

Vergaderjaar 2020–2021

**29 477**

**Geneesmiddelenbeleid**

**Nr. 697**

## **BRIEF VAN DE MINISTER VOOR MEDISCHE ZORG**

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 25 februari 2021

Met deze brief infomeer ik u over mijn besluit het beleidskader voor de voorwaardelijke toelating geneesmiddelen tijdelijk te verruimen voor een specifiek type innovatieve behandeling, om zo verzekerde toegang voor patiënten mogelijk te maken en daarbij ook vervolgonderzoek uit te laten voeren.

### **Ontwikkeling tumor-agnostische geneesmiddelen**

In oktober 2019 bent u geïnformeerd over het nieuwe beleidskader voor de voorwaardelijke toelating van weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals* (voorwaardelijke toelating geneesmiddelen).<sup>1</sup> Inmiddels zijn er op advies van het Zorginstituut twee geneesmiddelen aangewezen door de Minister als potentiële kandidaten voor het verder uitwerken van een traject voor voorwaardelijke toelating.

Sinds voornoemde Kamerbrief is er sprake van een nieuwe wetenschappelijke ontwikkeling, de zogenaamde «tumor-agnostische» geneesmiddelen. Deze middelen laten de tumor slinken bij mensen met een bepaalde genetische mutatie, los van het type kanker. Dit betekent dat de behandeling in beginsel voor allerlei typen kanker kan worden ingezet mits er in de tumor sprake is van de betreffende gen mutatie.

Inmiddels zijn er twee tumor-agnostische middelen door het Europees Medicijnagentschap (EMA) voorwaardelijk toegelaten (*conditional approval*) tot de Europese markt. Dit betekent dat er volgens de EMA op dit moment nog te veel onzekerheden zijn. In opdracht van de EMA worden er daarom door de betreffende fabrikanten nog verschillende aanvullende studies uitgevoerd.

<sup>1</sup> Kamerstuk 29 477, nr. 621.

## **Uitdagingen in beoordeling**

De ontwikkeling van tumor-agnostische middelen is dermate innovatief dat hiervoor wereldwijd onvoldoende kennis is over welke onderzoeksmethodiek toegepast moet worden om aan te tonen dat het middel bewezen effectief is. Ook het Zorginstituut kan daarom nu niet beoordelen of deze middelen voldoen aan het wettelijke criterium voor toelating tot het basispakket: de stand van wetenschap en praktijk.

Het Zorginstituut en de beroepsgroep ontwikkelen op dit moment een passende methodologie en beoordelingskader voor tumor-agnostische middelen. Het Zorginstituut heeft mij geïnformeerd dat dit uiterlijk eind 2024 is uitgewerkt, vastgelegd, en gevalideerd. Als deze methodologie en dit kader zijn ontwikkeld, zal er meer duidelijkheid zijn over welke (aanvullende) data nodig zijn om tumor-agnostische middelen te toetsen op pakketwaardigheid.

## **Verruiming beleidskader voorwaardelijke toelating geneesmiddelen**

Gezien de thans nog onbeantwoorde vraag of tumor-agnostische middelen voldoen aan de stand van de wetenschap en de praktijk, is een directe opname in het basispakket op dit moment niet mogelijk. De enige mogelijkheid om de patiënt verzekerde toegang te geven tot deze middelen, is om deze middelen op te nemen in de voorwaardelijke toelating geneesmiddelen. Dit vraagt om een aangepaste en ruimere beleidstoepassing van de huidige voorwaardelijke toelating. Met deze Kamerbrief verruim ik daarom het beleidskader voor de voorwaardelijke toelating geneesmiddelen specifiek voor tumor-agnostische geneesmiddelen. Hiermee zorg ik er voor dat de voorwaardelijke toelating aansluit op deze nieuwe wetenschappelijke ontwikkelingen.

Deze verruiming van het beleidskader is nodig, omdat een harde voorwaarde is dat tijdens de voorwaardelijke toelating onderzoek wordt gedaan waarmee de pakketvraag kan worden beantwoord. Omdat een passende onderzoeksmethodiek en beoordelingskader nog ontbreekt voor tumor-agnostische geneesmiddelen, is het niet goed mogelijk een onderzoeksvorstel zo op te stellen dat hiermee antwoord kan worden gegeven op deze pakketvraag. Dit betekent dat een voorwaardelijke toelating van tumor-agnostische middelen niet past binnen het huidige beleidskader.

Zodra er een passende onderzoeksmethodiek en beoordelingskader is voor dit type middelen, is deze tijdelijke verruiming van het beleidskader voor de voorwaardelijke toelating geneesmiddelen niet langer nodig.

Dit betekent concreet dat tot en met eind 2024 specifiek voor tumor-agnostische geneesmiddelen de mogelijkheid wordt geboden het onderzoek binnen de voorwaardelijke toelating geneesmiddelen in twee fasen uit te voeren:

- **Fase 1: verruiming beleidskader:** in deze fase staat het ontwikkelen van een passende onderzoeksmethodiek en bijbehorend beoordelingskader door het Zorginstituut centraal. Patiënten hebben in deze fase al verzekerde toegang. Uiteraard vindt in deze eerste fase ook dataverzameling plaats voor de patiënten die behandeld worden met het betreffende geneesmiddel.
- Verruiming van het beleidskader is nodig om deze fase mogelijk te maken.
- **Fase 2: regulier traject:** Aan het eind van fase 1 beoordeelt het Zorginstituut aan de hand van de dan beschikbare onderzoeksmetho-

diek en bijbehorend beoordelingskader, of er voldoende data zijn voor een oordeel over de effectiviteit en een pakketadvies. Is dit op grond van de dan beschikbare data (nog) niet mogelijk, dan kan de leverancier een voorstel indienen voor vervolgonderzoek binnen een regulier traject voor voorwaardelijke toelating. Dit voorstel wordt getoetst aan het beleidskader zoals vastgelegd in de Kamerbrief van oktober 2019. Ook in die fase heeft de patiënt verzekerde toegang tot het middel.

### **Randvoorwaarden**

Alle overige randvoorwaarden voor de voorwaardelijke toelating geneesmiddelen zoals neergelegd in de Kamerbrief van oktober 2019 gelden onverkort ook voor fase 1 van een traject van voorwaardelijke toelating van tumor-agnostische geneesmiddelen.<sup>2</sup> Zo moet de leverancier zich committeren aan een verlaagde prijs voor het middel gedurende dit traject, door het afsluiten van een financieel arrangement met het Ministerie van VWS. Ook wordt een convenant gesloten met de leverancier, beroepsgroep en patiëntenorganisaties, met daarin onder meer afspraken over een duidelijke exit-strategie bij (voortijdige) beëindiging van een traject van voorwaardelijke toelating, en afspraken over communicatie naar de patiënten. Daarnaast geldt als harde randvoorwaarde dat het totale traject van de voorwaardelijke toelating voor tumor-agnostisch middelen in beginsel maximaal zeven jaar mag duren, en bij uitzondering maximaal veertien jaar.

Deze tijdelijke verruiming van het beleid wordt geëvalueerd binnen de bestaande vijfjaarlijkse beleidsevaluatie van het beleidskader voor de voorwaardelijke toelating geneesmiddelen.

De Minister voor Medische Zorg,  
T. van Ark

---

<sup>2</sup> Kamerstuk 29 477, nr. 621.