

**Medicijn Zolgensma, dat bekend werd door baby Pia, vanaf december terugbetaald**

**Land redt Pia, de farma casht**

**Duurste medicijn ter wereld slaat aan: baby Pia gaat beetje bij beetje vooruit**

‘Team Pia’ is een ongezien succes. ‘Maar we zullen niet elke dag zo genereus zijn. We kunnen geen sms’jes sturen voor iedereen die het óók verdient.’

**Iedereen wil Pia redden, maar wat met de anderen?**

Deze publicatie wordt mogelijk gemaakt door de financiële steun van Open Society Foundations.



**Klacht tegen farma is neergelegd**

# Woekerprijzen

Sedert december wordt het peperdure Zolgensma, terugbetaald. Het is een medicijn dat ieder jaar het leven van enkele jonge patiëntjes, zoals dat van baby Pia, kan redden. Buitensporige prijzen zoals deze zetten ons zorgsysteem echter onder druk. Wij dienden daarom klacht in bij de mededingingsautoriteit.

Birgit Janssen en Martine Van Hecke

**E**en slordige 2 miljoen euro. Dat is het bedrag dat Novartis vraagt voor haar geneesmiddel Zolgensma. Hoewel Novartis daarmee het extreemste voorbeeld is, vragen ook steeds meer andere farmaceutische bedrijven torenhoge bedragen voor geneesmiddelen. Het gaat vaak over medicijnen voor levensbedreigende aandoeningen waar weinig of geen

goede alternatieven voor bestaan. De bedrijven in kwestie maken op die manier niet alleen misbruik van hun monopoliepositie - wat wettelijk verboden is -, ze hypothekeren ook het ganse zorgsysteem. Er zijn immers nog heel wat andere Pia's. En door dergelijke wanbedragen kunnen andere beloftevolle middelen niet worden terugbetaald. Er zijn dan ook structurele maatregelen nodig om die prijszetting binnen de perken te houden. Dat is iets waar wij al jaren voor ijveren. Met de klacht die we nu hebben ingediend tegen Novartis, trekken we nogmaals aan de alarmbel.

### Levensnoodzakelijk medicijn

In dit geval spreken we over een geneesmiddel voor spinale musculaire atrofie (SMA). Deze zeldzame erfelijke ziekte kan in verschillende varianten optreden. De meeste frequente ervan, type 1, komt voor bij zeer jonge kinderen en is zonder behandeling fataal. Deze patiëntjes maken een bepaald eiwit onvoldoende aan doordat er bij hen een stukje DNA ontbreekt. Dat heeft als gevolg dat de zenuwcellen in hun ruggenmerg geleidelijk zullen afsterven, wat leidt tot verlamming van alle spieren waardoor zitten, stappen, eten of zelfs ademen niet meer mogelijk is. Tot voor kort was er

echter geen behandeling beschikbaar. Via hulp bij ademhaling, kinesitherapie of sondevoeding konden de symptomen wel worden verlicht, maar daar bleef het bij.

### Wanbedrag voor enige behandeling

De eerste behandeling voor SMA kwam van farmabedrijf Biogen en kreeg de naam Spinraza mee. Vraagprijs? 265 000 euro per jaar, levenslang. Dat zo'n prijs aanvaard werd, heeft alles te maken met de machtspositie die Biogen had. Er was immers geen enkel alternatief voorhanden om de patiëntjes met SMA een langer en beter leven te geven. En dat wist deze firma maar al te goed.

Drie jaar later kwam Novartis met een concurrent aandragen, Zolgensma. In andere sectoren zou concurrentie de prijzen net doen dalen, maar zo werkt het duidelijk niet bij geneesmiddelen. Novartis volgde de trend die door Spinraza was gezet en zette Zolgensma voor 2 miljoen euro in de markt. Zolgensma lijkt minstens even goed te werken als Spinraza. De meeste patiëntjes die ermee worden behandeld, hebben een betere levensverwachting, kunnen zelfstandig ademen en zitten en sommigen slagen er zelfs in om zelf te stappen. De behandeling pakt de oorzaak

## Goede resultaten voor Zolgensma, maar excuberante prijs

aan door het ontbrekende stukje DNA toe te voegen. Ze is ook minder invasief dan die met Spinraza én in theorie slechts eenmalig. Bij de jongste kinderen krijgt Zolgensma daarom de voorkeur. Over de effecten op langere termijn is er echter nog geen duidelijkheid.

