

Geneeskunde

INTERVIEW ANS VAN DER PLOEG, BEDENKSTER VAN HET POMPEMEDICIJN

Het medicijn tegen de ziekte van Pompe werd bedacht in Rotterdam. Maar het middel is zo duur dat daar nu wordt gezocht naar een goedkoper alternatief.

Tekst: Ellen de Visser
Foto: Joost van den Broek



Ans van der Ploeg in het Rotterdamse Sophia Kinderziekenhuis met pompepatiënt Mike. 'Wij werken aan goedkopere behandelingen.'

'Ook ik snap dat je moet kiezen'

Vraag van een 14-jarige jongen met de ziekte van Pompe, vlak na de verkiezingen: 'Is dit een gunstige uitslag of moet ik toch dood?'

Voor hoogleraar Ans van der Ploeg zijn in die ene zin alle emoties van de afgelopen maanden samengebond. Van der Ploeg, hoofd van het centrum voor lysosomale en metabole ziekten in het Erasmus MC, kent alle 140 patiënten met de ziekte van Pompe en weet welke invloed de discussie over de vergoeding van hun medicijn op hen heeft gehad. Wel of niet vergoeden, dat is het verschil tussen een leven met of zonder toekomst, zegt ze.

De behandeling van de zeldzame spierziekte is zo duur dat het College voor Zorgverzekeringen (CvZ) eind juli adviseerde om alleen de kosten van de medicijnen voor baby's nog te vergoeden. Bij die kleine groep is de effectiviteit van het geneesmiddel aangetoond, bij de rest niet, aldus het CvZ. Het geld kan bij de huidige schaarste beter aan andere patiënten worden besteed die per euro mogelijk veel meer gezondheidswinst boeken.

Het publieke debat dat volgde, ging over veel meer dan alleen de ziekte van Pompe, het ging over de vraag: hoeveel mag een mensleven kosten? Van der Ploeg bleef al die tijd op de achtergrond. Vorige week vrijdag hield ze tijdens een hoorzitting bij het CvZ een vurig betoog waarin ze de conclusies van het college 'misleitend' noemde en de discussie, over het hoofd van de patiënten, onethisch.

Aan het einde van de dag werd het besluit teruggedraaid. Het medicijn wordt voorlopig vergoed. Er komt een apart fonds voor geneesmiddelen tegen zeldzame ziekten.

Toch blijven er vragen liggen. Bijvoorbeeld: waarom is het geneesmiddel Myozyme zo duur? Patiënten hebben een en

zynn nodig, dat ze door een genetisch defect niet of onvoldoende aanmaken.

Daardoor hoort zich glycogeen op in hun weefsels, die daardoor beschadigd raken. Dat menselijke enzym wordt gemaakt in kweekreactoren in Amerika en België waar het wordt geproduceerd in ovariumcellen van Chinese hamsters.

Het middel is ruim driehonderd keer zo duur als goud: de drie kilo die jaarlijks nodig is, kost 35 miljoen euro. De Leidse hoogleraar medische besiskunde Job Klevit bekeerde vrijdag tijdens de hoorzitting van het CvZ de schimmige opstelling van farmaceut Genzyme. Die verdient volgens hem per patiënt per jaar honderdduizenden euro's maar weigert inzicht te geven in de ontwikkelingskosten.

Van der Ploeg stond, samen met bioloog chemicus Arnold Reuser, aan de wieg van dat medicijn. 25 jaar Rotterdam onderzoek maakten van de ziekte van Pompe wereldwijd de eerste behandelbare erfelijke spierziekte. Het Erasmus MC krijgt van Genzyme een kleine vergoeding voor dat onderzoekswerk.

Heeft u inzicht in die productiekosten?

'Nee, dan moet je bij de farmaceut zijn. Maar vergeet niet: het gaat om een bijolo-gisch geneesmiddel, niet om een goedkope statine die van de lopende band rolt. Concurrentie is trouwens onderweg. We werken in ons lab aan betere en goedkopere behandelingen tegen de

Myozyme wordt gemaakt in ovariumcellen van Chinese hamsters en is driehonderd maal zo duur als goud

ziekte. Andere bedrijven zijn bezig om vergelijkbare enzymen te maken.'

Behandelingen tegen zeldzame ziekten kosten altijd veel geld. Hoe te voorkomen dat deze discussie de komende tijd steeds opnieuw wordt gevoerd?

