijk hoe goed ze werken en bij wie



In de sluis beoordeelt de overheid of deze middelen hun prijs waard zijn en kunnen worden **vergoed**



Medicijnen worden alleen vergoed...
...als ze **beter werken** dan of net zo goed als de medicijnen die al worden vergoed
...en een **redelijke prijs** hebben

Wanneer komt een geneesmiddel in de sluis?

De minister van VWS kan besluiten om een geneesmiddel in de sluis te plaatsen als:
...het geneesmiddel onderdeel is van een **ziekenhuisbehandeling**



...en de **verwachte kosten** heel hoog zijn

per jaar > € 20 miljoen voor de samenleving

of: per jaar > € 50.000 per patiënt en < € 10 miljoen voor de samenleving

Wat zijn de stappen in de sluis?

Na toelating van een medicijn tot de markt:



Wat beoordeelt het Zorginstituut?

- Werkt het medicijn beter dan of even goed als medicijnen die al worden vergoed? En voor welke patiënten?
- Is de prijs van het medicijn **redelijk** voor wat het de patiënt en de samenleving oplevert?
- Zijn de gevolgen van de ziekte zo groot, dat medicijnen **nodig** zijn?
- Hoe kan het medicijn **gepast** worden ingezet in de praktijk?



Het Zorginstituut krijgt advies van:
Vereniging Patiënten Advocaten
Adviescommissie Patiënten

Door inzet van de sluis...

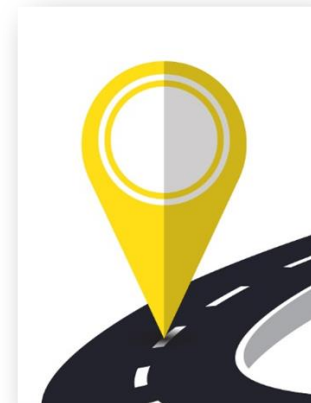
...worden medicijnen alleen ingezet voor patiënten bij wie ze **écht werken**

...hebben patiënten geen onnodige **zware bijwerkingen** van medicijnen die bij hen niet werken



...blijft er meer geld over voor **andere goede zorg**

...is er meer **passende zorg** mogelijk voor de hele samenleving



<https://www.zorginstituutnederland.nl/over-ons/programmas-en-samenwerkingsverbanden/horizonscan-geneesmiddelen/sluis-voor-dure-geneesmiddelen#:~:text=Wanneer%20komt%20een%20medicijn%20in,1%20of%20meer%20nieuw%20indicaties.>

Hoe ziet het toegangstraject eruit?

Na een (voorwaardelijke) marktvergunning kan in Nederland via verschillende routes vergoeding worden toegekend¹:

Intramuraal
(Add-on)

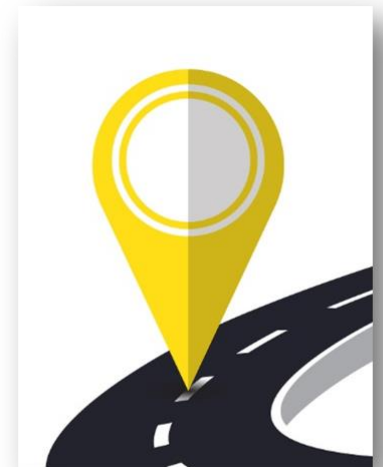
Extramuraal
(GVS)

¹ [chrome-extension://efaidnbmninnibpcajpcglclefindmkaj/https://www.hollandbio.nl/wp-content/uploads/2025/02/Infographic-Weesgeneesmiddelen_2025_def.pdf](https://www.hollandbio.nl/wp-content/uploads/2025/02/Infographic-Weesgeneesmiddelen_2025_def.pdf)

Officiële aanvraag door de registratiehouder voor vergoeding

- Indienen van het kerndocument vergoedingsaanvraag.
 - Registratie, ziektebeeld, richtlijnen, plaatsbepaling, visie beroepsgroep
 - Verwacht patiëntvolume
 - Farmaco-economische analyse = **wegen de kosten op tegen de baten?**
- Feedback van het Zorginstituut en Wetenschappelijke Adviesraad
- Indienen van het definitieve dossier
- Vergoedingsuitspraak

- Kost dus tijd!

