

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

GMT/IB/3096637

Bijlage(n)

1

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

Datum 29 februari 2012

Betreft De Nederlandse strategie met betrekking tot de zeldzame
ziekten

Geachte voorzitter,

Bij deze bericht ik u over de Nederlandse strategie voor de komende jaren op het terrein van de zeldzame ziekten en de weesgeneesmiddelen. De aanleiding hiertoe is de AANBEVELING VAN DE RAAD (de Europese Raad van Ministers van Volksgezondheid) van 5 juni 2009 over de zeldzame ziekten. Het doel van deze AANBEVELING is het verbeteren van de diagnostiek en behandeling van patiënten met een zeldzame ziekte in de lidstaten van de EG. Een belangrijk aspect hierin is dat de lidstaten zich verplichten tot het ontwikkelen van een nationaal plan of nationale strategie, waarbij 2013 aangehouden wordt als jaar van implementatie. De afgelopen tijd heeft de Nederlandse overheid onderzocht wat een geschikte strategie voor de komende jaren zou kunnen zijn. Zij heeft de strategie van de afgelopen jaren hierbij betrokken. Het uitgangspunt van de overheid is dat deze strategie en het hieruit voortkomende beleid het lot van patiënten met een zeldzame ziekte moet verbeteren. Alvorens nader in te gaan op de strategie voor de komende jaren is het zinvol in te gaan op het beleid en de uitkomsten van de voorgaande jaren omdat de nieuwe strategie deels een voortzetting zal zijn van de strategie in de voorgaande jaren.

Het beleid van de voorgaande jaren

De overheid heeft in 1996 advies gevraagd aan de relevante partijen op het terrein van de zeldzame aandoeningen, onder wie patiënten en zorgverleners, maar ook onderzoekers, verzekeraars, farmaceutische bedrijven en semioverheidsorganisaties zoals het College voor zorgverzekeringen (CVZ) en het College ter beoordeling van geneesmiddelen (CBG). Nederland behoort, met Frankrijk, tot de eerste landen binnen Europa die een strategie ontwikkeld hebben en hiervoor financiële middelen beschikbaar hebben gemaakt. Nederland is daarnaast actief betrokken bij internationaal overleg en beleid ten aanzien van de zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen. Het merendeel van dit laatste vindt plaats in Europees verband, maar soms ook buiten Europa. Nederland draagt daarnaast financieel bij aan het Europese beleid ten aanzien van de zeldzame ziekten via de meerjarenbegroting van de EU.

Een belangrijke stap werd gezet in 2001. Mijn ambtsvoorganger, Mw. dr. E. Borst, heeft destijds de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen (hierna te noemen: de

stuurgroep) ingesteld. De stuurgroep is in functie geweest tot en met 31 december jl. In de stuurgroep hadden de volgende partijen zitting: patiëntenorganisaties, vertegenwoordigers van de farmaceutische industrie, de zorgverzekeraars, de academische wereld, CVZ en CBG. De stuurgroep had als opdracht het inventariseren, en waar nodig coördineren en stimuleren, van activiteiten en initiatieven op het terrein van de zeldzame aandoeningen. Het verbeteren van de informatie ten behoeve van vooral patiënten is vanaf het begin een belangrijk punt van aandacht geweest voor de stuurgroep. Daarnaast is de stuurgroep actief geweest op het terrein van de vergoeding van weesgeneesmiddelen en het stimuleren van wetenschappelijk onderzoek. De stuurgroep heeft een belangrijke rol gespeeld bij het overleg over de Beleidsregel dure geneesmiddelen en weesgeneesmiddelen en heeft een inhoudelijke rol gespeeld bij het Priority Medicines rapport uit 2004 en bij het ontwikkelen van het Priority Medicines ZonMw-programma Zeldzame Aandoeningen en Weesgeneesmiddelen. Financiering van de stuurgroep vond uitsluitend plaats via een overheidssubsidie ter hoogte van € 450.000 per jaar. Samenvattend kan men stellen dat de stuurgroep een belangrijk element is geweest in de Nederlandse strategie ten aanzien van de zeldzame ziekten.