'Van de bevolking heeft 6 procent een zeldzame ziekte. Het heeft geen zin om daarvoor medicijnen te ontwikkelen als uiteindelijk blijkt dat we die onbetaalbaar vinden. We moeten vooraf richtlijnen opstellen over de bekostiging en niet achteraf. Voordat een middel op de markt komt, moet je als onderzoeker en als farmaceut weten waar je aan toe bent. Nu is de discussie in een veel later stadium in gang gezet, zonder overleg. Daardoor belanden behandelaars en wetenschappers in een soort spagaat en worden de patiënten gemarginaliseerd.'

Maar ook bij zeldzame, dodelijke ziekten mag je toch discussiëren over de behandelkosten?

'Absoluut - ook wij snappen dat keuzen moeten worden gemaakt. Maar wel op basis van de juiste gegevens. Het CvZ concludeerde in het adviesrapport dat de overlevingswinst van patiënten zeer beperkt zou zijn. Dat klopt niet.'

Toch baseert het CvZ zich op onderzoek.

'De oorzaak van de ziekte is bij alle patiënten hetzelfde. Ze hebben allemaal hetzelfde enzym en ook de behandeling is bij allemaal hetzelfde: dat enzym toedienen. Dan is het onlogisch om te bedenken dat het principe alleen bij baby's werkt en bij de rest niet. Het onderzoek naar het effect van enzymtherapie is in 1999 bij baby's begonnen omdat die vaak zo'n groot tekort hebben dat zich dat snel openbaart. De ziekte is een soort bulldozer in hun lijf, in no time stapelen zich suikers op waardoor spieren kapot gaan. Met enzymtherapie boek je

De ziekte van Pompe

In Nederland zijn 140 patiënten met de ziekte van Pompe. De ziekte dankt zijn naam aan de Nederlandse arts Pompe die het ziektebeeld in de jaren dertig van de vorige eeuw voor het eerst beschreef. De ziekte leidt tot een opeenhoping van stoffen in het lysosoom, de afvalbak van de cellen. Gevolg: spieren worden steeds zwakker en de ademhaling verloopt steeds moeizamer.

dan een spectaculair resultaat.

Maar als de ziekte later aanvangt - bij peuters, pubers, volwassenen - dan zien we gradaties in ernst. En als een aandoe-ning trager verloopt, is het lastiger om op korte termijn effect van een behandeling aan te tonen. Twee jaar geleden zijn de resultaten van onderzoek bij volwassenen gepubliceerd. Na slechts twee jaar behandeling zagen we toch lichte vooruitgang. Naar de effecten op lange termijn is meer onderzoek nodig.

Hoe doe je dat? Als het medicijn werkt, is het oneethisch een groep patiënten een placebo te geven.

'Die gegevens komen uit de observatie van patiënten. Alle patiënten worden elk kwartaal in Rotterdam getest: hoe is hun

longfunctie en hun spierkracht, hoe ver kunnen ze lopen? Zo brengen we het verloop van de ziekte in kaart.

We doen ook al jaren mee aan een wereldwijd onderzoek waarvoor patiënten vragenlijsten invullen. Zo hebben we vastgesteld dat met de komst van de enzymbehandeling de overlevingskans van patiënten fors is gestegen. Wel blijven patiënten verschillend op de behandeling te reageren. We willen onderzoeken wie er het meeste baat bij hebben zodat we mogelijk de richtlijnen voor behandeling kunnen aanscherpen. Maar harde meegegevens zijn lastig te vergaren. Het is geen hoge bloeddruk waarvoor grenswaarden bestaan. En soms kan het voor een patiënt al heel veel betekenen dat de ziekte stabili-seert.'

ADVERTENTIE

SCHONE OPPERVLAKTES MET NANOTECHNOLOGIE

MESA+ van de Universiteit Twente, is een van de grootste onderzoeksinstituten voor nanotechnologie ter wereld. Vanuit Enschede worden er vele successen geboekt op talloze wetenschappelijke gebieden. Zo ontwikkelde Mesa+ een nieuw materiaal dat niet alleen waterafstotend maar ook olieafstotend is. Dit opent bijvoorbeeld de weg naar schermplaatjes voor smartphones die niet vies kunnen worden. Enschede is trots op dit onderzoek van nu en het belang voor de toekomst.

TWENTE.COM/ENSCHUDE

