



Reactie Sanofi op het vergoedingsbesluit voor de behandeling van patiënten met ASMD.

Sanofi betreurt dat er geen overeenkomst is bereikt over vergoeding van de behandeling voor patiënten met ASMD (Niemann-Pick type A/B) in Nederland. Dit besluit heeft veel impact op de patiënten, die lijden aan deze zeer zeldzame ziekte en nog wachten op therapie.

Sinds de EMA-goedkeuring in 2022 heeft Sanofi, op verzoek van gespecialiseerde artsen, de behandeling beschikbaar gesteld aan de patiënten die hiervoor in aanmerking kwamen. Sanofi blijft zich inzetten voor continuïteit van deze specifieke zorg.

De medische meerwaarde voor patiënten staat buiten kijf en wordt breed erkend; de discussie over maatschappelijke aanvaardbaarheid van de kosten is echter gebaseerd op verouderde kosten-effectiviteitscriteria die onvoldoende aansluiten bij de unieke uitdagingen van zeldzame ziekten.

De actualisatie van het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten en de inrichting van het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen (TSG) bieden kansen om het beleid beter af te stemmen op deze uitdagingen en zo de toegang tot innovatieve therapieën te verbeteren. Een oplossing vinden is zeer urgent vanwege de toenemende wachttijden voor nieuwe geneesmiddelen in Nederland, zo blijkt uit de [EFPIA WAIT-indicator](#).

Sanofi wil actief bijdragen aan verbeterd beleid voor de toegang van Weesgeneesmiddelen. De recent ontwikkelde routekaart Weesgeneesmiddelen met bijdragen van veldpartijen biedt een waardevol startpunt voor verdere samenwerking.

Over ASMD

Bij patiënten met ASMD leidt een genetische mutatie in het ASM-gen tot ophoping van de stof sphingomyeline in verschillende weefsels. Dit veroorzaakt geleidelijke schade aan organen. De aandoening uit zich onder andere in een vergrote milt en lever, bloedafwijkingen zoals anemie, en klachten als vermoeidheid, duizeligheid, blauwe plekken en spontane bloedingen.

Daarnaast kan schade aan de longen leiden tot benauwdheid en terugkerende longontstekingen. Ook treden vaak afwijkingen op in het cholesterolprofiel, wat het risico op hart- en vaatziekten verhoogt. Door deze combinatie van symptomen en complicaties is zowel de levensverwachting als de kwaliteit van leven van ASMD-patiënten aanzienlijk verminderd.