

Ministerie van Volksgezondheid,  
Welzijn en Sport

> Retouradres Postbus 20350 2500 EJ Den Haag

De Voorzitter van de Tweede Kamer  
der Staten-Generaal  
Postbus 20018  
2500 EA DEN HAAG

**Bezoekadres**

Parnassusplein 5  
2511 VX Den Haag  
www.rijksoverheid.nl

**Kenmerk**

3571971-1046117-GMT

**Bijlage(n)**

-

**Kenmerk afzender**

*Correspondentie uitsluitend  
richten aan het retouradres  
met vermelding van de  
datum en het kenmerk van  
deze brief.*

Datum 12 april 2023  
Betreft Beneluxa onderhandeling Libmeldy

Geachte voorzitter,

In deze brief wil ik uw Kamer informeren over de onderhandelingen die ik in het kader van de Beneluxa-samenwerking samen met België en Ierland heb gevoerd over het geneesmiddel Libmeldy. Libmeldy is een eenmalige gentherapie voor de behandeling van de zeldzame stofwisselingsziekte metachromatische leukodystrofie (MLD). Helaas is geen akkoord bereikt met de leverancier. Dit betekent dat Libmeldy niet wordt opgenomen in het basispakket voor de zorgverzekering.

Ik begrijp dat dit voor patiënten, families van patiënten en behandelaren een uiterst teleurstellend resultaat is. In deze brief licht ik toe waarom Libmeldy niet vergoed kan worden. Eerst benoem ik de punten uit het advies van Zorginstituut Nederland (hierna: Zorginstituut) ten aanzien van de pakketopname van Libmeldy die ik hiervoor van belang acht.

**Advies Zorginstituut**

Libmeldy is op 14 januari 2021 in de sluis voor dure geneesmiddelen geplaatst. Op 27 september 2022 heeft het Zorginstituut mij over dit middel geadviseerd. Ik geef puntsgewijs een samenvatting van het advies:

- MLD is een zeldzame, erfelijke stofwisselingsziekte waarbij de opslag van bepaalde vetten ervoor zorgt dat myeline, wat de zenuwcellen beschermt, afbreekt. Deze ernstige progressieve ziekte resulteert in verstandelijke beperking en achteruitgang van de motoriek. De meest ernstig aangedane kinderen overlijden enkele jaren nadat symptomen ontstaan.
- Libmeldy is een veelbelovende, eenmalige gentherapie voor de behandeling van MLD. Het middel kost € 2.875.000 per eenmalige behandeling. De cumulatieve totale budget impact over drie jaar is circa € 14 miljoen, gebaseerd op de aanname dat vijf patiënten gedurende deze periode van drie jaar in aanmerking komen voor behandeling.
- De effectiviteit van het middel is onderzocht in studies met kinderen die nog geen symptomen hebben (presymptomatische patiënten) en kinderen die al wel klinische manifestaties van de ziekte hebben (vroeg-

- symptomatische patiënten).
- Libmeldy voldoet alleen aan de stand van de wetenschap en praktijk voor presymptomatische patiënten. Uit de data komt naar voren dat het belangrijk is patiënten te behandelen voordat de eerste symptomen van de ziekte zichtbaar zijn. Er zijn echter onzekerheden over de effecten van Libmeldy op de langere termijn. Het is onzeker of het effect daadwerkelijk (levenslang) aanhoudt.
  - Voor de presymptomatische patiënten is de kosteneffectiviteit op basis van de beschikbare data onzeker en vooralsnog ongunstig. De kosteneffectiviteitsschattingen liggen ver boven de voor deze aandoening relevant geachte referentiewaarde van € 80.000 per QALY. Het Zorginstituut geeft aan dat, gezien het gebrek aan lange termijn data, het aannemelijk is dat voor kinderen tot en met de leeftijd van 30 maanden en voor kinderen vanaf 30 maanden tot en met 7 jaar, een korting nodig van respectievelijk 60% en 85% op de openbare lijstprijs van Libmeldy om op een kosteneffectief prijsniveau uit te komen. De Adviescommissie Pakket (ACP) geeft hierbij argumenten waarom een prijs boven de referentiewaarde van € 80.000 per QALY in dit geval verantwoord is.
  - Het Zorginstituut adviseert om Libmeldy voor presymptomatische patiënten op te nemen in het basispakket onder voorwaarde dat een prijsreductie wordt bereikt en pay-for-performance afspraken worden gemaakt.
  - Voor de vroeg-symptomatische patiënten kan het Zorginstituut op basis van de studiedata niet concluderen dat de behandeling behoort tot de stand van wetenschap en praktijk.

