

Geneesmiddelen met weesstatuut

Big Pharma profiteert mee

Om het onderzoek naar geneesmiddelen voor zeldzame ziekten te stimuleren, riep Europa het weesgeneesmiddelenstatuut in het leven en koppelde daar aanzienlijke voordelen aan vast voor farmabedrijven. Helaas zette dat de deur open naar allerlei misbruik. Tijd om orde op zaken te stellen.

Martine Van Hecke en Daisy Van Lissum

Toen Europa in de jaren negentig vaststelde dat er maar weinig geneesmiddelen voor zeldzame ziekten op de markt werden gebracht, besliste ze om de farma-industrie te stimuleren om ook te investeren in medicatie waarvoor een minder grote doelgroep bestaat en dus minder winst wordt verwacht. Dat lukte, maar met soms perverse gevolgen. Sommige van die zogenaamde weesgeneesmiddelen, die met de steun van publiek geld tot stand kwamen, draaien jaarlijks bijvoorbeeld

meer dan een miljard euro omzet.

Onevenwicht rechtekken

Wereldwijd bestaan er meer dan 6 000 zeldzame ziekten, dus ernstige aandoeningen waaraan maximaal 5 op de 10 000 mensen lijden. Doordat farmabedrijven zich bij de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen liever richten op een grotere afzetmarkt met groter winstpotentieel, werden zulke ziekten lang genegeerd omdat ze niet rendabel zouden

zijn. Om dat onevenwicht recht te trekken, creëerde Europa in 2000 het weesgeneesmiddelenstatuut. De voordelen daarvan zijn niet min: goedkopere registratie van het geneesmiddel bij het Europees Geneesmiddelenagentschap (EMA), stimulerende maatregelen om het onderzoek te bevorderen, en een marktexclusiviteit van tien jaar. Dat wil zeggen dat concurrenten tien jaar lang geen gelijk(w)aardige producten voor dezelfde indicatie – het profiel waarvoor de behandeling in kwestie geschikt is – op de markt mogen brengen. Zo'n exclusiviteit kan handig worden ingezet, bijvoorbeeld wanneer patenten van oudere, reeds gekende moleculen al vervallen zijn, een vrij typisch fenomeen bij weesgeneesmiddelen. Bovendien is de bescherming ervan nu eenmaal breder dan die van een gewoon patent. Voor elke nieuwe zeldzame aandoening waarvoor een weesgeneesmiddel zich bijkomend registreert, kan het tien jaar extra marktexclusiviteit krijgen en zo een langer monopolie opstapelen dan met patenten.

Succes, maar duur verkregen

Deze extra stimulansen hebben gewerkt; ze leidden inderdaad tot de ontwikkeling van meer geneesmiddelen voor zeldzame aandoeningen. Van 2001 tot en met einde 2019 registreerde het EMA 169 weesgeneesmiddelen. Tegelijkertijd hebben de stimulansen handenvol geld gekost. Zo liep het Riziv op een periode van vijf jaar € 91,4 miljoen mis omdat firma's minder heffingen betalen voor weesgeneesmiddelen. Het EMA gaf op eenzelfde periode € 62,8 miljoen aan kortingen voor o.a. de registratie van deze geneesmiddelen, en de VS kende € 6,92 miljard aan belastingvoordelen toe. Daarnaast houdt marktexclusiviteit, net zoals patenten, de monopoliepositie – en dus de hoge prijzen – van een geneesmiddel in stand. Bedrijven rechtvaardigen hun hoge vraagprijzen door te beweren dat de hoge kosten voor onderzoek en ontwikkeling van

Revlimid: miljardenmedicijn met weesstatuut

In 2018 had Revlimid, dat initieel werd ontwikkeld voor een specifiek type bloedkanker, de tweede grootste omzet wereldwijd. Toch genoot het stevige financiële ondersteuning, o.a. dankzij het weesstatuut. Doordat de behandelindicatie maar liefst vijf keer werd uitgebreid, vermenigvuldigde het aantal patiënten en werd de druk op onze ziekteverzekering groter.

OOK AL WERD HET ONTWIKKELD MET PUBLIEKE STEUN EN EXTRA STIMULANSEN...



Gebaseerd op reeds bestaande moleculen



Deel van het onderzoek gebeurde aan universiteiten



Belastingvoordelen en kortingen



Markt-exclusiviteit

ZIJN DE KOSTEN VOOR TERUGBETALING ENORM HOOG



weesgeneesmiddelen voor een kleine doelgroep alleen kunnen worden gec recupereerd als de prijs hoog genoeg is. Firma's weigeren echter transparant te zijn over de kosten voor onderzoek en ontwikkeling, maar ze liggen sowieso een pak lager dan ze laten uitschijnen. Volgens een recente analyse zijn de klinische studies voor weesgeneesmiddelen 30 % goedkoper dan die van medicijnen voor courante aandoeningen, onder meer omdat er veel minder proefpersonen aan meedoen. Ook het gebruik van oudere moleculen voor zeldzame aandoeningen drukt de kosten, doordat delen van het onderzoek kunnen worden overgeslagen. Op zich is daar niets mis mee, integendeel, maar dan moet de farma-industrie wel faire

prijzen aanrekenen die in verhouding staan tot de beperktere kosten, wat niet gebeurt. Er zijn zelfs flagrante misbruiken waarbij de firma zelf (bijna) geen eigen onderzoek doet. Zo bracht Leadiant een reeds gekende molecule op de markt als weesgeneesmiddel, zonder zelf al te veel kosten te moeten maken, om de prijs vervolgens wel meer dan 300 keer (!) te verhogen.