Des te vroeger een behandeling voor SMA wordt opgestart, des te beter het resultaat. Dat is meteen ook één van de redenen waarom men vanaf midden 2022 ook in Vlaanderen bij pasgeborenen zal screenen op SMA via de hielprik.

### Forse winsten

Novartis en Biogen - en ook tal van andere firma's - beweren bij hoog en bij laag dat de torenhoge bedragen die ze vragen voor zulke geneesmiddelen essentieel zijn. Ze verwijzen daarmee stevast naar de kosten die ze zelf hebben voor het onderzoek en de ontwikkeling >

## Zolgensma in cijfers

Kosten onderzoek en ontwikkeling\*



512 miljoen euro

Omzet na 18 maanden



1,1 miljard euro

Vraagprijs\*\*



2,1 miljoen euro

Budgetimpact voor België voor 3 jaar terugbetaling\*\*



47,5 miljoen euro

Gemiddelde duur patent



13 jaar

\* We hebben voor de schatting van dit bedrag gebruikt gemaakt van alle beschikbare financiële rapporten van de verschillende bedrijven die hebben meegewerkt aan de ontwikkeling. De ontbrekende gegevens werden geschat met behulp van parameters die we uit de wetenschappelijke literatuur haalden.

\*\* Dit zijn de publiek beschikbare cijfers. De overheid heeft echter een korting onderhandeld, maar hoeveel die bedraagt is geheim.

interview

# “Walgelijk hoeveel Novartis durft vragen”

Pia kreeg in april 2019 de diagnose van spinale musculaire atrofie. Haar ouders verzamelden via een crowdfunding zo'n 2 miljoen euro om haar het geneesmiddel Zolgensma te kunnen geven.



Foto: Hendrik De Schrijver

Ellen De Meyer  
Mama van 3-jarige Pia  
die aan SMA lijdt

## Hoe gaat het nu met Pia?

“Pia is intussen al een flinke kleuter geworden. Ze gaat sinds september naar een gewone kleuterschool en dat gaat met een beetje extra begeleiding heel goed. Het is ook een echte babbelkous, haar mondje staat werkelijk nooit stil. Ze kan ondertussen ook zelfstandig eten en gebruikt haar armpjes en handjes heel goed. Zelfstandig stappen lukt nog niet, maar ze kan zichzelf wel prima voortbewegen in haar rolstoel. We zijn ook volop aan het oefenen met een staprobot. Ze heeft echt een grote drang naar zelfstandigheid.”

## Wat als de crowdfunding niet was gelukt?

“Die vraag gaan we gelukkig nooit met zekerheid kunnen beantwoorden, maar de levenskansen van Pia waren op dat moment niet hoog. Zonder behandeling zou ze binnen de twee jaar sterven. Er was wel een ander geneesmiddel dat toen reeds

terugbetaald was, Spinraza, maar dat sloeg bij Pia niet aan zoals gehoopt. Het stopte de achteruitgang wel, maar we zagen geen enkele vordering in haar ontwikkeling. De kans was groot dat ze met die behandeling de rest van haar leven liggend had moeten doorbrengen en zelfs niet had kunnen praten. We hadden echt schrik dat ze in een soort van vegetatieve staat zou terechtkomen. Dat was niet het leven dat we voor haar wilden.”

