



FAST

CENTRE FOR FUTURE AFFORDABLE
SUSTAINABLE THERAPY DEVELOPMENT

Saco de Visser

Wetenschappelijk directeur

Disclosures

Voor bijeenkomst mogelijk relevante relaties	FAST is onafhankelijk expertisecentrum Gastaanstelling AmsterdamUMC en LUMC Initiator FAST hubs RARE-NL en InFECT-NL
• Sponsoring of onderzoeksgeld • Honorarium of andere (financiële) vergoeding • Andere relatie, namelijk...	- FAST wordt gefinancierd door Ministeries VWS en EZ - FAST wordt gehost door TNO - FAST faciliteert bij diverse subsidieaanvragen maar haalt daar zelf geen financiële middelen uit

FAST mission

Facilitating and stimulating smarter, affordable and sustainable development, production and access of new therapies for patients

Making the Dutch ecosystem a hotspot for affordable therapy development



RARE-NL



Rare diseases



Drug repurposing

Preclinical

Clinical

Production

Marketing
authorization
and
reimbursement

Support

Socially responsible PPPs

Strategische partnerschappen met alle UMC's

- **Bestuur**

- Teun van Gelder (LUMC), Carla Hollak (Amsterdam UMC), Dirk Lefeber (Radboudumc)

- **Liaisons**

- Erasmus MC: Hugo van der Kuy & Pim Pijnappel
- MUMC+: Antoni Gostynski
- UMCG: Jos Kosterink
- UMCU: Sabine Fuchs

- **Network Building Tour**

- Event met lokale casuïstiek in showcase, thema per UMC te bepalen

From case to system!

- Antisense Oligonucleotide (DCRT, ZIN, CBG-MEB)
- Colchicine → repurposing business case
- Price trends/competition Orphans off patent (NOT)
- Research (new) pricingmodels incl applications
- Research new technology to accelerate development
- Research (pre-)authorisation access possibilities
- Research and try-out new businessmodels
- ...
- ..
- .