Kenmerk
GMT/IB/3096637

Huidige situatie

In vergelijking met vijftien jaar geleden is op een aantal punten duidelijk verbetering opgetreden. De bekendheid met de termen 'zeldzame ziekten' en 'weesgeneesmiddelen' is in Nederland toegenomen bij professionals in de zorg, bij patiënten en bij wetenschappelijke onderzoekers. De bekendheid is ook toegenomen bij farmaceutische bedrijven, zorgverzekeraars, investeerders met risicokapitaal en bij de media en het algemene publiek. De toegenomen bekendheid onder de professionals in de zorg vind ik van bijzonder belang omdat verbetering van zorg begint met een juiste diagnose. Daarnaast blijkt dat veel praktische en medische problemen waar patiënten met een zeldzame ziekte mee geconfronteerd worden behoren tot het werkterrein van zorgverlener(s) en zorginstellingen. Betrokkenheid en expertise van professionals in de zorg zijn dus van groot belang. Aan verschillende universitaire medische centra bestaan al langere tijd vakgroepen die patiënten met een zeldzame ziekte onder hun hoede hebben en wetenschappelijk onderzoek verrichten. Hun activiteiten op dit terrein zijn de laatste jaren duidelijk toegenomen, evenals hun onderlinge samenwerking. Ten aanzien van deze samenwerking speelt de Nederlandse Federatie van Universitaire Medische Centra (NFU) een stimulerende en coördinerende rol. Enkele andere aspecten met betrekking tot de huidige situatie zijn de volgende. Ten behoeve van het verbeteren van de zorg heb ik in december 2010 een subsidie verleend aan een overkoepelende patiëntenorganisatie met als doel het ontwikkelen van zorgstandaarden voor patiënten met een zeldzame aandoening. Een ander voorbeeld betreft de Taaislijmziekte. Deze ziekte komt in tegenstelling tot de meeste andere zeldzame aandoeningen relatief veel voor en over de ziekte is ook veel bekend. Op 1 januari 2012 is een *pilot* gestart met een duur van één jaar met als doel het testen van een model voor de integrale zorg en bekostiging van deze ziekte.

Er is thans meer informatie beschikbaar over de beschikbare weesgeneesmiddelen dan eerder het geval was, zowel voor professionals in de zorg, voor patiënten als voor anderen. Men kan hiervoor ondermeer terecht bij het CBG en het CVZ. Farmaceutische bedrijven kunnen bij het CBG terecht voor informatie over de te volgen procedures bij het indienen voor een aanvraag voor de Europese registratie van een weesgeneesmiddel en bij het CVZ voor een aanvraag voor vergoeding. De zeer dure weesgeneesmiddelen worden in Nederland alle vergoed, de

extramuraal toegepaste geneesmiddelen via het Geneesmiddelenvergoedingssysteem (GVS), de intramuraal toegepaste geneesmiddelen via het ziekenhuisbudget of – tot en met 31 december 2011 - indien aan bepaalde voorwaarden is voldaan, via de Beleidsmaatregel weesgeneesmiddelen. Vanaf 1 januari jl. worden de weesgeneesmiddelen die gefinancierd werden via de genoemde Beleidsregel, vergoed via de zogenoemde *add on* bekostiging. Indien een arts, in het kader van een behandeling van een patiënt met een zeldzame ziekte, een weesgeneesmiddel toedient, kan de zorginstelling dit middel – mits gekoppeld aan een DBC-zorgproduct – declareren. Alleen de UMC's mogen echter declareren.

Kenmerk
GMT/IB/3096637

Farmaceutische bedrijven, waaronder ook kleine en middelgrote bedrijven, zijn inmiddels goed op de hoogte van de procedures voor het indienen van een registratieaanvraag bij de Europese Geneesmiddelenautoriteit (EMA) in Londen en over het aanvragen van opname in het GVS. Farmaceutische bedrijven zijn de afgelopen jaren ook beter op de hoogte geraakt van de bredere problematiek rond de zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen. De patiënten met een zeldzame ziekte hebben zich nationaal en internationaal niveau georganiseerd en expertise verworven. Het is, samenvattend, duidelijk dat de partijen die zitting hebben in de stuurgroep expertise hebben ontwikkeld gedurende de afgelopen jaren.

