

VSOP

## VOOR ZELDZAME EN GENETISCHE AANDOENINGEN

Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport  
T.a.v. dhr. mr. drs. B.J. Bruins, minister voor Medische Zorg en Sport  
Postbus 20350  
2500 EJ Den Haag

Soest, 23 augustus 2018

Referentie: TVV/18-058

Betreft: Beleid zeldzame aandoeningen

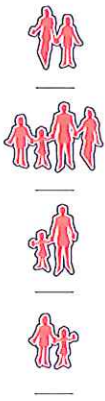
Geachte heer Bruins,

De VSOP zet zich namens 75 aangesloten patiëntenorganisaties in voor mensen met zeldzame aandoeningen en hun naasten. Als zodanig reageren wij op uw brief aan de voorzitter van de Tweede Kamer (kenmerk 1317054-174717-CZ, 18 juni 2018) betreffende het slotadvies van het Afstemmingsoverleg Zeldzame Ziekten, dat een vervolg is op het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten.

Verwachtingsvol hebben de minstens één miljoen mensen met zeldzame aandoeningen, de ouders van kinderen met deze aandoeningen en de desbetreffende patiëntenorganisaties uitgekeken naar het beleid dat u, als vertegenwoordiger van een nieuw kabinet, zou gaan inzetten op de belangrijke thema's die u in uw brief behandelt, te weten netwerkvorming, kwaliteit, bekostiging, onderzoek en patiëntenparticipatie.

In onze reactie gaan wij nader in op uw beleidsvoornemens betreffende deze thema's. De belangrijkste eindconclusie is dat het onzes inziens helaas ontbreekt aan voldoende concrete maatregelen. Samenvattend roepen wij u dan ook op om:

- expertisecentra en patiëntenorganisaties daadwerkelijk in staat te stellen kwaliteitsstandaarden (richtlijnen en zorgstandaarden) voor zeldzame aandoeningen te ontwikkelen en de realisatie van netwerkvorming, 'shared care' en registraties;
- te bevorderen dat expertisecentra voor gelijksoortige zeldzame aandoeningen worden samengevoegd op basis van minimale patiëntenaantallen;
- duidelijk te maken welke maatregelen u neemt om tijdige diagnostiek van zeldzame aandoeningen te bevorderen, waaronder de mogelijkheid van een vroege screening op neonatale aandoeningen die niet onder het huidige 'behandelbaarheid-criterium' vallen;
- uw beleid niet te focussen op die zeldzame aandoeningen waarbij sprake is van een duur weesgeneesmiddel, maar een inclusief beleid te voeren, gericht op alle zeldzame aandoeningen;
- te onderzoeken in hoeverre suboptimale zorg voor zeldzame aandoeningen samenhangt met een ontoereikende bekostigingssystematiek;
- de investeringen in wetenschappelijk onderzoek voor zeldzame aandoeningen recht te laten doen aan de omvang en enorme impact van de problematiek;
- de rol die Nederlandse patiëntenorganisaties op Europees niveau hebben, te ondersteunen.



VSOP

- meer verantwoordelijkheid nemen voor de implementatie van de aanbevelingen van het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten en tevens zorgverzekeraars en zorgaanbieders nadrukkelijker aan te spreken op hún verantwoordelijkheden;
- de VSOP als koepelorganisatie voor zeldzame aandoeningen te erkennen en een daarbij passende instellingssubsidie toe te kennen.

### Netwerkvorming

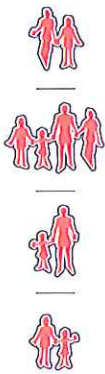
Het lijkt geen twijfel dat de ministeriële aanwijzing van expertisecentra voor zeldzame aandoeningen, hoe waardevol ook, op zich onvoldoende is om de kwaliteit van de zorg voor patiënten ook buiten de expertisecentra te waarborgen. We zijn dan ook blij dat u het grote belang van netwerkvorming onderschrijft. Onzes inziens dient netwerkvorming altijd te bestaan uit samenwerking of samenvoeging van gelijksoortige expertisecentra, in combinatie met 'shared care': nauwe samenwerking met gekwalificeerde perifere behandelcentra en de eerstelijnszorg.