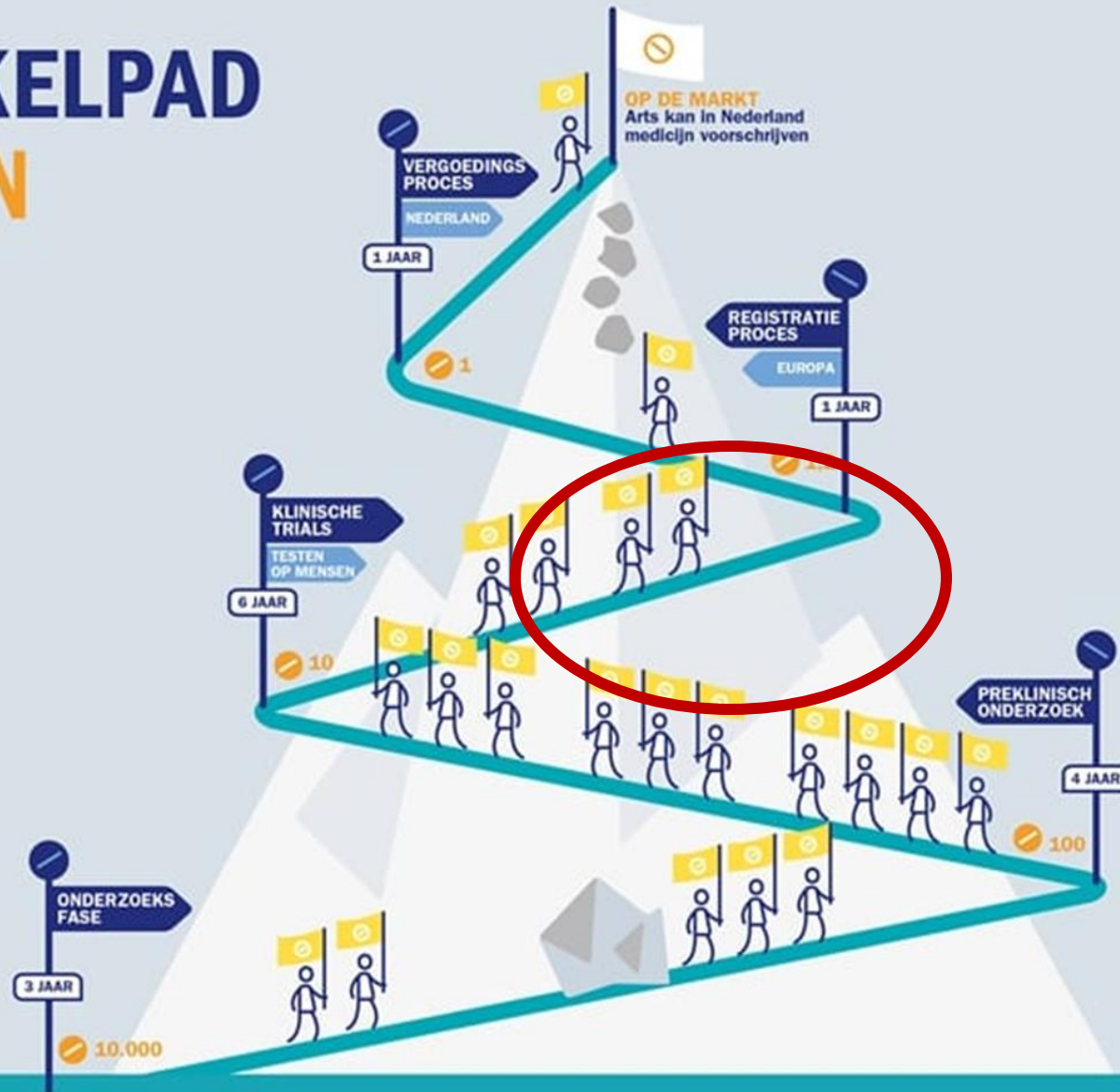


Anja Horemans
Spierziekten Nederland



Van ontdekking naar verstrekking

ONTWIKKELPAD MEDICIJN



Spierziekten als model voor zeldzaam?

Spierziekten Nederland:

- 125 verschillende spierziekten
- ECZA's in 6 academische huizen; onderling spierziekten verdeeld

Kenmerken van spierziekten:

- Chronisch
- Progressief verloop
- Hoge unmet medical need
- Zeldzaam
- Vaak erfelijk
- Heterogeen verloop

De toekomst is veelbelovend

Laatste 5 jaar:

- 10 middelen (voorwaardelijk) beschikbaar gekomen voor mensen met 4 verschillende spierziekten

In 2025:

- ongeveer 300 middelen voor spierziekten in klinische fase (trial fase 1/2/3) (en nog veel meer preklinisch)
- 25 middelen voor 11 verschillende spierziekten in Horizonscan
- Grote diversiteit aan middelen en veel ATMP's



Medicijnontwikkeling, uitdagingen

Medicijn onderzoek (trials) bij zeldzame ziekten:

- Internationale, complexe studies met nieuwe generatie geneesmiddelen
- Uitkomstmaten sensitief?
- Natuurlijk beloop bekend?
- Onderzoek bij kleine heterogene patiëntengroep
- Studies betreffen meestal niet de hele patiëntengroep, maar een bepaald deel (cohort)
- Relatief korte studieduur



Medicijnontwikkeling, kansen

Trialreadiness

- ECZA vroegtijdig betrokken bij internationale trails, randvoorwaarden:
 - Sterk ECZA met internationale aanzien
 - Landelijke diagnosespecifiek registratie (natuurlijk beloop, vindbaarheid patiënten)
- Samenwerking PO en ECZA (trailcoördinatie overleg)
- Afspraken over vervolg trajecten zoals ook EAP en CUP



Vergoeding van geneesmiddelen

Carla Hollak, internist Amsterdam UMC

Disclosures

Voor bijeenkomst mogelijk
relevante relaties

Zorginstituut: lid adviescommissie pakket, ronde tafel
weesgeneesmiddelen, horizonscan
Initiator “Medicijn voor de Maatschappij”
www.medicijnvoordemaatschappij.nl
Bestuursvoorzitter stichting RARE-NL
www.rare-nl.nl

- Sponsoring of
onderzoeksgeld
- Honorarium of andere
(financiële) vergoeding
- Andere relatie, namelijk...

