



Mevrouw P. Pasma
Plv. Secretaris Wetenschappelijke Adviesraad (WAR)
Zorginstituut Nederland, Sector Zorg
Postbus 320
1110 AH Diemen

Voorburg, 27 juli 2016

Geachte leden van de Wetenschappelijke Adviesraad,

Hartelijk dank voor het toezenden van de conceptrapporten en het bieden van de gelegenheid om schriftelijk te reageren op de rapporten.

Als patiënten voelen wij ons gesteund door een zeer betrokken en professionele beroepsgroep. Regelmatig treden we met hen in overleg. Met vertrouwen volgen wij hen in hun zoektocht naar gepast gebruik van Eculizumab, waarbij stoppen in principe voor iedere patiënt vroeg of laat aan de orde komt. De onzekerheid en angst dat de aHUS bij zwangerschap, een griepje of infectie in alle hevigheid en met alle gevolgen van dien terug kan komen nemen wij als (ouders van) patiënten op de koop toe. Dat is ónze bijdrage aan het betaalbaar houden van de zorg in Nederland.

De Nederlandse zorgpraktijk

De landelijke werkgroep aHUS, waarin van alle academische ziekenhuizen een nefroloog en een kindernefroloog vertegenwoordigd is, functioneert feitelijk al conform het weesmiddelen-arrangement zoals beschreven in uw rapport Pakketbeheer Geneesmiddelen van oktober 2015. Deze landelijke werkgroep staat onder voorzitterschap van het Expertisecentrum Zeldzame Nierziekten. Op eigen initiatief, zonder betrokkenheid van fabrikant (en uw instituut), is deze werkgroep aan de slag gegaan met de afzonderlijke onderdelen van het arrangement:

- Indicatiecommissie (= de landelijke werkgroep)
- Met de ZonMw studie CURE-iHUS op te zetten & te monitoren gedurende vier jaar:
 - landelijk register
 - start- en stopcriteria
 - gebruik van Eculizumab
 - het verzamelen van data die noodzakelijk zijn voor een goede kosteneffectiviteitsanalyse

Patiënten zijn door nauwe afstemming met de Nierpatiëntenvereniging Nederland ook nadrukkelijk betrokken bij de studie.



Ervaringen met het Zorginstituut

Voordat wij onze inhoudelijke reactie op de rapporten geven, vinden wij het – ‘om de lucht te klaren’ - van belang een aantal ervaringen met uw instituut met u te delen.

- Als patiënten hebben wij de procedure tot nu toe als bureaucratisch ervaren. We hebben een sterk gevoel dat de patiënt met een zeer zeldzame chronische ziekte geen positie heeft in de wijze waarop uw instituut procedures toepast en uitlegt. De gesprekken met mevrouw Van Saase en mevrouw Pasman hebben wij weliswaar als prettig ervaren en gewaardeerd, maar hebben dit gevoel niet weg kunnen nemen.
- De fabrikant van Eculizumab is voor patiënten als een drugsdealer. Hij wil zoveel mogelijk van ‘het spul’ kwijt en wil ons laten geloven dat we dat ook nodig hebben. In onze persoonlijke strijd om zo min mogelijk hiervan binnen te krijgen en zo gezond, maar ook zo onafhankelijk mogelijk door te blijven leven voelen wij ons gelukkig gesteund door de beroepsgroep die haar nek uitsteekt. Enige interesse, waardering en erkenning van uw instituut voor onze strijd en de kennis en ervaring van de beroepsgroep hebben wij tot nu toe gemist.
- De onzorgvuldige wijze van communiceren over de kosten van Eculizumab voor aHUS, terwijl u in uw rapport zelf aangeeft dat het dossier van de fabrikant onvolledig is, heeft ons keer op keer verbaasd. Ook uitlatingen van uw medewerker de heer van der Graaff in een column in het maandblad van het Zorginstituut hebben we als kwetsend ervaren. Zeker omdat wij er als patiënten juist ongelooflijk veel energie en tijd hebben moeten steken om uw instituut zicht te geven op de beschikbare kennis. Ons beschuldigen van ‘geen zicht’ is dus niet alleen kwetsend, maar getuigt juist van een totaal gebrek aan zicht op wat er echt speelt in de Nederlandse zorgpraktijk.