### Europese Referentienetwerken

Zowel de aanwijzing van expertisecentra als van Europese Referentie Netwerken (ERN's) heeft onzes inziens in de eerste plaats tot doel de kwaliteit van de patiëntenzorg (en het daaraan gerelateerde wetenschappelijk onderzoek) te garanderen en dit betrouwbaar en zichtbaar te laten zijn voor patiënten en doorverwijzende zorgverleners. Echter, u lijkt de aansluiting van de expertisecentra bij Europese Referentienetwerken (ERN's) bijna als enige doel te zien van het aanwijzen van expertisecentra: *"Deze erkenningen zijn bedoeld om de Nederlandse centra aansluiting te laten vinden bij de Europese referentienetwerken voor zeldzame aandoeningen"* en u stelt dat de centra alleen daaraan hun formele, juridische positie ontlenen.

Deze eenzijdige nadruk op de relatie van de expertisecentra met ERN's gaat ten koste van een noodzakelijke erkenning van de positie van de expertisecentra binnen de Nederlandse gezondheidszorg, alsmede van de financiering van de verantwoordelijkheden die het gevolg zijn van hun positie als landelijk erkend expertisecentrum. Later in uw brief blijkt uw terughoudendheid m.b.t. de positie van de expertisecentra binnen de Nederlandse gezondheidszorg helaas ook uit uw besluit de expertisecentra geen duidelijke verantwoordelijkheden toe te kennen op het terrein van richtlijnontwikkeling, iets waarop de expertisecentra wel worden getoetst en die van groot belang zijn voor goede zorg.

U wilt uw erkenningsbeleid aanscherpen op de vraag of een expertisecentrum is aangesloten bij een ERN. Ook de VSOP is voorstander van een strenge toetsing en monitoring van de expertisecentra, maar dan wel op alle criteria van de Europese Commissie, waaronder de verantwoordelijkheid voor de ontwikkeling van 'shared care', richtlijnen en registraties, criteria die wezenlijk zijn voor goede zorg. Echter op voorwaarde dat de expertisecentra en patiëntenorganisaties dan ook in staat worden gesteld om daadwerkelijk aan een strengere toetsing te voldoen. Momenteel ontbreken daarvoor de beleidsmatige en financiële kaders.



VSOP

### Versnippering

De aanwijzing van expertisecentra maakt eindelijk voor zowel patiënten als doorverwijzers duidelijk waar kennis en kunde voor specifieke zeldzame aandoeningen gelokaliseerd zijn. Binnen de aangewezen expertisecentra betreft dat momenteel naar schatting ongeveer 1.500 specifieke zeldzame aandoeningen op een totaal van 7.000. Het is erg belangrijk dat de expertise op gedetailleerd aandoeningsniveau zichtbaar is en blijft.

Anderzijds is het overduidelijk dat het aantal erkende expertisecentra voor een specifieke aandoening of cluster van aandoeningen vaak niet in verhouding staat tot de omvang van de desbetreffende patiëntenpopulatie. Concentratie op basis van, in kwaliteitsstandaarden overeen te komen, minimale patiëntenaantallen die een centrum in behandeling heeft, is noodzakelijk. Wij roepen u, de ziekenhuizen en de zorgverzekeraars op dit te stimuleren. Samenwerking tussen expertisecentra is noodzakelijk, maar mag geen reden zijn om samenvoeging uit de weg te gaan als dat in het belang is van zorg en onderzoek.

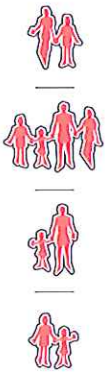
### Shared care

We zijn blij dat u het grote belang van 'shared care' onderschrijft. Expertisecentra moeten verantwoordelijkheid (kunnen) nemen voor kwaliteit van zorg buiten het expertisecentrum, in perifere zorginstellingen, door middel van coördinatie van de zorg en het delen van kennis en expertise.