- Amsterdam UMC Medical research BV ontvangt financiering
voor studies met ZN, ZIN, Postcodeloterij, ZonMW
- Amsterdam UMC Medical research BV ontvangt financiering
voor studies met Sanofi, Protalix
- RARE-NL zet businesses op met private investeerders volgens
maatschappelijke principes
- Geen
- Financiering van LSD expertisecentra via kortingen
geneesmiddelen ism verzekeraars (ZN)

Vergoeding van geneesmiddelen

- Goedkeuring door het Europees Medicijn Agentschap (EMA) betekent niet automatisch vergoeding!
- Beoordeling in Nederland: extramuraal (farmaceutische zorg) of intramuraal (medisch specialistische zorg)
 - Zorginstituut Nederland (ZINL)
 - Extramuraal (GVS) en intramuraal met hoog risico (sluis)
 - Zorgverzekeraars Nederland
 - Intramuraal met laag risico

Pakketcriteria:

Effectiviteit → stand van de wetenschap en praktijk

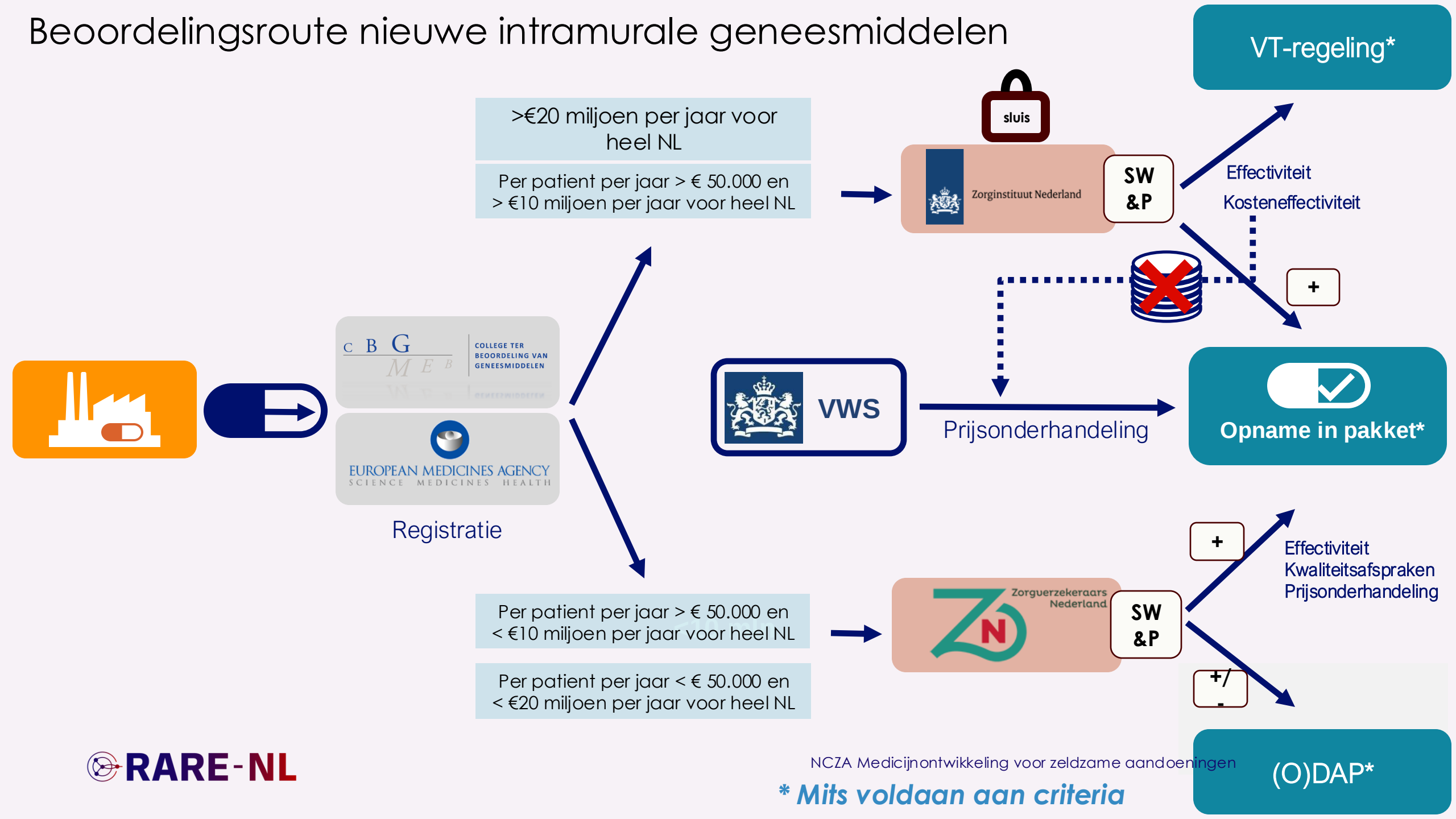
Kosteneffectiviteit → is de prijs te verantwoorden?

