

Stichting Comité Weesgeneesmiddelen

Lange Voorhout 58 1

2514 EG Den Haag

Zorginstituut Nederland

t.a.v. Lotte Hermsen en Huib Kooijman

Postbus 320

1110 AH Diemen

Den Haag, 10 maart 2026

Onderwerp: Input op consultatie document van Stichting Comité Weesgeneesmiddelen

Geachte mevrouw Hermsen en heer Kooijman,

Dank voor uw uitnodiging om samen met andere veldpartijen een bijdrage te leveren aan de totstandkoming van het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen (hierna TSG). Hieronder treft u enkele, in onze ogen, belangrijke thema's aan waar wij de komende tijd aandacht voor zullen vragen.

Heterogene kleine patiëntaantallen vragen om een aangepaste benadering

Zeldzame aandoeningen betreffen per definitie kleine, vaak heterogene patiënten populaties met (zeer) beperkte klinische data. Dit vraagt om een meer expliciete en aangepaste benadering binnen het maatschappelijk wegingskader dan geldt voor aandoeningen met grotere populaties waarvoor meer robuuste data beschikbaar is.

Vanuit de gedeelde doelstelling om het zorgstelsel betaalbaar, rechtvaardig en toekomstbestendig te houden, wil het Comité positief en constructief bijdragen aan de verdere vormgeving van het TSG, met specifieke aandacht voor patiënten met (zeer) zeldzame aandoeningen.

Het Comité constateert dat bij de huidige uitwerking van TSG, net als in het huidige systeem, een sterke nadruk op uniformiteit in beoordeling lijkt te liggen. Een dergelijke uniforme benadering is niet waardevrij en kan voor weesgeneesmiddelen in de praktijk leiden tot vertraging, 'non-submission' of het uitblijven van Nederlandse patiënttoegang. Wij realiseren ons dat de specifieke criteria en drempelwaardes nog niet gedefinieerd zijn. Juist daarom willen wij oproepen om in de verdere uitwerking en implementatie van TSG een specifieke route voor weesgeneesmiddelen ('orphan track') in te richten, als nadere invulling van het risico gestuurde karakter van het TSG.

Richt binnen het TSG een 'Orphan Track' in

Juist voor weesgeneesmiddelen en innovatieve therapieën zoals bijvoorbeeld gentherapieën ligt er een kans om met heldere en proportionele eisen, binnen een specifieke 'orphan track', de toegang voor

patiënten te verbeteren en tegelijkertijd voorspelbaarheid en efficiëntie in het beoordelingsproces te vergroten. Wij stellen daarom voor om binnen TSG een 'orphan track' in te richten waarbij:

1. **Risico-identificatie met veldpartijen;** Patiënten(verenigingen), klinische experts, ZIN en de fabrikant definiëren voor of direct na EMA gezamenlijk de reële pakketrisico's en daadwerkelijke patiëntwaarde, om latere onzekerheden en vertragingen in het proces te voorkomen. Het uitwerken van positionering, patiënten karakteristieken en patiëntaantallen zorgt ervoor dat de toepassing in de praktijk zo goed mogelijk kan worden gedefinieerd. Hierdoor kan onzekerheid aan de voorkant en in gezamenlijkheid geadresseerd worden;
2. **Risicoduiding met heldere definities en criteria** voor innovatieve (ultra); weesgeneesmiddelen, inclusief aangepaste kosteneffectiviteitsverwachtingen en aanvullende waarde-elementen. Daarbij komt dat bij 'first-to-market' innovaties vaak beperkte of geen vergelijkingsmateriaal beschikbaar is. Weesgeneesmiddelen worden regelmatig vergeleken met niet-gerichte standaardzorg, zoals bijvoorbeeld symptoombestrijding. Deze vergelijking leidt tot kunstmatig hoge ICER's, waardoor weesgeneesmiddelen sneller als niet-kosteneffectief worden beoordeeld, ondanks een substantiële gezondheidswinst voor patiënten. Binnen een 'orphan track' kan deze context expliciet worden meegewogen in de risicoduiding, passend bij de kenmerken van zeldzame aandoeningen.
3. **Risicobeheersing:** Een raamwerk van mitigerende maatregelen, zoals start- en stop criteria met uitkomstgerichte ('value-based') afspraken binnen weesgeneesmiddelenarrangementen.

