



V S O P

## PATIËNTENKOEPEL VOOR ZELDZAME EN GENETISCHE AANDOENINGEN

Betreft: Toegang tot weesgeneesmiddelen  
Input voor commissiedebat *Zorgverzekeringsstelsel (incl. Pakketbeheer)*

Utrecht, 3 juni 2026

Ons kenmerk: 26-004 MK

Geachte leden van de Vaste Kamercommissie voor Volksgezondheid, Welzijn en Sport,

Nieuwe weesgeneesmiddelen bieden vaak de eerste en enige behandelmogelijkheid voor mensen met een zeldzame aandoening. Toch komt in Nederland slechts 39% van deze middelen - binnen afzienbare tijd na verlening van de handelsvergunning - beschikbaar voor patiënten.<sup>1</sup> Met 18 patiëntenorganisaties en als koepel VSOP (90 lidorganisaties) maken wij ons hier zorgen over. Via deze brief pleiten wij voor een passender, lerend zorgsysteem om de toegang tot weesgeneesmiddelen te verbeteren.

### *Huidig vergoedingssysteem sluit niet aan bij realiteit*

Wij spreken patiënten die overwegen om in Duitsland te gaan wonen om snel behandeld te worden, of zien dat ze geld inzamelen om medicijnen zelf te financieren. Concrete en zorgelijke signalen dat het huidige vergoedingssysteem onvoldoende aansluit bij de nieuwe generatie weesgeneesmiddelen (waaronder gentherapieën en andere innovatieve behandelingen) en de realiteit van zeldzame aandoeningen.<sup>2</sup> Patiënten moeten soms jarenlang wachten, of komen helemaal niet in aanmerking. Dit geldt bijvoorbeeld voor de spierziekte SMA waar een kleine patiëntengroep nog steeds wacht op een behandeling die EMA al in 2021 goedkeurde.<sup>3</sup> Dit moet en kan anders.

### *Mogelijkheden tot gecontroleerde praktijkmonitoring*

Gelukkig ontstaan er steeds meer mogelijkheden om onzekerheden over effectiviteit, veiligheid en gepast gebruik te verminderen door systematische dataverzameling in de praktijk. Het internationale MLD Initiative rond de gentherapie Libmeldy laat dit goed zien.<sup>5</sup> Om ook andere middelen gecontroleerde toegang te kunnen geven, pleiten wij voor een lerend zorgsysteem waarin veelbelovende weesgeneesmiddelen voor patiënten met een hoge medische noodzaak snel beschikbaar komen, in combinatie met gepast gebruik en kennisontwikkeling.<sup>4</sup>

### *Lerend zorgsysteem*

Om dit systeem mogelijk te maken, vragen wij de Kamer om:

- een route voor weesgeneesmiddelen binnen het toekomstbestendig stelsel geneesmiddelen (TSG) die rekening houdt met beperkingen inherent aan weesziekten
- daarbij toegang, monitoring, dataverzameling en herbeoordeling vanaf de start met elkaar te verbinden
- te zorgen voor structurele financiering van registraties en uitkomstmetingen
- gebruik te maken van alternatieve betaalmodellen zoals pay for performance
- Europese samenwerking rond beoordeling, dataverzameling en gepast gebruik actief te stimuleren.

Zie ook de uitgebreidere toelichting in de achtergrondnotitie.

Tot slot: Nederland beschikt over de kennis, infrastructuur en samenwerkingsverbanden<sup>5</sup> om veelbelovende en innovatieve weesgeneesmiddelen te beoordelen in een gecontroleerde setting. De vraag is nu hoe we tegelijkertijd kunnen zorgen voor toegang voor patiënten. We roepen u op om dit onderwerp onder de aandacht te brengen in het commissiedebat op 10 juni (agendapunt Voortgang toekomstbestendig stelsel geneesmiddelen) en de in deze brief genoemde wensen te bepleiten.

Met vriendelijke groet,



M. Kortekaas, voorzitter VSOP

Ook namens de volgende patiëntenorganisaties:

- Spierziekten Nederland
- VKS
- Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting
- HEVAS
- Vereniging voor Angio-oedeem
- Vereniging van Huntington
- Belangenvereniging van Kleine Mensen (BVKM)
- ALS patiëntenvereniging
- Huid Nederland
- Debra Nederland
- Stichting Pulmonale Hypertensie
- Vereniging voor Ichthyosis Netwerken
- Neurofibromatose Vereniging Nederland
- Stichting Amyloïdose Nederland
- NVHP – Voor iedereen met een erfelijke stollingsstoornis
- Patiëntenplatform Sarcomen
- CMTC-OVM
- Nevus Netwerk Nederland



Vereniging van Huntington



## **Achtergrondnotitie Toegankelijke weesgeneesmiddelen in een lerend zorgsysteem**

### **1. Waarom dit onderwerp aandacht vraagt**

Zeldzame aandoeningen zijn vaak ernstig, chronisch en beginnen veelal op jonge leeftijd. Dit maakt de impact voor zowel de patiënt als zijn omgeving enorm. Als er al een behandeling beschikbaar is, gaat het vaak om een weesgeneesmiddel: een geneesmiddel dat specifiek is ontwikkeld voor een zeldzame aandoening. Recente cijfers laten zien dat van de weesgeneesmiddelen die tussen 2021 en 2024 door het Europees Geneesmiddelenagentschap (EMA) zijn geregistreerd, momenteel slechts 39% beschikbaar is voor Nederlandse patiënten. Daarmee blijft Nederland achter bij het Europese gemiddelde.