Noodzakelijkheid

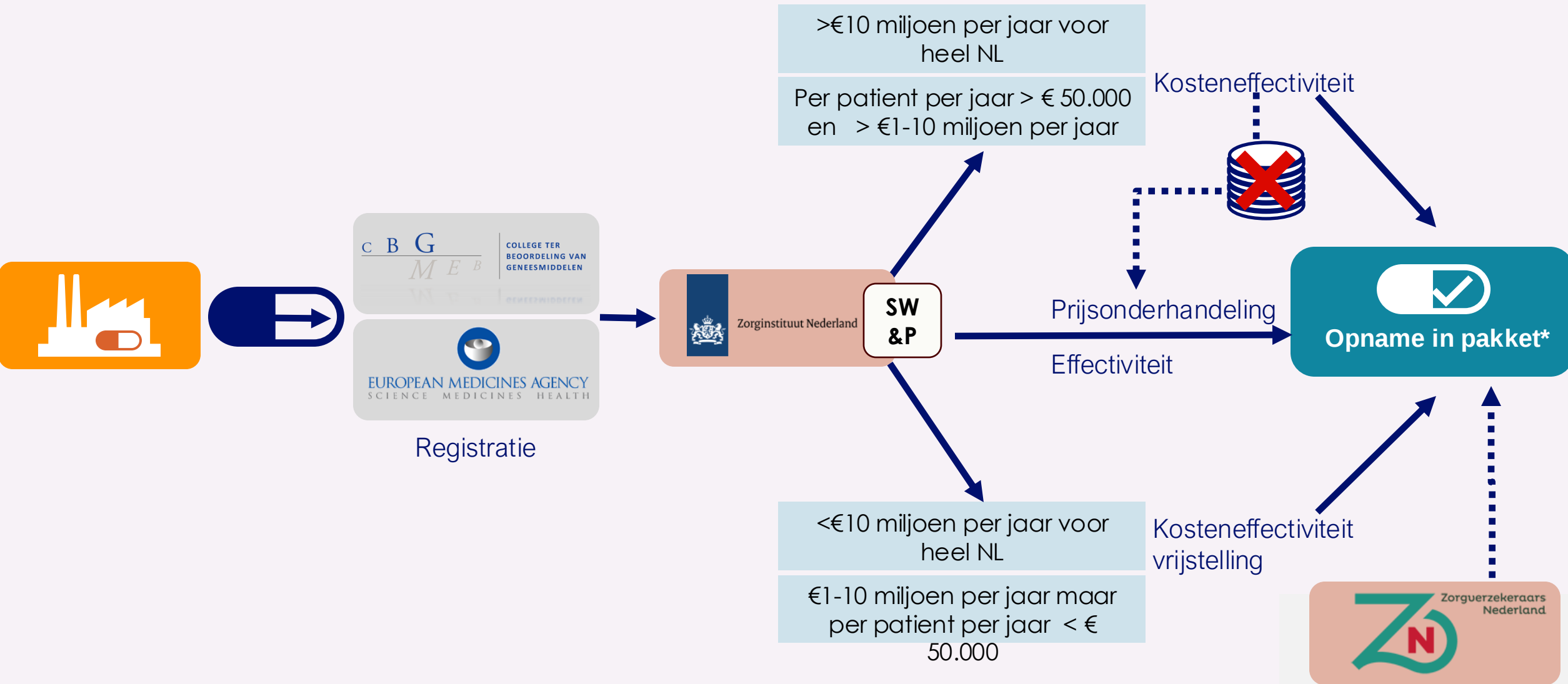
Uitvoerbaarheid



Beoordelingsroute nieuwe intramurale geneesmiddelen



Beoordelingsroute nieuwe extramurale geneesmiddelen



In de tussentijd:

- Behandeling kan al toegankelijk zijn voor patienten door:
 - Studie
 - Doorloop van de studie na afronding
 - Speciaal programma van de fabrikant
 - Compassionate use
 - Named patient etc
- *NB: in Nederland is er geen mogelijkheid voor vergoeding van geneesmiddelen in deze fase → er moet altijd eerst een oordeel zijn over stand van de wetenschap en praktijk*

De Commissie Wees

voor niet-oncologische weesgeneesmiddelen

- Ronde Tafel Weesgeneesmiddelen van ZIN
- Aansluiting informatie Horizonscan
- Pilot projecten:
 - ‘beheerste instroom van niet-oncologische intramurale weesgeneesmiddelen’
 - Orphan Drug Access Protocol

<https://www.zorginstituutnederland.nl/werkagenda/overige-onderwerpen/ronde-tafel-weesgeneesmiddelen>



Advisering over de klinische waarde en gepast gebruik van niet-oncologische nieuwe geregistreerde weesgeneesmiddelen en nieuwe weesindicaties van al bestaande geneesmiddelen ondersteunend aan de wetenschappelijke verenigingen

Orphan Drug Access Protocol

Initiatief van leden van het platform Ronde Tafel Weesgeneesmiddelen met Medicijn voor de Maatschappij (MvdM, Amsterdam UMC), verzekeraars, patiëntvertegenwoordigers, ZiNL
Financiering pilot (3-5 jaar) via ZN, uitvoering door MvdM

Doel: nieuwe, veelbelovende weesgeneesmiddelen snel, maar op een beheerste manier, beschikbaar maken



