



> Retouradres Postbus 20350 2500 EJ Den Haag

VSOP Voor Zeldzame en Genetische Aandoeningen  
Koninginnelaan 23  
3762 DA SOEST  
Nederland

**Directoraat Generaal  
Curatieve Zorg**  
Directie Curatieve Zorg

**Bezoekadres**  
Parnassusplein 5  
2511 VX Den Haag  
T 070 340 79 11  
F 070 340 78 34  
www.rijksoverheid.nl

**Inlichtingen bij**  
Wijnhoud, M.D. (Maaïke)  
Sr. beleidsmedewerker

T (070)-3405258  
M (31)-631753457  
md.wijnhoud@minvws.nl

Datum **20 MEI 2019**  
Betreft **Beleid zeldzame aandoeningen**

**Kenmerk**  
1423583-181214-CZ

**Uw brief**  
TVV18-058

**Bijlage(n)**

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

Geachte heer Oosterwijk,

Uw brief van 23 augustus jl. heb ik in goede orde ontvangen. Zoals eerder met u is besproken is in verband met lopende ontwikkelingen gewacht met beantwoording van de brief. In dit antwoord geef ik u eerst hieronder kort een algemene toelichting op het beleid, om vervolgens puntsgewijs in te gaan op de 9 verzoeken die u in uw brief heeft opgenomen.

Net als u acht ik een bundeling van kennis en expertise rond zeldzame aandoeningen noodzakelijk, zodat de zorg voor de patiënt kan verbeteren. De patiëntpopulatie per zeldzame ziekte omvat immers slechts kleine aantallen, wat samenwerking essentieel maakt. Dit doet een beroep op de organisatie van de zorg in Nederland zelf en op de samenwerking in Europa.

Voor de organisatie van de zorg in Nederland betekent dit dat netwerkvorming en 'shared care' essentieel zijn. Ik vind dat de Expertisecentra voor Zeldzame Aandoeningen (ECZA) een rol hebben in zorgnetwerken en dat zij hun kennis desgewenst moeten kunnen delen met zorgverleners dichtbij de patiënt. Daarnaast is het van belang dat de ECZA optimaal gebruik kunnen maken van de expertise- en kennisontwikkeling binnen de Europese Referentienetwerken (ERN's). Zodat de patiënt de juiste zorg krijgt op de juiste plek, onder het motto: 'dichtbij wat kan, in de gespecialiseerde centra wat moet.' Dit vraagt veel van de expertisecentra. Ik neem dit mee in de doorontwikkeling van de beoordelingscriteria voor de ECZA, op basis waarvan in de toekomst erkenningen worden verleend. Deze doorontwikkeling zal plaatsvinden in nauw overleg met NFU en VSOP.

In augustus 2018 heeft het Erfocentrum samen met u het onderzoeksrapport 'Scherper zicht op diagnostische vertraging' uitgebracht. Hierin heeft u het probleem inzichtelijk gemaakt dat mensen met een zeldzame aandoening vaak nog te lang op een diagnose moeten wachten. Dit leidt ertoe dat mensen niet de zorg krijgen die zij nodig hebben, klachten onnodig verergeren en zorg wordt verspild. Er zijn verschillende aanbevelingen in dit onderzoek naar voren gekomen. Momenteel zijn we met elkaar in gesprek over of en hoe deze aanbevelingen mee worden genomen in het beleid. Een eerste stap hierin is dat VWS samen met u een paar themabijeenkomsten zal organiseren met de verschillende betrokken partijen. Hierin zullen onder andere netwerkvorming, samenwerking en vroegdiagnostiek aan bod komen.



Reactie op uw verzoeken:

1. Verzoek: Stel de expertisecentra en patiëntenorganisaties in staat tot het ontwikkelen van kwaliteitsstandaarden (richtlijnen en zorgstandaarden) en de realisatie van netwerkvorming, 'shared care' en registraties.  
Reactie: Zoals ik hierboven heb beschreven onderstreep ik het belang van de netwerkvorming. Daarnaast zie ik een grote rol voor expertisecentra en de ERNs bij de ontwikkeling van kwaliteitsstandaarden en registraties. Op dat niveau moet ook de patiënteninbreng worden georganiseerd.
2. Verzoek: Bevorder het samenvoegen van de expertisecentra met gelijksoortige zeldzame aandoeningen op basis van minimale patiënten aantallen.  
Reactie: Ik ben het er mee eens dat we met elkaar moeten nadenken over het aggregatieniveau waarop de erkenning van een expertisecentrum moet plaatsvinden. Het is echter uiteindelijk aan de medisch professionals in samenspraak met patiënten om te beoordelen of én hoe expertisecentra al dan niet samengevoegd worden. Dit punt is geagendeerd in het overleg met de NFU en betrokkenen uit de universitair medisch centra. Wij zullen de patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen én de Nederlandse ePAG's bij dit gesprek betrekken, zodat zij hun ervaringsdeskundigheid kunnen inbrengen.
3. Verzoek: Verduidelijk welke maatregelen er zijn genomen om tijdige diagnostiek te bevorderen, waaronder de mogelijkheid van vroege screening die niet onder het 'behandelbaarheid-criterium' vallen.  
Reactie: U doet suggesties voor het uitbreiden van de vroege screening. Ik heb deze suggesties meegenomen in de adviesaanvraag aan de gezondheidsraad (GR) over de uitvoerbaarheid van een screening naar niet-behandelbare aandoeningen. Zie hiervoor de aanvraag voor het GR-advies hielprik onbehandelbare aandoeningen, die op 13 maart 2019 als bijlage bij de brief over prenatale screening aan de Tweede Kamer is gestuurd (TK nummer 29323 nr. 124), kenmerk 1488441-187436-PG, door de staatssecretaris van Volksgezondheid, Welzijn en Sport.
4. Verzoek: Focus het beleid niet op zeldzame aandoeningen met een duur weesgeneesmiddel, maar voer beleid wat gericht is op alle zeldzame aandoeningen.  
Reactie: Ik ben van mening dat mijn huidige beleid al gericht is op alle zeldzame aandoeningen en niet alleen die aandoeningen waarbij sprake is van een duur weesgeneesmiddel. De ERN's omvatten gezamenlijk door heel Europa expertisecentra voor de meeste zeldzame aandoeningen, waardoor ook patiënten met aandoeningen waarvoor in Nederland geen aandoening is met de juiste kennis en expertise geholpen kunnen worden.
5. Verzoek: Onderzoek in hoeverre de 'suboptimale zorg' voor zeldzame aandoeningen samenhangt met een ontoereikende bekostigingssystematiek.  
Reactie: U stelt dat de zorg voor mensen met zeldzame aandoeningen suboptimaal is, omdat de vergoeding niet toereikend is. Dit herken ik niet. De zorg wordt via de reguliere systematiek vergoed en daar bovenop is het één van de drie specifiek genoemde doelgroepen waarvoor de academische centra de Beschikbaarheidsbijdrage Academische zorg (BBAZ) ontvangen (TK nummer 32864 nr. 6). De grootste knelpunten in de zorg voor patiënten met een zeldzame aandoeningen liggen in de onbekendheid met deze aandoeningen en de kleine patiëntenpopulatie waardoor het lastig is de zorg te verbeteren. Hiervoor heb ik al beschreven hoe wij in Nederland en Europa inzetten op bundelen van kennis en expertise.