Een ander aspect betreft de screening van pasgeborenen via de hielprik. De overheid heeft deze vorm van screening enkele jaren geleden ingesteld. De uitslag van dit onderzoek stelt vast of een pasgeborene een bepaalde ziekte heeft of dat een ziekte in aanleg aanwezig is. Het uitgangspunt van het huidige screeningsbeleid is dat dit moet leiden tot gezondheidswinst voor de patiënt, anders gesteld, dat de betreffende ziekte behandeld kan worden. De aandoeningen die opgespoord worden via de hielprik zijn overigens alle zeldzaam. De overheid verleent daarnaast subsidie ten behoeve van de opsporing van erfelijke tumoren.

Strategie voor de komende jaren

De ontwikkelingen van de afgelopen jaren zijn bemoedigend geweest, de stuurgroep, de partijen die zitting hierin hebben, maar ook anderen hebben veel tot stand gebracht. De relevante partijen kunnen met de opgebouwde expertise op hun specifieke terrein (zorg, onderzoek, ontwikkeling van weesgeneesmiddelen, informatievoorziening e.d.), maar ook met de kennis die zij verworven hebben op het terrein van de andere deelnemende organisaties nu nog meer zelf initiatieven ontplooiën en samenwerken dan eerder het geval was. Vanwege deze ontwikkelingen kwam de overheid tot de conclusie dat een voortzetten van de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen in zijn bestaande vorm niet meer nodig was en startte het overleg met de stuurgroep over een verandering in de relatie met de relevante partijen vanaf 2012. Dit overleg heeft sinds 2008 plaatsgehad en de uitkomst hiervan is dat de partijen in de stuurgroep die taken gaan overnemen waar zij expertise op verworven hebben. Taken die niet direct bij een bepaalde organisatie zijn onder te brengen, bijvoorbeeld een algemene loketfunctie en het versterken van de stem van de patiënt, zullen bij een apart hiervoor in te richten secretariaat bij ZonMw ondergebracht worden. Ten behoeve van de werkzaamheden van dit secretariaat stel ik € 880.000 beschikbaar voor de jaren 2012-2015. Het Forum Biotechnologie en Genetica, eveneens volledig gesubsidieerd door het ministerie van VWS, heb ik opgedragen algemene aspecten met betrekking tot de zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen te agenderen. Een aantal andere taken, bijvoorbeeld het screeningsbeleid en de vergoeding van weesgeneesmiddelen, blijft een specifieke overheidstaak. Inmiddels is de stuurgroep op 31 december jl. opgeheven en heb ik ZonMw opgedragen het

genoemde secretariaat in te stellen.

De vergoeding van de weesgeneesmiddelen kwam al kort ter sprake in het bovenstaande. Vanaf 1 januari 2014 zullen alle weesgeneesmiddelen onder de ziekenhuisfinanciering komen te vallen. Dit betekent dat de weesgeneesmiddelen vanuit het GVS naar het ziekenhuiskader worden overgeheveld en nieuwe weesgeneesmiddelen alleen nog maar via de ziekenhuisfinanciering bekostigd zullen worden. Deze overheveling heeft geen invloed op de aanspraak van weesgeneesmiddelen voor de patiënt. De overheveling past in een breder beleidsmatig traject om alle medisch specialistische geneesmiddelen over te brengen naar de ziekenhuisfinanciering en is dus niet uniek voor weesgeneesmiddelen.

In de bijlage bij deze brief heb ik de strategie voor de komende jaren nader uiteengezet.

Kenmerk
GMT/IB/3096637

Hoogachtend,
de Minister van Volksgezondheid,
Welzijn en Sport,

mw. drs. E.I. Schippers