Doelmatigheid “aan de voorkant”

Geneesmiddelen

- nieuwe, niet oncologische weesgeneesmiddelen
- positieve beoordeling EMA
- voldoen niet aan sluiscriteria
- vallen onder geneeskundige zorg
- SW&P: alleen onder randvoorwaarden, want precieze toepassing/indicatie nog onduidelijk

Toegang tot weesgeneesmiddelen, uitdagingen

Vergoedingstraject:

- Onzekerheden over de effectiviteit, zeker op de lange termijn
- SWP beoordeling zeer stringent
- Hoge prijs
- Middelen voor zeldzaam over het algemeen niet kosteneffectief volgens huidige criteria



Toegang tot weesgeneesmiddelen, kansen

Vergoedingstraject:

- Inbreng vanuit eigen ervaring met middel (PO en ECZA) en kennis ziektebeeld
- Kennis van Europese ontwikkelingen (Europese PO-zusterorganisatie)
- Goede samenwerking ECZA en PO en goede contacten met alle partijen (vinger ad pols)
- Alternatieve trajecten: Voorwaardelijk toelating of ODAP

Treatment readiness:

- ECZA is voorbereid op behandeling en kan patiënten aantallen aan.
- Dit wordt ondersteunt vanuit zorginstelling waartoe ECZA behoort.



Uiteindelijk gaat het om de patiënt

De rol van de patiëntenorganisatie:

- Heeft geen formele bevoegdheid: oliemannetje
- Is zo vroeg mogelijk in het traject betrokken
- Samen met enkele actieve patiëntvertegenwoordigers
- Werkt met alle partijen samen, signaleert problemen en zoekt oplossingen
- Reageert vanuit het patiëntperspectief, diplomatiek waar het kan, hard waar het moet
- Handelt altijd vanuit onafhankelijke positie
- Wisselt info uit met Europese (of internationale) koepel