6. Verzoek: Laat de investeringen in wetenschappelijk onderzoek recht doen aan de omvang en enorme impact van zeldzame ziekten.  
Reactie: Ten aanzien van zeldzame aandoeningen zijn er op Europees niveau mogelijkheden om wetenschappelijk onderzoek gefinancierd te krijgen. Ik acht Europese samenwerking essentieel voor het medisch-wetenschappelijk onderzoek. Dit biedt een oplossing voor de kleine patiëntenpopulatie per zeldzame ziekte. De ERN's hebben samen tot doelstelling dat medisch-wetenschappelijk onderzoek te organiseren, wat gemakkelijker is doordat er coördinatie is vanuit de ERN-coördinatoren. Ook liggen er kortere lijnen met EMA en kunnen er meer niet-commerciële projecten worden opgezet. Nationaal maak ik daarbij financiële middelen vrij voor onderzoek aan weesgeneesmiddelen die een markt registratie hebben, maar nog niet voldoen aan de pakketcriteria. Tot slot kunnen via het Programma Translationeel Onderzoek 2 bij ZonMW ook voorstellen voor onderzoek naar nieuwe geneesmiddelen worden gehonoreerd.
7. Verzoek: Ondersteun de rol die Nederlandse patiëntenorganisaties op Europees niveau hebben ten aanzien van de zeldzame aandoeningen.  
Reactie: Ik vind de inbreng van de patiënt op Europees niveau van belang, maar dat is geen nationale kwestie. Dit moet binnen Europa en binnen de ERN's goed worden geborgd. Ik zal het belang van een goede patiëntenvertegenwoordiging meenemen in het overleg in Europa, zoals de Board of Member States on rare diseases. Het lijkt mij tevens verstandig dat u dit ook zelf via de Europese patiëntenorganisatie Eurordis en met de ePAG's in Europa aankaart.
8. Verzoek: Neem meer verantwoordelijkheid voor de implementatie van de aanbevelingen van het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten (NPZZ) en spreek de zorgverzekeraars en zorgaanbieders nadrukkelijker aan op hun verantwoordelijkheden.  
Reactie: Mijns inziens hebben we al belangrijke stappen gezet in de implementatie van de aanbevelingen van het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten. We zullen met zorgverzekeraars en zorgaanbieders nog verder om de tafel te gaan om hun rol binnen de netwerkvorming te concretiseren.
9. Verzoek: Erken de VSOP als koepelorganisatie en ken de daarbij passende instellingssubsidie toe.  
Reactie: U bent namens veel organisaties een belangrijke gesprekspartner in de doorontwikkeling van de beoordelingsprocedures voor de ECZA en u ontvangt hiervoor een vergoeding. De reden dat ik niet overga tot het verstrekken van een instellingssubsidie aan de VSOP, heb ik toegelicht in mijn besluit van 31 mei 2018, kenmerk 1345677-176700-PZO, houdende vaststelling van beleidsregels inzake subsidiëring van patiënten- en gehandicaptenorganisaties 2019-2022, gepubliceerd op 29 juni 2018. Net zoals in voorgaande jaren verstrek ik alleen instellingssubsidie aan drie landelijke patiëntenkoepels: de Patiëntenfederatie, Ieder(in) en MIND. Een verdere versnippering acht ik ongewenst. Naast de drie koepels ontvangen ook bijna 200 patiëntenorganisaties subsidie uit dit kader, waaronder organisaties voor zeldzame aandoeningen.  
Het huidige subsidiekader is een tijdelijk kader waarbinnen wordt geëxperimenteerd met vernieuwende manieren om impact en bereik te realiseren binnen de patiëntenbeweging via het ZonMw programma 'Voor Elkaar!'. De lessen uit dit programma dragen bij aan een nieuwe subsidiesystematiek voor na 2022; een systematiek die past bij de tijd en die zich richt op impact en bereik. Het is denkbaar dat hierdoor andere subsidiecriteria, en daarmee andere mogelijkheden, ontstaan voor patiëntenorganisaties. In

**Directoraat Generaal  
Curatieve Zorg**  
Directie Curatieve Zorg

**Kenmerk**  
1423583-181214-CZ



dit verband willen we ook kijken of organisaties die tussen koepel en aandoeningsgerichte patiëntenorganisatie voor meer structurele vormen van subsidie in aanmerking moeten kunnen komen.

**Directoraat Generaal  
Curatieve Zorg**  
Directie Curatieve Zorg

Ik wil tot slot nog reageren op een opmerking in uw brief: U stelt dat ik aansluiting bij ERN's bijna als enige doel zie bij de aanwijzing van de ECZA's. Ik vind het inderdaad van groot belang dat de ECZA's in verbinding staan met de ERN's. Zoals hierboven beschreven is, zie ik hun verantwoordelijkheden breder dan enkel deze aansluiting.

**Kenmerk**  
1423583-181214-CZ

Ik heb er vertrouwen in dat we de komende periode samen met de NFU, de VSOP en andere betrokkenen belangrijke stappen kunnen zetten om de zorg voor patiënten met een zeldzame aandoening te verbeteren.

Hoogachtend,  
de minister voor Medische Zorg,  
en sport,  
namens deze,  
de directeur Curatieve Zorg,

drs. Marije C. Beens