## Wat was je reactie toen je over Zolgensma hoorde?

“We waren natuurlijk eerst zeer hoopvol dat er toch nog een ander geneesmiddel bestond. Tot we de prijs hoorden. Zolgensma was op dat moment alleen in de Verenigde Staten goedgekeurd. Novartis had wel een programma om kindjes in de rest van de wereld hier ook toegang tot te geven, maar dan moest je wel met 2,1 miljoen dollar over de brug komen. We hebben lang met Novartis zelf onderhandeld en bekeken of er geen andere opties waren. Een studie bijvoorbeeld waar ze nog bij kon aansluiten. Maar zonder succes. We hebben dan alles in het werk gesteld

om een dossier samen te stellen om onze overheid te overtuigen ons te helpen. Maar ook hier vingen we bot. We zijn ongelooflijk blij dat onze crowdfunding wel het verhoopte resultaat heeft gehad, maar eigenlijk is het schrijnend dat we daar onze tijd in moesten steken. Mocht onze actie toch op een sisser zijn uitgedraaid, dan hadden we de laatste maanden van haar leven daaraan verspild.”

## Kun je die prijzen begrijpen?

“Neen, de prijzen die firma's vragen voor geneesmiddelen voor zeldzame ziekten zijn echt overdreven duur. Daardoor riskeren patiënten met een zeldzame aandoening uit de boot te vallen. De overheid zal immers niet snel geneigd zijn zulke bedragen terug te betalen. En we begrijpen dat de ziekteverzekering afwegingen moet maken. Alles terugbetalen is gewoon geen optie. Maar het is minder erg om te weten dat het geneesmiddel dat je kind nodig heeft niet bestaat, dan dat het wel bestaat maar de prijs zodanig hoog is dat je het niet kan betalen. Ons gevoel naar Novartis toe is dan ook erg dubbel. Enerzijds zijn we hen natuurlijk dankbaar dat ze een geneesmiddel op de markt hebben gebracht dat het leven van Pia heeft gered, maar anderzijds vinden we het walgelijk welke bedragen ze durven te vragen. Ik hoop dat mede door jullie klacht de mededingingsautoriteit Novartis het vuur aan de schenen legt om hun prijs te verantwoorden. Want dan zal volgens mij blijken dat ze dat absoluut niet kunnen.”

>  
van het geneesmiddel. Transparant communiceren over die kosten doen ze echter niet. Wij deden daarom de oefening zelf. De investering van Biogen voor de ontwikkeling van Spinraza werd binnen het jaar al terugverdiend. Voor Zolgensma eenzelfde verhaal. Wij schatten de ontwikkelingskost voor dit geneesmiddel op zo'n 512 miljoen euro, een bedrag dat na amper één jaar al was terugverdiend. Nog geen 2,5 jaar na commercialisatie had Novartis al bijna vier keer dat bedrag binnengehaald. Wetende dat nieuwe geneesmiddelen gemiddeld 13 jaar beschermd zijn door een patent, hebben ze dus nog heel wat winst in het vooruitzicht. Die winsten blijken vooral gebruikt te worden om (massaal) uit te keren aan aandeelhouders, niet om te investeren in nieuw onderzoek. De belastingbetaler draait dus op voor het geld dat firma's uitbetalen aan hun aandeelhouders. Daarbij komt nog dat de grote farma's vaak zelf weinig onderzoek verrichten naar zulke geneesmiddelen. De laatste jaren zien we dat farmareuzen vooral de markt screenen om te kijken welke veelbelovende middelen er in de pijplijn zitten bij de kleinere bedrijfjes. Vervolgens leggen ze een flinke som geld op tafel om de eigendomsrechten of zelfs het bedrijf over te nemen. Dat was ook zo bij Zolgensma, dat eigenlijk werd ontwikkeld door het kleine AveXis. Al werd het concept hiervoor nóg elders bedacht, namelijk in een onderzoeksinstituut van een Amerikaans ziekenhuis. En dat wordt hoofdzakelijk gefinancierd met publieke middelen. AveXis verkreeg vervolgens wel het exclusieve recht om Zolgensma verder te ontwikkelen en te commercialiseren, maar een flink deel van het onderzoekswerk is dus betaald door de Amerikaanse belastingbetaler.