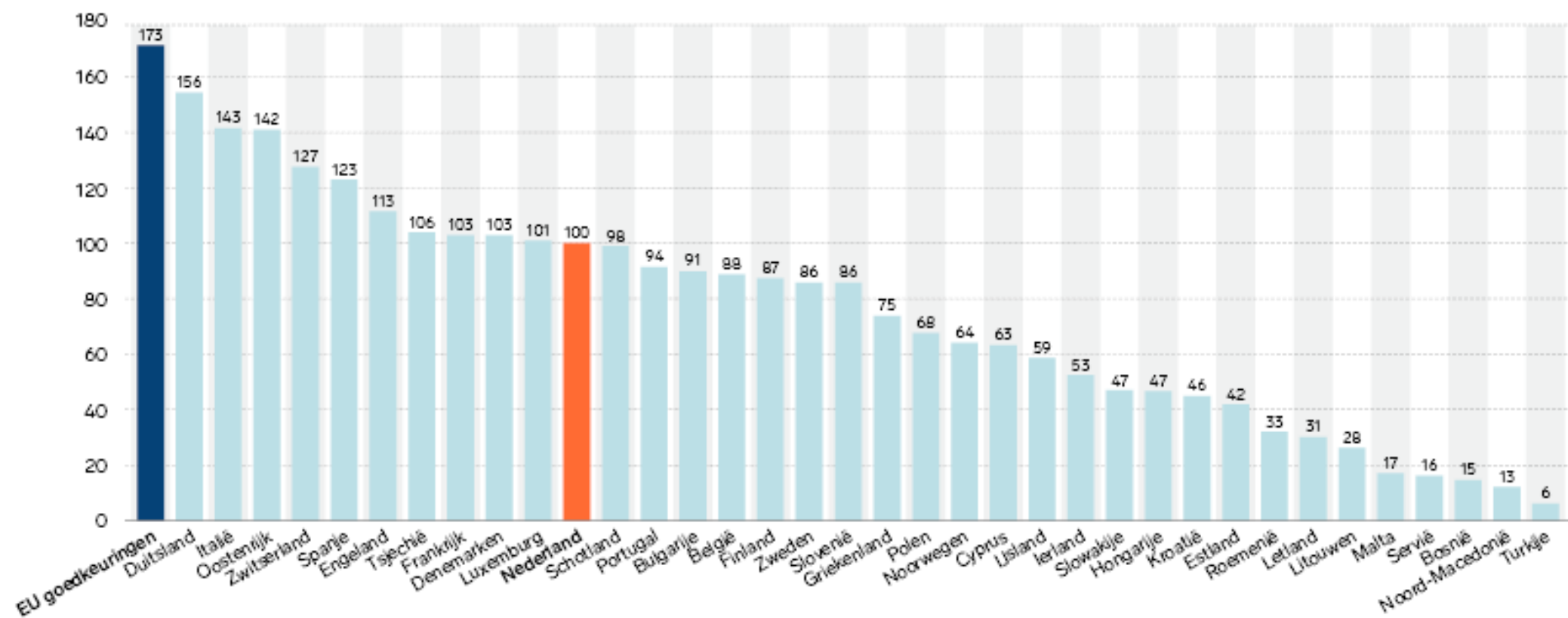


Aantal toegankelijke nieuwe medicijnen in Europa

- Onderzocht: 173 nieuwe medicijnen die de EMA van 2020 tot en met 2023 goedkeurde.
- Hoeveel waren er daarvan per 5 januari 2025 vergoed – en dus toegankelijk voor patiënten?

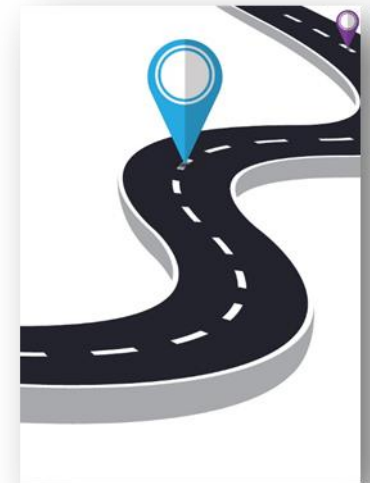
Aantal toegankelijke nieuwe medicijnen in Europa

- Onderzocht: 173 nieuwe medicijnen die de EMA van 2020 tot en met 2023 goedkeurde.
- Hoeveel waren er daarvan per 5 januari 2025 vergoed – en dus toegankelijk voor patiënten?



Stap 6: De finish

- Niet alle stofjes zijn effectief en veilig
- De kosten moeten hanteerbaar blijven
- Het onderzoeks- en vergoedingstraject kan tot 18 jaar duren¹



¹ <https://www.nza.nl/actueel/nieuws/2025/04/10/nederland-betaalt-lang-hoge-prijzen-voor-dure-geneesmiddelen>

Stap 6: De finish



A 3D illustration of a winding road with several colorful location pins placed along its path. The road is dark blue with white dashed lines and has a 3D effect with a grey shadow. The location pins are in various colors: yellow, green, purple, red, and blue. The text "Dank voor uw aandacht" is written in white, sans-serif font across the middle of the image, partially overlapping the road and a red location pin.

Dank voor uw aandacht