U verwijst daarbij naar het door het Zorginstituut Nederland (ZiN) bekostigde project 'Samen beslissen in de zorg voor zeldzaam'. Daarin ontwikkelt de VSOP op basis van tien pilots een model waarmee expertisecentra en patiëntenorganisaties gezamenlijk tot netwerkvorming kunnen overgaan. 'Shared care' is daarmee echter nog geen realiteit voor het totaal van de zeldzame aandoeningen. Voor brede implementatie van dit ontwikkelde model is het noodzakelijk dat uw ministerie, zorginstellingen en zorgverzekeraars daarvoor de juiste kaders scheppen.

U wilt netwerkvorming en 'shared care' stimuleren door het uitdragen van goede voorbeelden: *"Samen met de zorginstellingen ga ik na op welke wijze de groei naar meer samenhang tussen expertisecentra kan worden bespoedigd. Daarbij denk ik met name aan het uitdragen van bestaande goed functionerende voorbeelden"*. De voorbeelden en initiatieven die u in uw brief schetst betroffen meestal de 'minder zeldzame aandoeningen' en werden gefinancierd vanuit eenmalige, vaak private, fondsen. Krachtig overheidsbeleid is nodig om dergelijke initiatieven voor het totaal van de zeldzame aandoeningen bereikbaar te laten zijn. De vorming van expertisenetwerken vraagt om structureel beleid en (voor)investeringen, die zich zullen terugverdienen in betere en efficiëntere zorg.

Concluderend acht de VSOP het absoluut noodzakelijk, dat uw ministerie verantwoordelijkheid neemt voor het verbeteren en formaliseren van de positie van de expertisecentra en netwerkvorming binnen de Nederlandse zorg



## Kwaliteit

### Registraties

De VSOP juicht het toe dat u het belang van registraties onderschrijft. Daarbij dient echter wel onderscheid gemaakt te worden tussen enerzijds het landelijk registeren van (de prevalentie en incidentie van) zeldzame aandoeningen en anderzijds het opzetten van kwaliteitsregisters voor zeldzame aandoeningen om de kwaliteit van zorg te monitoren. Beiden zijn noodzakelijk.

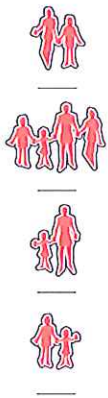
Zolang zeldzame aandoeningen niet volgens de Orpha-code worden geregistreerd in de zorgsystemen van zorginstellingen en zorgverleners, kan de omvang van de problematiek niet zichtbaar worden en kan er geen onderbouwd beleid worden ontwikkeld voor de minstens één miljoen patiënten met één van de 7.000 zeldzame aandoeningen. Onduidelijk is wat het resultaat is van de opdracht die voormalig minister Schippers in dit verband aan het RIVM heeft gegeven (brief mw. Schippers d.d. 14 maart 2014 aan de voorzitter van de Tweede Kamer, kenmerk 192485-116498-CZ) en welke concrete rol u op dit punt voor uw ministerie ziet weggelegd.

Wat betreft het opzetten van kwaliteitsregisters zijn wij blij met uw verzoek aan het Zorginstituut een 'uitvoeringstoets regie op registers' te ontwikkelen (uw brief d.d. 29 mei, kenmerk 1341250-176415-GMT). U wilt daarbij prioriteit geven aan 'pakketmiddelen met een relatief hoog kostenbeslag', waaronder het beperkt aantal weesgeneesmiddelen met een weesgeneesmiddelenarrangement. Echter, ook, of misschien wel juist, als er geen weesgeneesmiddel beschikbaar is, zijn registers noodzakelijk om de zorg te verbeteren, gepast gebruik te bevorderen, onnodige en vaak dure interventies te voorkomen en onderzoek te stimuleren. De zorg bij de meeste zeldzame aandoeningen is namelijk uitermate duur: het totaal van de zeldzame aandoeningen legt een beslag van minimaal 20% op het totaal van de Nederlandse zorguitgaven! Een efficiëntieslag en gepast gebruik – met name via structurele samenwerking in netwerken – kunnen hier tot substantiële besparingen leiden, ook in de overgrote meerderheid van expertisecentra zonder weesgeneesmiddelen-arrangement.