Regels moeten strenger

Er is duidelijk veel geld te verdienen met weesgeneesmiddelen. In de top 200 geneesmiddelen met de grootste omzet prijkte in 2018 een 30-tal geneesmiddelen die nu of in het verleden een weesstatuut hadden. Ongeveer twintig ervan zijn echte blockbusters en brengen jaarlijks >

> meer dan een miljard dollar op. De toegenomen interesse van multinationals in deze niche – de laatste jaren is ongeveer een derde van de door het EMA goedgekeurde nieuwe geneesmiddelen een weesgeneesmiddel – is dan ook geen toeval. Heel wat geneesmiddelen zijn rendabel genoeg en hebben dat extra duwtje in de rug duidelijk niet nodig.

Ziekteverzekering onder druk

Hoewel het uiteraard positief is voor patiënten dat er meer weesgeneesmiddelen worden ontwikkeld, is de prijszetting ervan meestal niet fair. En als de prijzen onbetaalbaar zijn, hebben patiënten weinig baat bij nieuwe geneesmiddelen omdat onze ziekteverzekering ze gewoonweg niet kan terugbetalen.

Niet alleen zijn veel van deze middelen vaak de enige behandeling voor ernstige aandoeningen, farmabedrijven houden de reële ontwikkelingskosten ervan graag geheim. Deze zwakke onderhandelingspositie van de overheid leidt nog al te vaak tot woekerprijzen. Bovendien wordt in deze categorie geregeld terugbetaling aangevraagd voor een erg beperkte groep patiënten, waardoor de overheid al sneller een hoge prijs aanvaardt. Maar wanneer de jaren daarna de behandelindicaties – en dus het aantal patiënten waarvoor het medicijn wordt terugbetaald – stelselmatig worden uitgebreid, moet het Riziv de behandeling wel voor een veel grotere groep terugbetalen. En nadien onderhandelen over een prijsdaling, is niet eenvoudig.

Twee weesgeneesmiddelen, Imbruvica en Revlimid (zie kaderstuk), staan daardoor in de top tien van de grootste uitgaven van het Riziv voor middelen die worden afgeleverd door de ziekenhuisapotheker.

Nieuwe ongelijkheid binnen zeldzame aandoeningen

Het weesgeneesmiddelenstatuut kost ons als maatschappij niet alleen veel geld, het heeft ook nieuwe onevenwichten gecreëerd. Terwijl voor bepaalde aandoeningen en doelgroepen

€ 198 miljoen

Uitgaven van het Riziv voor weesgeneesmiddelen in 2010



= 5 %

van de totale uitgaven voor geneesmiddelen



€ 513 miljoen

Uitgaven van het Riziv voor weesgeneesmiddelen in 2019

= 10 %

van de totale uitgaven voor geneesmiddelen

meerdere geneesmiddelen werden ontwikkeld, gebeurt er voor andere dan weer helemaal of bijna niets. Volgens een recente analyse concentreert onderzoek naar zeldzame ziekten zich op volwassenen en op aandoeningen die relatief vaker voorkomen. Onderzoek bij kinderen is immers moeilijker en kost meer geld. En medicijnen voor een grotere doelgroep brengen meer geld in het laatje.

Niet minder dan 40 % van de weesgeneesmiddelen richt zich op de behandeling van (zeldzame) kankers, een niche die gekend staat als zeer rendabel. Voor de ziekte van Kahler, een kanker van een bepaald type bloedcellen die vooral voorkomt bij oudere mensen, zijn er bijvoorbeeld zeven verschillende weesgeneesmiddelen op de markt. Vier ervan zijn blockbusters, een vijfde gaat die kant op. Kinderen en adolescenten met zeldzame kankers blijven daarentegen vaak in de kou staan.

Doordat firma's zelf bepalen welke weesgeneesmiddelen ze ontwikkelen en commercialiseren, en zich daarbij laten leiden door potentiële winsten, wordt het huidige ontwikkelingsmodel te weinig gestuurd door de noden van de volksgezondheid. Naar schatting had zo'n 95 % van de zeldzame aandoeningen in 2018 nog geen behandeloptie.

Ook lidstaten moeten ingrijpen

De Europese verordening die de stimulansen invoerde, moet dan ook dringend worden aangepast. Wij vragen al langer dat het statuut, zijn voorwaarden en zijn voordelen worden herbekeken. Europa is daar volop mee bezig. Bij het ter perse gaan begin juli, kon het eerste evaluatierapport elk moment verschijnen. Wat de Europese Commissie uiteindelijk zal beslissen, weten we dus nog niet, maar we hopen op zijn minst dat de voorwaarden voor het statuut anders worden geformuleerd: voor de behandeling van een aandoening waar én maximaal 5 op de 10 000 personen aan lijden én die niet rendabel zou zijn zonder stimulerende maatregelen. Momenteel moeten geneesmiddelen maar aan één van beide voorwaarden voldoen. Bovendien zouden maatregelen ook de ontwikkeling moeten aanmoedigen van generieken en biosimilars van weesgeneesmiddelen, die behandelingen betaalbaarder kunnen maken. Zelfs nadat de marktexclusiviteit is verlopen, blijven concurrentie en dus ook stevige prijsdalingen vaak uit. Zo realiseren sommige zelfs zonder wettelijk monopolie nog steeds enorme omzetten. Sowieso kan Europa de situatie niet alleen rechttrekken. Ook op het niveau van de lidstaten, die onderhandelen over de prijszetting en terugbetaling van geneesmiddelen, moeten er zaken veranderen. Daarvoor is er in de eerste plaats meer transparantie nodig, zowel over de kosten als de efficiëntie van geneesmiddelen. Enkel zo houden we onze gezondheidszorg betaalbaar. Lees meer over onze eisen op www.testaankoop.be/betalbaregeneesmiddelen. ♥