### Terugbetaald met korting

Samen met enkele andere landen onderhandelde onze overheid via het Beneluxa-initiatief voor beide geneesmiddelen gelukkig een korting bij de firma's om zo een tijdelijke

## Amper na één jaar tijd was de ontwikkelingskost terugverdiend

terugbetaling te kunnen voorzien. Voor Spinraza ging deze terugbetaling in september 2018 in voege, voor Zolgensma in december 2021. Hoeveel korting de overheid dan uiteindelijk krijgt, blijft helaas geheim. We vermoeden echter wel dat de uiteindelijke prijs nog altijd veel te hoog is voor het maatschappelijk voordeel dat ermee kan worden geboekt. Volgens officiële berekeningen zou er voor Zolgensma daarvoor een korting van zo'n 75 % nodig geweest zijn. Maar het is weinig waarschijnlijk dat Novartis daarmee zou hebben ingestemd. Hoewel Spinraza en Zolgensma extreme voorbeelden zijn, zien we toch alsmaar vaker dat geneesmiddelen aan torenhoge prijzen in de markt worden gezet. Ook bij heel wat kankerbehandelingen is de ontwikkelingskost na amper twee tot vijf jaar tijd helemaal terugverdiend. Uit een analyse van de Christelijke Mutualiteiten blijkt dat sinds 2015 het voorziene budget voor geneesmiddelen systematisch fors wordt overschreden. Op zes jaar tijd spreken we al van 1,3 miljard euro meer dan er was begroot. En dat kan natuurlijk niet naar andere sectoren vloeien die het erg nodig hebben. Denk maar aan verpleegkundigen, tand- of psychologische zorg.

### Reglementering schiet tekort

Is er dan geen wetgeving om zulke praktijken te handhaven? Toch wel. Wat Biogen en Novartis doen, is volgens ons wettelijk volstrekt verboden. Het verschil tussen de gemaakte kosten en de gevraagde prijs is niet redelijk. Ze maken misbruik van de monopoliesituatie die ze hebben om een buitensporige prijs door te drukken. Het is aan de mededingingsautoriteit om op zo'n moment in te grijpen. Ruim twee jaar geleden dienden wij daarom al een klacht

in voor Spinraza, nu doen we hetzelfde voor Zolgensma. Tot op vandaag is er echter nog steeds niets concreets gebeurd met onze eerste klacht. Onbegrijpbaar. De mededingingsautoriteit blijkt erg terughoudend wanneer het gaat om geneesmiddelen die nog worden beschermd door een patent. Maar net bij die geneesmiddelen is deze problematiek het grootst. Het gebrek aan actie wordt verdedigd door argumenten die weinig steek houden. Zo zien ze de hoge prijzen (en bijhorende winsten) als een beloning voor de risicovolle investering. Ze hebben schrik dat hun optreden bedrijven zou afremmen om te investeren in innovatieve geneesmiddelen. Maar net die hoge winstmarge voor bepaalde soorten geneesmiddelen is zo aantrekkelijk dat firma's hierop focussen waardoor ze minder of niet investeren in andere belangrijke noden van de maatschappij omdat ze minder rendabel zijn. Daarnaast gaat men ervan uit dat concurrentie de prijzen automatisch wel zal doen dalen. Maar het voorbeeld van Spinraza en Zolgensma illustreert duidelijk dat farma's liever de trend van buitensporige prijzen volgen.

### En nu?

De prijzen en terugbetaling van geneesmiddelen zijn dan wel via meerdere wetten gereguleerd, het is duidelijk dat deze niet meer volstaan. Er moet dan ook werk gemaakt worden van een herziening opdat er een faire prijszetting komt, met een redelijke winstmarge voor de bedrijven én betaalbaar voor de overheid en de patiënt. De mededingingsautoriteiten moeten ook durven optreden tegen excessen. De laatste updates over onze klachten vind je steeds op [www.testaankoop.be/betalbaregeneesmiddelen](http://www.testaankoop.be/betalbaregeneesmiddelen). 🍀