Inhoudelijke reactie aHUS Nederland

Onze reactie bestaat uit drie onderdelen:

1. De gevolgde procedure
2. De rapporten
3. Het vervolg: hoe nu verder

1. DE GEVOLGDE PROCEDURE

Zoals wij ook in het gesprek van dinsdag 28 juni met mevrouw Pasman en mevrouw Van Saase bespraken plaatsen wij grote vraagtekens bij de procedure van beoordeling. Het belangrijkste knelpunt is dat u weliswaar aangeeft uit te willen gaan van de Nederlandse praktijk, maar blijft vasthouden aan de input van de fabrikant als het te beoordelen dossier. U geeft aan dat dit ‘nu eenmaal is zoals vastgelegd in procedures’. Echter, nergens in rapporten en procedurebeschrijvingen is terug te vinden dat het dossier van de fabrikant startpunt van beoordeling *moet* zijn. Dat dit in de praktijk altijd zo is geweest, wil niet zeggen dat het ook in de toekomst op deze wijze moet blijven gebeuren.



Dit is van groot belang omdat de fabrikant:

- tot dusverre niet heeft laten zien het beoordelingsproces serieus te nemen en de door u opgevraagde onderbouwing aan te (willen) leveren. Dit is niet in het belang van de farmaceut, zij zullen dit ook zeer waarschijnlijk niet doen;
- niet beschikt over de gegevens uit de Nederlandse praktijk. De beroepsgroep heeft bij de introductie van Eculizumab niet meegewerkt aan het verzoek van de farmaceut om patiëntgegevens op te nemen in het register van Alexion. Bovendien is het expertisecentrum tot dusverre niet benaderd door de fabrikant om gegevens op te leveren;

Om deze reden vragen wij u nogmaals met klem om uit te gaan van de Nederlandse praktijk en hiervoor het Expertisecentrum Zeldzame Nierziekten in de gelegenheid te stellen aan te tonen dat door het toepassen van de door de werkgroep ontwikkelde richtlijn zij samen met patiënten tot een kosteneffectieve aanpak kunnen komen, die 75% goedkoper is dan de richtlijn van de fabrikant.

2. DE RAPPORTEN

Onze reactie spitsen wij toe op het farmaco-economisch rapport, omdat we verwachten dat uw eindoordeel in sterke mate bepaald wordt door of u al dan niet de behandelrichtlijn van het Expertisecentrum centraal ('de Nederlandse praktijk') stelt in uw beoordeling. Van de artsen van het Expertisecentrum begrepen wij zij zich op hoofdlijnen kunnen vinden in het farmacotherapeutisch rapport, maar nog wel inhoudelijke aanvullingen hebben (getallen, gebruikte studies, uitleg plasmaresistent/sensitief). We sluiten ons graag aan bij deze aanvullingen.

Voordat wij ingaan op het farmaco-economisch rapport, sommen wij hieronder een aantal passages op uit de verschillende documenten en e-mails omtrent de procedure van de beoordeling van (wees)geneesmiddelen.

“Daarom is kosteneffectiviteit nooit het enige criterium waarop wij onze adviezen baseren. Elk advies is een integrale afweging, waarin we de pakketprincipes (kosten)effectiviteit, noodzakelijkheid en uitvoerbaarheid en andere relevante argumenten betrekken. Ook zijn we ons bewust van de methodologische kwetsbaarheden van kosteneffectiviteitanalyses. Daarom blijven we ons altijd verdiepen in de informatie achter de cijfers en betrekken we onzekerheden in onze afwegingen.”

“Bij de farmaco-economische analyse willen wij zoveel mogelijk uitgaan van de situatie in de Nederlandse praktijk. Mochten de rapporten naar het oordeel van een partij niet voldoende aangepast zijn aan de Nederlandse situatie dan is tijdens deze consultatie de mogelijkheid voor alle partijen hier input op te leveren.”



“De vaak ongunstige kosteneffectiviteit van weesgeneesmiddelen leidt echter niet per definitie tot een negatief advies voor toelating tot het basispakket. Er kunnen argumenten zijn om een ongunstige kosteneffectiviteit te accepteren. Voorbeelden van argumenten die een rol bij deze afweging spelen zijn of het geneesmiddel het enige geneesmiddel voor de doelgroep is, de mate waarin de kwaliteit van leven verbetert en of er voldoende vertrouwen bestaat dat de kosteneffectiviteit te verbeteren is.”