Nadat u in dit verband refereert aan diverse interessante initiatieven van het zorgveld, merkt u op: *"Vanzelfsprekend zal het tot stand komen van landelijke expertisenetwerken positief bijdragen aan het ontstaan van een landelijke uniforme registratiestructuur"*. Dat is echter allerm minst vanzelfsprekend: een dergelijke registratie-infrastructuur vraagt absoluut om substantiële inspanningen en investeringen van de overheid. We willen u dan ook aanmoedigen de lat hoger te leggen en de ambitie uit te spreken een nationale infrastructuur van kwaliteitsregistraties voor zeldzame aandoeningen te realiseren. Het huidige versnipperde en ondoelmatige subsidiebeleid betreffende registraties is onnodig duur, ineffectief en niet duurzaam.

### Richtlijnen

Zoals u opmerkt, worden de expertisecentra inderdaad getoetst op hun bijdrage aan de ontwikkeling van richtlijnen en kwaliteitsstandaarden. Nog afgezien van het feit dat dit een substantiële tijdsinvestering vergt van zowel de expertisecentra als de patiëntenorganisaties (zie ook onder 'Patiëntenparticipatie'), vindt er in de praktijk vrijwel geen richtlijnontwikkeling voor zeldzame aandoeningen plaats. Dat is ook de conclusie van het Zorginstituut Nederland (Monitor Weesgeneesmiddelen 2017, Zorginstituut Nederland, 21 december 2017). Belangrijke oorzaak is dat zowel de medisch wetenschappelijke verenigingen, de Federatie Medisch Specialisten als de zorgverzekeraars prioriteit geven aan veel voorkomende aandoeningen of vaak optredende symptomen.



VSOP

Ook de veronderstelling dat de zorgverzekeraars rekening houden bij hun zorginkoop met het al dan niet aanwezig zijn van richtlijnen voor zeldzame aandoeningen, sluit niet aan op de praktijk. Zelden tot nooit vindt de zorginkoop plaats op het niveau van het expertisecentrum, maar wordt op ziekenhuisniveau, of hooguit afdelingsniveau, onderhandeld over de toe te kennen budgetten. Meer bevoegdheden voor expertisecentra en geormerkte middelen voor zowel expertisecentra als patiëntenorganisaties om gezamenlijk richtlijnontwikkeling ter hand te kunnen nemen, zijn dan ook absoluut noodzakelijk.

#### Diagnostiek en preventie

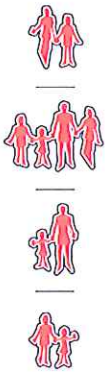
Het Slotadvies bevat diverse aanbevelingen voor tijdige en accurate diagnostiek. Het belang van (na)scholing van zorgverleners en preconceptiezorg wordt benadrukt. In uw brief ontbreekt een reactie hierop. Daardoor is onduidelijk op welke wijze uw ministerie preventie bij, en tijdige diagnostiek van zeldzame aandoeningen zal gaan bevorderen. Immers, 46% van de patiënten krijgt een foutieve diagnose, resulterend in verkeerde medische en/of psychologische interventies. Tijdige diagnostiek is van groot belang, zowel voor de kwaliteit van leven van patiënten als met het oog op kostenbeheersing.

In dat verband betreuren wij het uitblijven van besluitvorming betreffende neonatale screening op andere aandoeningen dan die momenteel volgens het criterium 'behandelbaar' in de hielprik zijn opgenomen. Voormalig minister Schippers wilde onderzoeken hoe ouders daarin keuzemogelijkheden geboden kunnen worden. U ziet daar van af en bent voornemens de Gezondheidsraad, die hierover eerder verdeeld was, opnieuw om advies te vragen (brief staatssecretaris Blokhuis d.d. 21 december 2017, kenmerk 1268390-171120-PG).

Voor verdere suggesties aangaande tijdige diagnostiek bij zeldzame aandoeningen verwijzen wij u graag naar de u onlangs door de VSOP toegestuurde aanbevelingen, opgesteld door de deelnemers aan de Nationale Conferentie Zeldzame Aandoeningen 2018 (brief VSOP d.d. 10 juli 2018, kenmerk TVV/18-048).