### **2. Waar loopt het huidige systeem vast?**

Veel dure intramurale geneesmiddelen komen terecht in de zogenoemde sluis: een procedure waarbij een geneesmiddel tijdelijk buiten het basispakket wordt gehouden totdat afspraken zijn gemaakt over prijs, vergoeding en gepast gebruik. Het doel van de sluis is begrijpelijk en legitiem. In de praktijk leidt de procedure echter regelmatig tot langdurige vertragingen. Geen sluis, maar kluis dus, aldus patiënten. Voor extramurale geneesmiddelen ontstaan knelpunten binnen het Geneesmiddelenvergoedingssysteem (GVS). Ook hier kunnen langdurige beoordelingen en onderhandelingen leiden tot vertraagde of uitblijvende toegang.

Een fundamenteel probleem hierbij is dat weesgeneesmiddelen vaak worden beoordeeld volgens beoordelingskaders die zijn ontwikkeld voor geneesmiddelen voor veelvoorkomende aandoeningen. Bij zeldzame aandoeningen zijn grote studies vaak onmogelijk vanwege de beperkte patiëntaantallen. Daarnaast zijn deze studies complex vanwege het heterogene karakter van weesziekten. Bovendien ontbreekt vaak een alternatief wanneer een behandeling niet beschikbaar komt. Onzekerheid over effectiviteit op lange termijn is tot slot eerder regel dan uitzondering.

### **3. Wat merken patiënten?**

De gevolgen zijn direct merkbaar voor patiënten en hun gezinnen. Patiëntenorganisaties horen steeds vaker dat leden van hun achterban onderzoeken of werken en wonen in bv. Duitsland toegang tot behandeling mogelijk maakt. Ook zien zij ouders die zelf fondsen werven om onderzoek naar een behandeling voor hun kind te financieren. Het recente verhaal van de tweejarige Sietse in de Volkskrant laat zien hoe nieuwe wetenschappelijke mogelijkheden soms stranden op financiering en organisatie. Deze voorbeelden staan niet op zichzelf. Zij illustreren dat het huidige systeem onvoldoende is voorbereid op de snelle ontwikkeling van gentherapieën en andere innovatieve behandelingen voor zeer kleine patiëntengroepen. Een ander schrijnend voorbeeld is de spierziekte SMA waarvoor EMA in 2017 Spinraza® (nusinersen) en in 2021 Evrysdi® (risdiplam) goedkeurde. Onder meer door stringente en trage beoordelingsprocedures en ondanks meerdere inspanningsbeloftes en positieve adviezen wachten specifieke leeftijdsgroepen medio 2026 nog altijd op behandeling. Zie [www.spierziekten.nl/nieuws/positief-vt-advies-voor-sma-ers-ouder-dan-25](http://www.spierziekten.nl/nieuws/positief-vt-advies-voor-sma-ers-ouder-dan-25).

### **4. De oplossing: een lerend zorgsysteem**

Binnen het programma Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen (TSG) wordt gewerkt aan nieuwe vormen van toegang tot geneesmiddelen. Wij ondersteunen de gedachte dat onzekerheden niet altijd vooraf volledig hoeven te worden opgelost, maar ook gecontroleerd kunnen worden verminderd nadat patiënten toegang hebben gekregen. Wij pleiten daarom voor één geïntegreerde route voor weesgeneesmiddelen met potentieel grote meerwaarde en tegelijkertijd onzekerheid over effectiviteit of

*kosteneffectiviteit. Deze route zou bestaande instrumenten zoals de ODAP-route (Orphan Drug Access Protocol) en de VT-regeling (Voorwaardelijke Toelating) moeten vervangen.*

*Belangrijke uitgangspunten zijn:*

- vroege risicoduiding*
- goede afspraken over gepast gebruik, zoals stopcriteria wanneer behandeling onvoldoende effect heeft*
- structurele financiering van registraties en dataverzameling*
- actieve betrokkenheid van expertisecentra en patiëntenorganisaties*
- vooraf afgesproken herbeoordelingen*
- dynamische prijsstelling op basis van nieuw bewijs*
- innovatieve betaalmodellen zoals pay for performance.*

*Een relatief beperkte investering in monitoring en dataverzameling kan hierbij leiden tot betere besluitvorming en aanzienlijke maatschappelijke besparingen.*

#### **5. Libmeldy laat zien dat het kan**

*Een goed voorbeeld van een lerend zorgsysteem is het internationale MLD Initiative (MLDi) rond de gentherapie Libmeldy voor metachromatische leukodystrofie. Binnen dit initiatief werken artsen, onderzoekers, patiëntenorganisaties, overheid en fabrikant samen aan:*

- internationale dataverzameling;*
- uniforme uitkomstmaten;*
- gepast gebruik;*
- beoordeling van behandelindicaties;*
- monitoring van lange-termijntuitkomsten.*

*Dit initiatief heeft ondersteuning ontvangen vanuit het programma Regie op Registers voor dure geneesmiddelen en laat zien dat toegang en kennisontwikkeling elkaar kunnen versterken.*

#### **6. Over expertisecentra en Europese netwerken**

*Patiënten met zeldzame aandoeningen worden behandeld in door VWS erkende Expertisecentra voor Zeldzame Aandoeningen (ECZA's), die hoog specialistische zorg en behandeling bieden. Inmiddels zijn dat er in Nederland een paar honderd. Een deel daarvan houdt ziekte registraties bij, evenals sommige patiëntenverenigingen. Daarnaast biedt Europese samenwerking kansen, bijvoorbeeld via de Europese Referentie Netwerken (ERN's): internationale registers en samenwerkingsverbanden zoals Beneluxa. Wij zien hierin een essentiële bouwsteen voor toekomstbestendige toegang tot weesgeneesmiddelen, zeker wanneer patiëntaantallen per land te klein zijn om zelf voldoende kennis op te bouwen.*