Bovenstaande passages zijn van belang omdat zij openingen bieden om op een andere wijze om te gaan met het dossier van de fabrikant. De verwachting is dat de fabrikant zich niet in de kaarten laat kijken en de Nederlandse behandelrichtlijn niet zal omarmen. Immers, doen zij dit wel, dan moeten zij wereldwijd hun omzetverwachting met 75% bijstellen. Een boodschap waar geen aandeelhouder blij mee zal zijn. We roepen u dan ook op om de ruimte die uw eigen richtlijnen bieden volop te benutten en vanuit uw eigen instituut actief op zoek te gaan naar ‘informatie achter de cijfers’, de Nederlandse praktijk als uitgangspunt te nemen en waar nodig zelf onderzoek te initiëren of te bekostigen om de juiste informatie boven tafel te krijgen.

Opmerkingen farmaco-economisch rapport

- Algemeen: overall waar over bedragen wordt gesproken kunt u ervan uitgaan dat deze te hoog zijn ingeschat omdat zij niet uitgaan van de Nederlandse praktijk. De werkelijke kosten liggen circa 75% lager. Deze kanttekening zou vooraf gemaakt moeten worden.
- Pagina 22, regel 43 – pagina 23 regel 8: Er staat dat de aanvrager de evaluatie vanuit perspectief van het Nederlandse zorgstelsel heeft uitgevoerd. Hier zetten wij vraagtekens bij. De aanvrager heeft geen beschikbaarheid over een register waarin de Nederlandse patiënten zijn opgenomen en kán derhalve geen goede berekening maken.
- Pagina 36, paragraaf 2.4.2.3, Kwaliteit van leven: omdat hier wederom niet gerekend wordt met de Nederlandse behandelrichtlijn (geen dagopnames meer door stoppen gebruik Eculizumab) zullen de uitkomsten niet conform de Nederlandse praktijk zijn. Ook als de berekening methodologisch juist zou zijn, dan nog zal de uitkomst niet juist zijn.
- Pagina 41, conclusie: Eens dat de werkelijke behandelduur niet levenslang, iedere twee weken is. Het Expertisecentrum kan wel een volledig beeld geven van de maatschappelijke kosten. Zeker met het door ZonMW gefinancierde onderzoek CURE-iHUS is er over vier jaar inzicht in en een sterke case voor een kosteneffectieve behandeling.
- Pagina 48, conclusie: de uitspraak “wel is duidelijk dat de ICER boven de referentiewaarde van 80.000 euro per QALY uitkomt” klopt niet. Als er zulke grote tekortkomingen zijn in het rapport zijn wij van mening dat u zich zou moeten onthouden van iedere conclusie. Niet ten positieve, niet ten negatieve. Wat we wel weten is dat op basis van de huidige Nederlandse praktijk de kosten in ieder geval lager zijn. Verwacht wordt dat door aanvullend onderzoek en verdere aanpassing van het doseringsschema een verdere verbetering van de kosteneffectiviteit mogelijk is. Hierdoor is in de toekomst een ICER van 80.000 euro per QALY niet onrealistisch.



- Pagina 53, regel 32: “er zijn meerdere scenario-analyses te bedenken die informatief zouden zijn, maar die zijn niet geleverd”. Dit klopt niet. Al bij het startgesprek in januari 2015 is aangegeven dat er een Nederlandse behandelrichtlijn in de maak is. Pas nadat het expertisecentrum zelf herhaaldelijk contact heeft gezocht met het Zorginstituut heeft er in mei 2016 (!) een kort (20 minuten durend) telefoongesprek plaatsgevonden tussen het expertisecentrum en het Zorginstituut. Er is door het Zorginstituut pas voor het eerst gericht input gevraagd bij deze consultatieronde naar aanleiding van het conceptrapport van de WAR. Het Expertisecentrum heeft vervolgens even veel tijd gekregen om de gegevens op te leveren als iedere andere partij. Dat in zo’n korte tijd niet alle berekeningen kunnen worden uitgevoerd behoeft geen uitleg.
- Pagina 54, regel 35: gebruik alle gegevens die de beroepsgroep voorhanden heeft en laat niet de (onbetrouwbare) fabrikant “onze” gegevens interpreteren.
- Pagina 56, eindconclusie: hier moet op zijn minst een zin worden toegevoegd over de voorlopige gegevens van het Expertisecentrum die wijzen op een grote kostenreductie. Ook toevoegen dat de bedragen hier genoemd niet gebaseerd zijn op de Nederlandse praktijk, maar op de eigen behandelrichtlijn van de fabrikant die in Nederland niet gevolgd wordt.