#### **Bekostiging**

We onderschrijven uw uitgangspunt dat een apart bekostigingssysteem voor de behandeling van zeldzame aandoeningen in principe niet wenselijk is en dat diagnostiek en directe zorg bij zeldzame aandoeningen in de regel op reguliere wijze financieerbaar zijn. Echter, onzes inziens is de zorg voor zeldzame aandoeningen onnodig minder van kwaliteit dan de zorg voor veelvoorkomende aandoeningen, mede vanwege bekostigingssystemen die niet zijn afgestemd op de bijzondere kenmerken van zeldzame aandoeningen. Dat terwijl *"De patiënt met een zeldzame ziekte heeft recht op zorg van dezelfde kwaliteit als de zorg die een patiënt met een meer voorkomende ziekte krijgt"* (brief minister Schippers aan de VSOP d.d. 8 juni 2012, kenmerk GMT/3115567). Zowel permanente aanpassingen als tijdelijke oplossingen zijn nodig en worden momenteel door de VSOP in samenwerking met het Erasmus MC verkend.



### Academische component

U ziet de 'academische component' als oplossing. Echter, er is geen 'duiding' van de academische component waardoor expertisecentra aanspraak kunnen maken op deze financiering. Netwerkgorg en 'shared care' kunnen daaruit niet worden gefinancierd. Dit biedt dus geen oplossing voor deze specifieke problematiek van de zeldzame aandoeningen, nog afgezien van het feit dat er ook buiten de UMC's steeds meer expertisecentra worden erkend, die geen beroep kunnen doen op de academische component. 'Geormerkte' financiering van de functies van expertisecentra en de rol van patiëntenorganisaties daarbij, zijn noodzakelijk.

### Weesgeneesmiddelen

Evenals uw aanpak op het terrein van de registraties behandelt u het thema 'bekostiging' vooral in de context van weesgeneesmiddelen. Voor de meeste zeldzame aandoeningen is er echter vooralsnog absoluut geen zicht op een effectief (wees)geneesmiddel. Daarnaast zijn nieuwe bekostigingsmodellen ook nodig voor aandoeningen die nu nog als 'veel voorkomend' worden bestempeld, maar die door verfijnde (DNA-)diagnostiek en 'personalized medicine' steeds vaker in kleine patiëntenpopulaties uiteen zullen vallen.

### Onderzoek

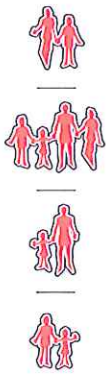
#### Onderzoeksagenda

We zijn blij dat u de aanbevelingen voor een Nationale Onderzoeksagenda Zeldzame Aandoeningen als uitgangspunt neemt voor een bij ZonMw onder te brengen onderzoeksagenda. Graag attenderen wij u op de aanbeveling deze onderzoeksagenda niet te beperken tot de mogelijkheden van ZonMw, maar de zeldzame aandoeningen een structurele, geormerkte plek te geven in het totaal aan overheids subsidies ten behoeve van medisch-wetenschappelijk zorgonderzoek: *"De Nationale Onderzoeksagenda Zeldzame Aandoeningen dient zicht ter richten op het realiseren, stimuleren en/of ontwikkelen van ..... adequate, structurele financiering van het onderzoek voor zeldzame aandoeningen, en wel door binnen de reguliere onderzoeksbudgetten een percentage te oormerken dat aansluit op de omvang en ernst van de problematiek"* (brief VSOP aan de minister van VWS d.d. 3 juli 2017, kenmerk TVV/17-076).

#### Budget

De bedragen die u noemt voor lopend onderzoek (1,8 miljoen en 2,1 miljoen) zijn hopelijk niet indicatief voor de aangekondigde toekomstige onderzoeksfinanciering. Onzes inziens zijn dit druppels op de gloeiende plaat en, zoals u stelt, geen *"basis voor de uitbreiding van wetenschappelijke kennis in Nederland ten aanzien van diagnose en therapie"*. Ten opzichte van de vele tientallen miljoenen subsidie voor zorgonderzoek op andere terreinen, zijn dit onbeduidende bedragen. Ook is het moeilijk voorstelbaar dat de eveneens relatief beperkte investeringen in de 'instandhouding beoordelingsinfrastructuur' (toetsing expertisecentra) ten koste moeten gaan van het zorgonderzoek. Deze terughoudendheid lijkt te duiden op onvoldoende besef binnen uw ministerie van de ernst en omvang van de problematiek van de zeldzame aandoeningen en van de enorme kansen die er liggen voor de volksgezondheid.

