

## Column

# WIE GAAT DAT BETALEN?

**E**en aantal biofarmaceutische bedrijven in Nederland richt zich op de zogenoemde weesgeneesmiddelen, middelen tegen zeldzame ziektes, zoals Gaucher, Fabry, Hunter, Duchenne en Pompe. Het gaat om ziektes die bij minder dan vijf op de tienduizend patiënten voorkomen. De bedrijven, waaronder Genzyme, Pharming en Prosensa, maken meestal gebruik van de zogenoemde weesgeneesmiddelenstatus die hen een zekere exclusiviteit geeft bij het ontwikkelen en op de markt brengen van het middel. Het uiteindelijke doel is uiteraard om de middelen therapeutisch te gebruiken. Is de gezondheidszorg zelf echter al klaar voor al deze nieuwe ontwikkelingen?

Naast de regulatoire hordes op de weg naar de markt doemt een nieuw fenomeen op: wie gaat de innovatieve behandeling betalen? Want, het gaat om zeldzame aandoeningen en dus weinig patiënten en relatief dure middelen. De kosten kunnen oplopen tot

300.000 euro per patiënt per jaar. Het zijn in de meeste gevallen ook nog levensreddende medicijnen, zonder nieuwe middelen blijven deze patiënten overlijden.

De biofarmaceutische en diagnostische industrie boeken snel voortgang bij het screenen van tal van aandoeningen en het ontwikkelen van steeds weer nieuwe en betere medicijnen. Tegelijkertijd is de gezondheidszorg niet voorbereid op de komst van al deze middelen en de laatste wetenschappelijke ontwikkelingen, waaronder genterapie.

De snelle ontwikkelingen in de biofarmaceutische wetenschappen vragen om een translationeel model; bij de start van het onderzoek naar een nieuw middel, moet je al nadenken over het krijgen van toegang tot de markt. Biofarmaceutische bedrijven storten zich terecht op de kansen die life sciences bieden, maar realiseren zich lang niet altijd dat de infrastructuur in de gezondheidszorg, de vergoedingen-

systematiek en de kennis bij beslissers achterlopen bij de wetenschappelijke mogelijkheden. Bedrijven dienen echter van meet af aan te werken aan het verkrijgen van die toegang, ook al is dat pas over 10 of 15 jaar. Gelukkig kosten deze nieuwe medicijnen niet alleen veel geld, maar zullen ze ook enorme kostenbesparingen opleveren én de kwaliteit van leven sterk verbeteren. Dat mag best wat kosten. |

Fridus Valkema (Schuttelaar & Partners)  
en Jan Wisse (NIABA)