3. VERVOLG: HOE NU VERDER

Gezien de verwachting dat er binnen vier jaar een bewezen kosteneffectieve behandeling gerealiseerd kan worden pleiten wij voor een voorwaardelijke toelating van vier jaar van Eculizumab tot het basispakket. In deze vier jaar kunt u met de beroepsgroep en patiënten een weesgeneesmiddelen-arrangement vaststellen. Dit is een vrij gemakkelijke procedure omdat de landelijke werkgroep aHUS feitelijk al op deze wijze functioneert, in nauwe samenspraak met patiënten. In tegenstelling tot wat u ons in het gesprek van 29 juni jl. mededeelde is het wel degelijk mogelijk om bij twijfel over de kosteneffectiviteit over te gaan tot een voorwaardelijke toelating. Wij verwijzen daarvoor naar passages in uw eigen richtlijnen:

“Indien de kosteneffectiviteit van het geneesmiddel gepaard gaat met grote onzekerheid, en/of wanneer er vragen zijn over de (verwachte) toepassing van een geneesmiddel in de dagelijkse praktijk kan gekozen worden voor een traject van ‘voorwaardelijke financiering’. Het geneesmiddel wordt dan voorwaardelijk toegelaten tot het verzekerde pakket, onder de voorwaarde dat de fabrikant dataverzameling door belanghebbenden stimuleert en ondersteunt (‘uitkomstenonderzoek’ of register). Bovendien moet het op voorhand waarschijnlijk zijn dat de resultaten van het uitkomstenonderzoek ertoe leiden dat de kosteneffectiviteit bij de VF-beoordeling wel voldoende kan worden onderbouwd.”



“Gegevens die verzameld worden in het uitkomstenonderzoek kunnen zowel ten behoeve van vragen over de kosteneffectiviteit als over gepast gebruik gaan. Vragen over gepast gebruik kunnen onzekerheden als toepassing in de dagelijkse Nederlandse praktijk beslaan, zoals de juiste indicatiestelling, de duur van de behandeling of dosering. (..) Voorwaarde is dat het haalbaar is om de ontbrekende informatie binnen maximaal vier jaar te verkrijgen.”

In het geval van Eculizumab bij aHUS hoeft de fabrikant de belanghebbenden niet te stimuleren, omdat de beroepsgroep en patiënten zelf initiatief hebben genomen om een onderzoek te starten. We pleiten er – onder andere uit privacyoverwegingen – overigens voor een register niet door de fabrikant te laten beheren. Het Expertisecentrum kan u meer inzicht verschaffen in de onderzoeksofzet en methodologie van het CURE-iHUS onderzoek. Door dit vooraf naast uw richtlijnen voor een ‘uitkomstenonderzoek’ te leggen krijgen we inzicht welke aanvullende onderzoeksvragen wellicht nog meegenomen moeten worden, om over vier jaar een volledig dossier aan de WAR te kunnen overleggen. Op basis van de resultaten tot dusver zien wij een T=4 beoordeling vol vertrouwen tegemoet.

Uw advies kan bepalend zijn voor de levens van kinderen en volwassenen met aHUS en hun naasten. Dat Eculizumab op de agenda staat voor herbeoordeling veroorzaakt al genoeg onrust bij patiënten. Echter, dat een mogelijk negatief advies gebaseerd zou kunnen worden op een schijnbaar gebrek aan de juiste informatie, terwijl dit wel voorhanden is, daar zal geen patiënt, geen naast familielid ooit enig begrip voor kunnen opbrengen. De aanpak van de beroepsgroep in nauwe samenwerking met patiënten en onafhankelijk van de fabrikant, kan bovendien als voorbeeld dienen voor het betaalbaar houden van de zorg in Nederland.

Wij hopen dan ook dat u de mogelijkheid en de tijd neemt u te verdiepen in de Nederlandse praktijk van de behandeling van aHUS en dit bepalend laat zijn bij uw eindoordeel. Zo kunnen we gezamenlijk zorgen voor het beschikbaar houden van de enige *lifeline* die aHUS patiënten op dit moment hebben én tegelijkertijd een bijdrage leveren aan het betaalbaar houden van de zorg in Nederland.

Wij zien uit naar uw reactie.