Het Comité onderkent het belang van separate beleidsoplossingen voor sterk geïndividualiseerde ultraweegeneesmiddelen. Tegelijkertijd betreft dit slechts een beperkt deel van de weesgeneesmiddelen. Een 'orphan track' binnen het TSG is noodzakelijk om te voorkomen dat overige weesgeneesmiddelen tussen deze beleidsoplossingen en het reguliere instroomproces terechtkomen.

Weesgeneesmiddelenarrangementen bieden uitkomst

Het is effectiever en efficiënter om aan de voorkant samen met veldpartijen te werken aan een gerichte inzet van weesgeneesmiddelen. Door gezamenlijk behandelprotocollen, start- en stopcriteria en monitoringafspraken vast te leggen, kunnen effecten voor relevante patiënten worden geoptimaliseerd en wordt het risico op ongepast gebruik tijdig geminimaliseerd. Weesgeneesmiddelenarrangementen bieden hiervoor een geschikt instrument. Zo ontstaat een transparant en proportioneel kader dat gepast gebruik borgt en tegelijkertijd recht doet aan de specifieke kenmerken van weesgeneesmiddelen en de noodzaak van tijdige patiënttoegang.

Een meer gestroomlijnde beoordeling, met een duidelijke 'orphan track' binnen het TSG, maakt efficiënter gebruik van middelen en expertise mogelijk. Binnen deze 'orphan track' kunnen betrokken partijen gezamenlijk werken aan weesgeneesmiddelenarrangementen met afspraken over gepast gebruik, monitoring en dataverzameling. Dit vermindert onduidelijkheid en oponthoud, verkort de doorlooptijden en voorkomt inzet van uitgebreide beoordelingsroutes met een voorspelbare uitkomst, zowel voor weesgeneesmiddelen als ook voor andere geneesmiddelen binnen het TSG.

In verschillende landen wordt geëxperimenteerd met vormen van gecontroleerde vroege toegang en dataverzameling om onzekerheden rondom weesgeneesmiddelen te adresseren.

Verschuillende initiatieven laten zien dat een risico gestuurde aanpak voor weesgeneesmiddelen in de praktijk kan werken. Een concreet Nederlands voorbeeld hiervan is het 'Orphan Drug Access Protocol'

(ODAP). Via representanten van Medicijn voor de Maatschappij vernamen wij nog enkele voordelen van ODAP, zoals:

- patiënten krijgen sneller toegang;
- de betaalbaarheid van weesgeneesmiddelen kan verbeteren door gemaakte afspraken aan de voorkant (hierboven wordt dat ook voorgesteld binnen een TSG 'orphan track');
- de kwaliteit van zorg verbetert door een betere samenwerking.

ODAP laat daarmee zien dat vroege, gecontroleerde toegang tot weesgeneesmiddelen mogelijk is wanneer veldpartijen **vooraf** afspraken maken over patiëntselectie, monitoring en uitkomstgerichte vergoeding. Tegelijkertijd is ODAP in zijn huidige vorm slechts geschikt voor een beperkt aantal indicaties. Dit onderstreept het belang van een bredere, structurele 'orphan track' binnen het TSG, waarin dergelijke principes breder toepasbaar worden gemaakt.

De ervaringen met ODAP laten zien dat een dergelijke aanpak in Nederland uitvoerbaar is. Het Comité pleit er daarom voor om binnen het TSG een bredere 'orphan track' in te richten, waarin vergelijkbare principes – zoals vroege samenwerking, duidelijke behandelprotocollen en uitkomstgerichte afspraken – structureel kunnen worden toegepast.

Positief & constructief

Het Comité denkt graag op een positieve en constructieve wijze mee over de verdere uitwerking en mogelijke pilots, samen met patiëntenorganisaties, behandelaren, Zorginstituut Nederland, het ministerie van VWS en zorgverzekeraars. Zo kunnen we gezamenlijk borgen dat Nederlandse patiënten, juist ook degenen met zeldzame aandoeningen, tijdig toegang houden tot de best beschikbare behandelingen binnen een inclusief, duurzaam en toekomstbestendig zorgstelsel.

Het Comité is verheugd uitgenodigd te zijn voor de aankomende veldraadplegingen. Bovenstaande lichten wij dan graag nader toe en leveren desgewenst onderbouwende voorbeelden en aanvullende data aan.

Met vriendelijke groet,

Namens de begunstigers van Stichting Comité Weesgeneesmiddelen

Thomas Calis, voorzitter
Stichting Comité Weesgeneesmiddelen

