

Geachte leden van de adviescommissie pakket,

Ik dank u voor de mogelijkheid om namens de Nederlandse AL-amyloïdose patiënten te kunnen inspreken bij deze vergadering. In onze brief hebben wij ons betoog iets uitvoeriger beschreven. Gezien de beperkte toegestane inspreektijd is dit een korte samenvatting.

Mijn naam is Jeroen Smits, sinds drie jaar bestuurslid van Stichting Amyloïdose Nederland. Zowel SAN als ikzelf hebben geen conflicterende belangen inzake dit dossier.

AL-amyloïdose is een geniepige ziekte:

- Symptomen dienen zich aan vanuit diverse richtingen
- Het duurt vele jaren voordat de diagnose gesteld wordt,
- Gedurende die zoektijd zijn er twee tot vier specialisten geconsulteerd
- De standaardbehandeling is voor 50% van de patiënten onvoldoende en aanvullende behandeling is dan nodig
- De aanvullende behandeling is stamceltransplantatie; een zeer zware behandeling. Slechts 20% kan deze aan
- Bij hartbetrokkenheid en onvoldoende conditie is de levensverwachting minder dan een jaar. Dat geldt voor 30-40% van de patiënten.
- Overall 5 jaars overleving is nu 65%
- Bij beschikbaarheid van daratumumab stijgt dit naar 76%.
- Dit betekent dat er na vijf jaar 16 mensen minder dood zijn.

Een persoonlijk relaas:

- Na ruim 8 jaar zoeken en langs vier specialisten werd bij mij in 2016 AL vastgesteld. Inmiddels schade aan darmkanaal, hart, zenuwstelsel.
- Ik kon niet meer lopen, was ruim 40 kilo lichter, had een extreem lage bloeddruk, zware diarree en polyneuropathie
- Chemokuren werden ingezet om snel de ziekte tot stilstand te brengen. Dat was een zeer zware aanslag op de conditie met een uitzicht op onvoldoende resultaat. Uiteindelijk bleef één weg over.
- Na indringende en emotionele gesprekken met de hematoloog en in het gezin werd besloten om stamceltransplantatie te doen. Er was geen alternatief. Bij geen behandeling was het vooruitzicht nog enkele maanden te leven.
- Behandeling geslaagd, maar uiteindelijk heeft het behandel- en herstel-traject lang geduurd en kon ik bijna twee jaar niet werken.
- Deze jaren waren ook zeer zwaar voor mijn partner.
- Gelukkig kon ik bij de werkgever terugkomen, maar wel in een andere functie en parttime. Een financiële aderlating van ruim 30% op jaar basis. En bovendien ben ik vervroegd met pensioen gegaan.

- Ik heb niet uitgerekend hoe groot de financiële impact voor mij en mijn partner is geweest, want ik ben nog steeds enorm blij dat ik er überhaupt nog ben.

En zo kennen we veel meer voorbeelden uit onze patiëntenorganisatie.

Een medebestuurslid

- Bij hem werd op 40-jarige leeftijd AL-amyloïdose vastgesteld.
- Na het heftige standaardtraject werd hij op 42-jarige leeftijd arbeidsongeschikt, "onvrijwillig gepensioneerd".
- Nadat de ziekte weer actief werd, vijf jaar later, waren behandelopties niet effectief en uiteindelijk heeft daratumumab wel tot stilstand geleid.

Bij een ander bestuurslid

- werd 14 jaar geleden AL vastgesteld. Met name de nierfunctie was enorm slecht.
- De standaardbehandeling CyBORd gaf resultaat, met veel bijwerkingen.
- Vorig jaar zeer sterke activering van de ziekte met snelle achteruitgang van nierfunctie; (vrijwel tot dialyse-niveau)
- Onmiddellijke toediening van daratumumab
- Na een half jaar en 16 injecties succesvol resultaat,
- Geen onderbreking van werk, geen energieverlies of vervelende bijwerkingen.

Daratumumab:

- Is levensreddend voor hen die de zware behandelingen niet aankunnen.
- Geeft een beter te dragen traject van behandeling en herstel dan de standaardbehandeling.
- Betekent betere kwaliteit van leven en minder ingrijpende gevolgen op financieel, psychisch en sociaal gebied voor patiënt, partners, gezinnen.

Afsluitend:

- Het is onverteerbaar dat daratumumab niet beschikbaar is voor onze patiënten
- Al sinds 2021 op Europees niveau als veilig verklaard door EMA
- Inmiddels beschikbaar in vele landen om ons heen Frankrijk, Duitsland, UK, Zweden, Zwitserland, Spanje, Griekenland, Italië, België

Het proces heeft al veel te lang geduurd en ieder jaar weer sterven er onnodig veel patiënten en wordt er onnodig veel leed aangericht binnen vele gezinnen.

Wij werken er keihard aan om bekendheid rondom de ziekte te bewerkstelligen.

De patiënten kunnen er dan hopelijk op rekenen dat u hen in staat stelt om dit medicijn toegediend te krijgen.

Ik dank u voor uw aandacht.

Jeroen Smits, bestuurslid Stichting Amyloïdose Nederland