Met hartelijke groet,

Wim Altena
wim@ahus.nl
aHUS Nederland

Margreet de Vries
margreet@ahus.nl
aHUS Nederland

Bijlagen: Persoonlijke ervaringen van twee patiënten (ook te lezen op www.ahus.nl): Wim, 61 jaar & Rosa 3 jaar



WIM, 61 JAAR

Een verhaal over een familie

Hoe het begon

Mijn verhaal begint op 18 juni 1968. Ik ben dan 13 jaar oud. Op die dag overlijdt mijn tante op 44-jarige leeftijd tijdens een dialyse. Een jaar eerder is ze plotseling ziek geworden. Diarree, overgeven, etc. Diagnose: terminale nierinsufficiëntie. Dialyse is de enige redding. Die redding blijkt dus van korte duur te zijn. Ook dat jaar verlenging van haar leven wordt door haar dochter Cisca omschreven als een jaar vol ellende, met herhaalde ziekenhuisopnames. Een zielig hoopje mens, zo omschrijft ze haar moeder in die fase. Het verhaal gaat verder op 13 mei 1981. De sterfdag van mijn moeder, 59 jaar oud. Ik ben dan zelf 26 jaar. Mijn moeder werd ziek in 1975. Het duurt lang voordat de huisarts haar in het ziekenhuis laat opnemen. Hij heeft moeite met het stellen van de diagnose, de klachten van mama zijn te vergelijken met die van haar overleden zusje. In het Radboud UMC in Nijmegen stelt men dan snel vast dat het ook hier gaat om terminale nierinsufficiëntie. Oplossing dialyse dus. Drie dagen per week ligt zij 8 uur lang aan een machine. De dagen tussen die dialyses is ze vaak erg moe en ziek. Een donornier, die ze na een transplantatie ontvangt onderbreekt de ellendige periode in 1980 voor even. Helaas werkt de nier nog geen vol jaar en valt ze weer terug naar de dialyse. Kort daarna sterft ze aan een hartstilstand. Natuurlijk vragen wij ons als familie in die tijd af of er sprake is van een erfelijke afwijking, maar artsen geven aan dat wij ons daar geen zorgen over hoeven te maken.

Zelf aan de beurt

Op zaterdag 24 juni 2006 lig ik zelf aan de dialyse in het Sint Antoniusziekenhuis in Nieuwegein. Ik ben ziek teruggekomen van een vakantie op Menorca met mijn gezin. Diagnose: terminale nierinsufficiëntie. De dagen die volgen staan in het teken van onderzoek. Het blijkt moeilijk om een oorzaak te vinden. Waardoor zijn mijn nieren gestopt met werken? Hoe kan dat zo snel zijn gebeurd? Eerst wordt gedacht aan een voedselvergiftiging, maar dat kan al snel worden uitgesloten. Zeker lijkt dat mijn plotseling extreem hoge bloeddruk er iets mee te maken heeft. Een van de artsen denkt aan aHUS, heeft daarover gelezen en wil plasmafiltratatie toepassen. De andere artsen in het team negeren zijn voorstel. Het effect is dat ik vanaf dan afhankelijk ben van dialyse. Op 20 februari 2008 krijg ik een nier van mijn broer Arie. De transplantatie vindt plaats in het UMC in Utrecht. Totale euforie natuurlijk, nadat dit succesvol is gebeurd. Helaas na 20 maanden, gaat het weer mis. Ook plasmafiltratatie, waar toe men in het UMC Utrecht wel onmiddellijk overgaat, levert niet het gewenste effect op. Vanaf november 2009 ben ik weer dialyse patiënt. Uit genetisch onderzoek blijkt dat ik een erfelijke afwijking heb in mijn complementsysteem. Het is zeer waarschijnlijk dat ook mijn moeder en mijn tante deze erfelijke afwijking hadden. A-typische Hus dus!



Eculizumab

Langzaam komt er meer kennis op het gebied van aHUS. Tot dan toe sluit die kennis de kans op een nieuwe transplantatie voor mij uit! Maar dan in 2011 wijst de nefroloog in het UMC, dr Franka van Reekum, mij op een trial met Eculizumab in het Radboud UMC. Ik meld mij bij prof. Wetzels, maar ben te laat om nog in die trial mee te draaien. Wel laat hij mij weten dat als Eculizumab beschikbaar komt, hij ook voor mij weer kansen ziet op een transplantatie. Belangrijk is wel dat er een levende donor is. En laat ik die nu hebben. Mijn zus Joke is afgefallen omdat het door de erfelijkheid van aHUS niet verstandig is binnen de familie te transplanteren. Maar mijn beste maatje Germa laat weten dat ik op haar kan rekenen. Zij heeft dat zeer zorgvuldig met haar man en dochters afgestemd. En omdat die groen licht geven, is er bij haar geen twijfel.

