



Voorburg, 20 mei 2016

Geachte leden van de Wetenschappelijke Adviesraad,

Op maandag 23 mei 2016 bespreekt u het farmaco-economisch rapport over het medicijn Eculizumab voor mensen met het atypisch Hemolytisch Syndroom (aHUS). U baseert zich daarbij op de farmaco-economische analyse zoals ingediend door producent Alexion. Ondanks herhaaldelijk verzoek hebben wij dit rapport niet mogen ontvangen. Daarom kan het zijn dat deze brief achteraf onnodig blijkt te zijn geweest. Maar uitgaande van de analyse die Alexion opleverde voor de beoordeling van Eculizumab bij PNH voorspelt dit niet veel goeds voor de aHUS patiënt. Wij maken ons dus bij voorbaat grote zorgen die het Zorginstituut niet weg heeft kunnen/willen nemen. Het gebrek aan transparantie over de stukken die u ter voorbereiding op uw vergadering van aanstaande maandag ontvangt zijn hier zeker debet aan.

Omdat het denkbaar is dat u, uw advies moet baseren op een onvolledig en methodologisch twijfelachtig rapport van de farmaceut richten wij ons rechtstreeks tot u. Wij roepen u met klem op om:

- met open vizier uw vergadering in te gaan. Te meer omdat er duidelijke verschillen zijn in het gebruik van Eculizumab voor PNH en aHUS. Dat wat u constateerde met betrekking tot PNH hoeft niet vanzelfsprekend te gelden voor aHUS.
- de bewijslast niet bij de patiënt te leggen. Als er zaken ontbreken of onvoldoende onderbouwd zijn door Alexion, betekent dit niet dat gegevens niet voorhanden of via onderzoek te verkrijgen zijn. Wij verzoeken u met klem om met betrekking tot gegevens zoals verbeteren van de kwaliteit van leven, productiviteitswinst, totale te verwachte kosten, etc. zelf onderzoek te (laten) doen en niet zonder meer af te gaan op de gegevens die Alexion aanlevert. Het expertisecentrum Zeldzame Nierziekten van het Radboud UMC kan u hiervoor de meeste actuele en relevante gegevens aanleveren.
- de uitkomsten van het belangrijke werk dat het door de minister aangewezen expertisecentrum van het Radboud UMC uit eigen beweging startte als basis te gebruiken voor uw advies. Dit expertisecentrum doet een studie naar het gebruik van Eculizumab bij mensen met aHUS, onafhankelijk van het behandeladvies van de producent.



Samen met een landelijke nefrologenwerkgroep ontwikkelden zij een behandelprotocol met daarin duidelijke start- en stopcriteria. Dit protocol wijkt zeer waarschijnlijk essentieel af van het dossier/rapport zoals ingediend door Alexion, waarin staat beschreven dat patiënten levenslang het medicijn moeten gebruiken, met een interval van twee weken tussen iedere gift. Uit studie door het Radboud blijkt dat dit niet waar is. Uitgezocht is dat de intervalperiode tussen de giften sterk verlengd kan worden én dat patiënten vrijwel allemaal veilig kunnen stoppen na een beperkte periode van enkele maanden. Hierdoor wordt de behandeling nu al vele miljoenen goedkoper. De verwachting is dat de onderzoeksstudie na afronding zal uitwijzen dat de behandeling met gepersonaliseerde toediening tot verdere kostenverlaging zal leiden. Na een kort telefonisch onderhoud op 10 mei j.l. met het Radboud UMC is het Zorginstituut inmiddels op de hoogte van de Nederlandse aanpak en de resultaten.

- openbaarmaking van de stukken die voor uw vergadering door het zorginstituut zijn voorbereid. Ondanks een verzoek aan beleidsmedewerkers van het Zorginstituut om inzicht te krijgen in de analyse van Alexion hebben wij dit rapport niet mogen ontvangen. Dit rapport is zo bepalend voor uw advies, dat de aHUS patiënt in Nederland recht heeft op inzicht.

U heeft allen uw sporen verdiend in het medische vak of in de zorg. Omdat aHUS zo'n zeldzame ziekte is en u geen van allen nefroloog bent, is de kans waarschijnlijk erg klein dat u ooit een patiënt heeft gesproken. Daarom (en hopelijk ten overvloede) willen wij u er nogmaals op wijzen dat Eculizumab op dit moment de enige *lifeline* is die mensen met aHUS hebben. De manifestatie van de ziekte leidt zonder adequate behandeling voor vrijwel iedereen tot acuut, onomkeerbaar nierfalen. Bij nierfalen worden mensen afhankelijk van een nierfunctievervangende therapie (transplantatie of dialyse). Omdat er nog een groot tekort aan donornieren is (wachttijd voor een post-mortale nier is bijna 4 jaar), zal dat vaak dialyse zijn. Dialyse betekent een enorme aanslag op kwaliteit van leven en het lichaam. Onderzoek leert dat per jaar 18% van de dialyserenden overlijdt. Ook is dialyse een enorm dure behandeling die per patiënt per jaar ongeveer €80.000 kost. Mensen die afhankelijk zijn van dialyse kunnen vrijwel nooit meer een normaal werkzaam leven leiden. Hun leven staat in het teken van de dialyse.

De taak die u op u heeft genomen door zitting te nemen in de Wetenschappelijke Adviesraad is een ongelooflijk belangrijke. Uw advies zal bepalend zijn voor de levens van kinderen en volwassenen in Nederland. Dat Eculizumab op de agenda staat voor herbeoordeling veroorzaakt al genoeg onrust bij de patiënt, maar is blijkbaar onvermijdelijk. Echter, dat een mogelijk negatief advies op verkeerde of onvolledige gegevens gebaseerd zou kunnen worden, daar zal geen patiënt, geen naast familielid ooit enig begrip voor kunnen opbrengen. Het zal bovendien niet uit te leggen zijn aan 'het Nederlandse publiek'.



Het zorginstituut verwijst ons naar de inspraakrondes voor belanghebbenden die nog volgen de komende maanden. Wij zien dit als een onacceptabel zwakte bod. Uw rapport is dan immers al geschreven. Wij begrijpen werkelijk niet waarom u niet direct met de – speciaal voor de Nederlandse situatie – beschikbare feiten uw overleg kunt starten. Ons land kent vele procedures, uw commissie ongetwijfeld vele principes. Maar als het mogelijk is mensenlevens te redden en kinderen een toekomst te bezorgen, dan laten we deze mogelijkheid toch niet voorbijgaan door ons willens en wetens foutief en onvolledig te laten informeren door een Amerikaanse farmaceut met (inmiddels) andere belangen dan die van de patiënt? Nergens staat vast dat u dat rapport als uitgangspunt moet nemen. Dat dat 'nu eenmaal altijd zo gebeurt' is des te meer reden om hier nu eens van af te wijken. Wij hebben in deze een groot vertrouwen in uw wijsheid en uw onafhankelijke positie.

aHUS Nederland staat voor transparantie rond het beoordelingsproces van Eculizumab. Om deze reden zullen wij deze brief tevens publiceren op onze website www.ahus.nl.

Wij vertrouwen op uw kennis en wijsheid en zien uw reactie op deze brief graag tegemoet.

Met vriendelijke groet namens aHUS Nederland,

Margreet de Vries & Wim Altena
margreet@ahus.nl wim@ahus.nl