**Kenmerk**  
3571971-1046117-GMT

### **Presymptomatische patiënten**

Op basis van het advies van het Zorginstituut zijn in december 2022 prijsonderhandelingen met de leverancier van Libmeldy gestart. Daarbij is in dit geval in Beneluxa-verband samen opgetrokken met België en Ierland. Deze onderhandelingen hadden tot doel om voor de drie landen tot een maatschappelijk aanvaardbare prijs voor Libmeldy te komen. De onderhandelingen hebben echter niet geleid tot een akkoord. Dit betekent dat Libmeldy niet wordt opgenomen in het basispakket en dat presymptomatische patiënten dus geen aanspraak kunnen maken op Libmeldy vanuit de zorgverzekering.

Libmeldy is een veelbelovend middel, maar uitermate duur. Gelet op het pakketcriterium kosteneffectiviteit, acht ik opname in het basispakket alleen verantwoord indien het financieel risico, dat hier ontstaat door de eenmalige hoge kosten bij start van de behandeling, in combinatie met de onzekerheid over de effecten op lange termijn, voldoende kan worden ondervangen. Met de uitkomst van deze onderhandeling acht ik, samen met de betrokken Beneluxa-landen, dit niet het geval. Hierbij blijkt een pay-for-performance-afspraken op dit moment geen oplossing te kunnen bieden omdat niet wordt voldaan aan de randvoorwaarden voor een dergelijk vergoedingsmodel die ik in een eerdere brief<sup>1</sup> over dit onderwerp met uw Kamer heb gedeeld, zoals een prijsafspraken, een eenduidige uitkomstmaat en openbaarmaking. Daarmee heeft deze casus, waarmee ik uitvoering geef aan de motie<sup>2</sup> van leden Van den Hil en Tielen (VVD), niet tot resultaat geleid.

<sup>1</sup> Kamerstukken II 2021/22, 29477, nr. 757

<sup>2</sup> Kamerstukken II 2021/22, 29477, nr. 772

### **Vroeg-symptomatische patiënten**

Voor de vroeg-symptomatische patiënten voldoet Libmeldy volgens het Zorginstituut niet aan het pakketcriterium effectiviteit. Het is een belangrijke wettelijke eis dat de zorg die in het basispakket wordt opgenomen effectief is. Door alleen effectieve zorg te vergoeden, bewaken we de solidariteit van het zorgstelsel.

**Kenmerk**  
3571971-1046117-GMT

Het Zorginstituut geeft in het advies aan te bekijken of een traject van voorwaardelijke toelating een geschikte route zou zijn om Libmeldy beschikbaar te maken voor vroeg-symptomatische patiënten. Op die manier kunnen veelbelovende behandelingen tijdelijk worden toegelaten tot het basispakket, onder de voorwaarde dat de leverancier zich committeert aan een sterk verlaagde prijs en dat in deze periode de vereiste onderzoeksgegevens worden verzameld om de therapeutische meerwaarde en de (kosten)effectiviteit van de behandeling aan te tonen. Aangezien geen akkoord is bereikt met de leverancier over een prijs bij een eventuele voorwaardelijke toelating, is een voorwaardelijke toelating voor de vroeg-symptomatische patiënten op dit moment niet mogelijk.

### **Noodzaak tot verantwoorde uitgaven**

Ik realiseer me zeer dat dit een zwaar besluit is voor betrokken patiënten en families. Ik acht het echter niet verantwoord om dure geneesmiddelen toe te laten tot het basispakket terwijl de effectiviteit niet is aangetoond of de kosteneffectiviteit ongunstig is. Dit zou namelijk leiden tot verdringing van effectieve en doelmatige zorg. Daarmee gaat de vergoeding ten koste van zorgverlening aan andere patiënten.

De hoge prijzen die leveranciers vragen, zetten de solidariteit in ons zorgstelsel onder zware druk. Ik vind het noodzakelijk om de prijzen en uitgaven aan geneesmiddelen te beteugelen om de solidariteit in ons stelsel voor nu en in de toekomst te kunnen waarborgen. Dit past in het voornemen de toets op het basispakket te verbeteren en te verbreden en zo de zorg beschikbaar en betaalbaar te houden voor iedereen.

Concluderend wordt Libmeldy op dit moment niet opgenomen in het basispakket. Indien de leverancier van Libmeldy bereid is om tot aanvaardbare afspraken te komen, zou een andere conclusie getrokken kunnen worden. In dat geval zal ik uw Kamer hierover informeren.

Hoogachtend,

de minister van Volksgezondheid,  
Welzijn en Sport,

Ernst Kuipers