Het duurt nog even voordat het zover is. Er speelt zich een discussie tussen Wetzels, de Raad van Bestuur van het Radboud MC en de verzekeraar of het dure Eculizumab wel beschikbaar kan komen en wie dat dan wel moet betalen. Uiteindelijk belt Wetzels mij met de mededeling dat hij de transplantatie wil doen en hij doet me de toezegging dat als er iets mis gaat met de transplantatie nier ik dan Eculizumab kan krijgen.

Hij wijkt daarmee af van de instructies van *Alexion*, de producent van het medicijn die voorschrijft dat je het middel al voor de operatie moet krijgen en daarna levenslang moet gebruiken. Ik heb vertrouwen in Wetzels, zijn kennis, inzichten en integriteit en durf het aan. 15 augustus 2013 is de transplantatie. Iets minder euforie deze keer, maar alles gaat goed. Gelukkig ook met donor Germa!

Toekomst

Als ik dit schrijf is het 11 mei 2016. Het gaat nog steeds goed met me. Ik heb geen Eculizumab nodig gehad tot nu toe. Op individueel niveau is dat al een besparing van zo'n 1,5 miljoen euro ten opzichte van de voorgeschreven behandelwijze van *Alexion*. En dan neem ik nog niet eens mee dat mijn ziektekosten, simpelweg door het wegvallen van de dialyse daalden van zo'n 100.000 euro in 2013 tot 4.500 euro in 2014.

Kwaliteit van leven

Het feit alleen al dat ik toegang heb voor als het misgaat zorgt er voor dat mijn kwaliteit van leven en ook dat van mijn gezin enorm is toegenomen. Dat ging overigens niet zomaar. De reactie van mijn vrouw na deze succesvolle transplantatie was een fikse burn-out, mijn jongste zoon liep een angsttrauma op. Beiden zijn mede door psychologische behandelingen weer opgekrabbeld. Mijn twee oudste kinderen, Lisa (25) en Bas (24), zijn inmiddels ook getest en blijken dezelfde genetische afwijking te hebben. Natuurlijk was dat een klap. Maar zij zijn inmiddels bekend bij het expertisecentrum Radboud MC en kunnen dus bij de geringste zorg over het actief worden van aHUS onmiddellijk bij de specialisten terecht. Het beschikbaar zijn van en toegang hebben tot Eculizumab geeft ze de zekerheid dat zij niet in een dialyse-situatie terecht hoeven te komen. De twee jongste kinderen, Kiki (14) en Dirk (12) zijn nog niet getest, maar wonen nog thuis en staan dus onder de verscherpte controle van mijn vrouw en mij.



Maar de discussie die de komende maanden gevoerd wordt door het Zorginstituut heeft grote gevolgen. Want was als het advies negatief wordt en de minister het overneemt? Dan valt alle zekerheid, die het medicijn ons biedt, weg.

In alle hevigheid realiseer ik me dat:

- mijn moeder en haar zus aan de ziekte zijn overleden;
- ik mijn baan erdoor ben kwijtgeraakt;
- mijn vrouw een halve verpleegkundige is geworden, die mij 's nachts hielp thuis dialyseren;
- Ik zoveel te veel dagen van mijn leven in dialysecentra heb doorgebracht;
- Mijn broer mij een nier heeft gegeven die door de ziekte is gesneuveld;
- Dat met de nier die ik van mijn beste vriendin Germa heb gekregen ook kan gebeuren;
- Dat mijn oudste kinderen ook de genetische afwijking hebben en hun perspectief volledig anders wordt.

Het scenario doemt op dat ik, of waarschijnlijk iemand anders dan, eenzelfde zwart verhaal over mijn kinderen en mij schrijft als dat ik over mijn moeder, haar zus en mijzelf over de periode 2006-2013 schreef. Dat verleden kunnen we niet veranderen, natuurlijk weet ik dat. Maar de toekomst kan gelukkig wel heel anders zijn. Als patiënten werken we gezamenlijk met de artsen van het expertisecentrum prachtig samen en realiseren we geweldige sprongen voorwaarts in de kosteneffectiviteit van de behandeling aHUS. De behandeling die nu nog afhankelijk is van Eculizumab. Het lijkt waarschijnlijk dat Alexion en minister Schippers het strijdperk in treden voor een robbertje vechten. Zij hebben beiden dezelfde gijzelaar, namelijk de aHUS patiënt. Zijn zij beiden bereid die te offeren? Ik mag toch hopen van niet!

Wim Altena, is mede-initiatiefnemer van aHUS Nederland



ROSA, 3 JAAR

Uw dochter is heel erg ziek

Op woensdag 29 oktober 2014 veranderde ons leven voorgoed op een manier die je zelfs je ergste vijand niet toewenst. Nadat onze dochter Rosa van toen een jaar en drie maanden al ruim een week ziek was van een fikse luchtweginfectie belandden we voor de derde keer in een week weer in een ziekenhuis. Reden: Rosa werd wakker met een opgezwollen gezicht, handen en voeten en leek 'van de wereld'. Twee dagen eerder waren we met dezelfde klachten ook al in het ziekenhuis beland en een week daarvoor op Ibiza met een erg benauwde Rosa. Nu bleek dat ze ernstige bloedarmoede en eiwit in haar urine had. En haar bloedwaarden waren óf veel te hoog, óf veel te laag. Haar toestand verslechterde met de minuut. Het was rond een uur of 4 op deze woensdagmiddag dat we naar de familiekamer werden geroepen door de arts van de spoedeisende hulp. Dan weet je genoeg, je maag draait om en je hoofd slaat op hol. "Uw dochter is heel erg ziek", dat zinnetje hoor ik nog heel vaak echoën in mijn hoofd. We kregen te horen dat iets in haar lichaam haar rode bloedcellen kapotmaakt, zodra ze zijn aangemaakt door haar beenmerg. Bloedwaarden waren ronduit slecht, urinewaarden ook en het kalium in haar bloed steeg tot gevaarlijke hoogte. Contact met het Sophia Kinderziekenhuis in Rotterdam was al gelegd, het wachten was op een beschikbaar bedje. Rosa moest zo snel mogelijk een bloedtransfusie, dat kon niet meer wachten tot we in Rotterdam zouden zijn.

Diagnose aHUS

Ons lieve, altijd vrolijke meisje was niks meer waard. Ze lag alleen maar bij mama, volledig uitgeput. Rond 20.30 op die woensdag kwam het bericht dat we toch nog naar Rotterdam zouden moeten gaan, per ambulance. Reden: het kaliumgehalte was gestegen tot gevaarlijke hoogte. Het werd gevaarlijk voor haar hartje. Dit betekende intensive care. We kwamen rond 22.45 aan in het Sophia. Toen pas drong de ernst echt door. Prikken, infusen, hartbewaking. Een megahoge bloeddruk 158/110. Deze bloeddruk was een paar dagen eerder door het ziekenhuis in onze stad ook al gemeten, maar werd als foute meting afgedaan, "want het was zo hoog". De eerste arts die wij spraken in Rotterdam zette ons direct met beide voeten op de grond. Ze vermoedden aHUS. Slechts 5 tot 10 kinderen in Nederland hebben deze ziekte. Een toekomst van regelmatige behandelingen in het ziekenhuis om haar nieren gezond te houden ligt voor ons.... We horen het gelaten aan.

Machteloos

Een geweldig team van ongelooflijk toegewijde verpleegkundigen en artsen ontfermden zich over onze lieve Rosa. Langzaam daalde het kalium naar acceptabele waarden, haar bloeddruk bleef veel te hoog en ze hield nog veel vocht vast. Eten en drinken werd in de ban gedaan. De volgende dag begon het circus pas echt. Echo van buik, echo van hart. Artsen die iedere keer maar weer aan haar buikje willen voelen, naar haar hart luisteren. Dit om allerlei andere aandoeningen uit te kunnen sluiten. Haar hart functioneerde goed, geen vernauwingen van aders, waardoor de hoge bloeddruk te verklaren is, geen gekke dingen te zien in haar organen. Geen andere ziektes dus, die te genezen zijn. Die vrijdag krijgt ze haar eerste nierdialyse.



We hebben die dag net als Rosa een emotionele dag. Niet zozeer die aHUS maakt ons erg verdrietig, want er blijkt een medicijn beschikbaar te zijn die patiënten hun leven teruggeeft. Rosa kan hiermee een nagenoeg normaal leven leiden. Het is meer alles wat zij moet ondergaan wat je hart doet breken. Al die prikken, dat gedoe aan het lijfje van je kind, al dagen niet spelen, niet naar buiten, niet eten, niet drinken. Wij kunnen het belangrijkste dat ouders zouden moeten doen, niet doen: haar beschermen zodat ze veilig is en zich elke dag verder kan ontwikkelen. Het voelt machteloos.

Eculizumab doet wat het moet doen

Zaterdag na de dialyse, krijgt ze voor het eerst Eculizumab. Ze heeft een moeilijke dag, is apathisch, reageert niet en slaapt, slaapt, slaapt. Haar gezicht staat bol van het vocht, haar ogen bijna niet open en haar handjes, voetjes en beentjes opgezwollen. De artsen besluiten nog een dialyse te doen. Elke dag gaat het een beetje beter. Beetje bij beetje dringt het tot ons door dat we door het oog van de naald zijn gekropen. We lezen op internet dat 50% van de patiënten sterft in deze actieve fase. Na een paar dagen krijgt Rosa een tweede dosis Eculizumab. Het is een wondermiddel dat precies doet wat het moet doen: onze dochter teruggeven. We zijn dankbaar dat we in Nederland wonen, waar dit medicijn beschikbaar is en vergoed wordt. Waar super toegewijde artsen en verpleegkundigen samen met jou vechten voor je kind.

Na twee weken wordt Rosa ontslagen uit het ziekenhuis. Aanvankelijk krijgt ze iedere twee weken Eculizumab. Inmiddels, nu anderhalf jaar later zitten we op een ritme van vijf weken. Langzaam maar zeker werken we toe naar een stoppoging. Rosa ontwikkelt zich als de meeste andere kinderen, maar met net iets meer levenslust en positivisme dan gemiddeld. Ze groeit, lacht, eet, rent, knuffelt, schommelt, danst en slaapt. Ze leeft als ieder ander gezond kind. Wij – beiden ondernemer – kunnen ons ook focussen op onze bedrijven. We kunnen ons leven leiden zoals ieder ander. We zien onze vrienden wanneer we willen, we zijn thuis als we zin hebben.

Hoop

Het niet meer vergoeden van Eculizumab betekent voor ons gezin het verschil tussen gewoon leven en een aangepast leven waarin we allemaal moeten ingeven op onze talenten en dromen. In de eerste plaats Rosa, die geen normale schoolcarrière zal hebben, laat staan een volwaardige positie op de arbeidsmarkt kan krijgen. Omdat ze – dan afhankelijk van plasmaferese – vele dagen en nachten in het ziekenhuis door zal brengen en met haar mijn man of ik ook. Haar zusje zal moeten wennen aan de realiteit dat we met regelmaat meer zorg en aandacht aan haar grote zus moeten geven. Ze heeft dan een grote zus die heel vaak in het ziekenhuis is en geen energie heeft om met haar te spelen. Mijn man of ik of wellicht beiden zullen ons beroep niet meer uit kunnen oefenen op het niveau dat we nu doen. Maar dit alles is triviaal, het zal aanpassing vragen, maar is overkomelijk. Het allerbelangrijkste is wel dat Rosa in dit scenario dan simpelweg geen toekomst heeft.



Haar levensverwachting zullen we moeten bijstellen. Stap voor stap zullen haar nieren verder beschadigen, tot ze het niet meer doen en nierdialyse haar enige levenslijn wordt. Niertransplantatie zonder Eculizumab heeft weinig zin. Ook de nieuwe nier zal onherroepelijk aangetast worden.

En wij moeten dan leren leven met de wetenschap dat ons steeds zieker wordende meisje nooit meer beter wordt en minder lang zal leven. En nog veel moeilijker om te accepteren: dat dit onnodig is.

Het positivisme van Rosa is gelukkig aanstekelijk en geeft ons hoop. Hoop dat uiteindelijk kwaliteit van leven belangrijker blijkt te zijn dan het star vasthouden aan onlogische procedures. Hoop dat het Zorginstituut, minister Schippers en Alexion op een mooie zomerdag in de komende maanden de handen ineenslaan en net zo hard vechten voor het leven van onze dochter als de artsen en verpleegkundigen in oktober 2014 op de intensive care van het Sophia Kinderziekenhuis. Hoop dat al die liefde en energie toen niet voor niks is geweest. Ik ben het vertrouwen in hun wijsheid en goedheid nog niet verloren. Nog niet.

Rosa is de dochter van Margreet de Vries, een van de initiatiefnemers van aHUS Nederland