Het zou niet zo mogen zijn dat patiënten(organisaties) vaak zelf fondsen moeten werven voor minimaal noodzakelijk zorgonderzoek en noodzakelijke zorgverbeteringen.



VSOP

## Patiëntenparticipatie

### ERN's

In het geval van de zeldzame aandoeningen zullen de ERN's een steeds grotere rol krijgen in de ontwikkeling van kwaliteitsstandaarden (richtlijnen en zorgstandaarden). Toch ervaren veel Nederlandse patiënten die het patiëntenperspectief in de ERN's inbrengen via de zogenaamde ePAG's (European Patient Advisory Groups), grote problemen bij het financieren van de onkosten die daarmee samenhangen en kloppen daarvoor tevergeefs bij uw ministerie aan. Gezien het grote belang dat u hecht aan zowel de ERN's als aan patiëntenparticipatie, zouden zij toch mogen verwachten dat u de verantwoordelijkheid die Nederlandse patiëntenvertegenwoordigers op zich nemen binnen Europa, waardeert en financieel ondersteunt?

### Patiëntenparticipatie in kwaliteitsbeleid

U onderschrijft het belang van patiëntenparticipatie voor de kwaliteit van zorg, zoals bij de ontwikkeling van richtlijnen. Veel patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen zijn ook in financieel opzicht 'verweesd' en komen niet in aanmerking voor overheidssubsidie die hen in staat stelt actief deel te nemen aan de ontwikkeling en het onderhoud van richtlijnen en zorgstandaarden. Ook als er wel voldoende middelen zijn, ontbreekt het deze patiëntenorganisaties, veelal gerund door vrijwilligers, meestal aan de expertise en de tijd. Dankzij vele ondersteunende initiatieven van de VSOP konden er de afgelopen jaren met en voor hen toch een honderdtal kwaliteitsinstrumenten worden ontwikkeld. Eén van de redenen die de meerwaarde van de VSOP aantonen!

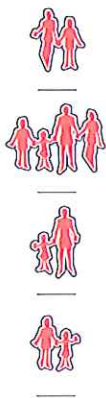
### VSOP: wel koepel, geen instellingssubsidie

Toch heeft uw ministerie zich niet bereid getoond de VSOP als koepelorganisatie te erkennen, hoewel 75 patiëntenorganisaties bij de VSOP zijn aangesloten en meerdere Kamerfracties daarbij kritische vragen hebben (verslag AO d.d. 25 april 2018). Uw voorganger stelde: *"Als toekomstperspectief voor de pg-beweging zie ik pg-organisaties die hun krachten bundelen in samenwerkingsorganisaties"* en bestempelde de VSOP als *"de overkoepelende patiëntenorganisatie voor zeldzame ziekten"* (brief minister Schippers aan de VSOP d.d. 8 juni 2012, kenmerk GMT/3115567, resp. brief aan de voorzitter van de Tweede Kamer, d.d. 14 maart 2014, kenmerk 192485-116498-CZ). De VSOP is een succesvolle bundeling van pg-organisaties, maar in het subsidiebeleid wordt een dergelijke samenwerking niet gehonoreerd.

De VSOP zet zich in voor preventie en neemt verantwoordelijkheid voor 'gepast gebruik' in de Adviescommissie Pakket (ACP), hetgeen resulteert in zowel betere zorg als substantiële kostenreducties. Frequent, zowel structureel als incidenteel, doet de overheid een beroep op de expertise van de VSOP, zónder de VSOP een adequate instellingssubsidie toe te kennen.

Uw ministerie lijkt hiermee ons bestaansrecht niet te erkennen, noch onze continuïteit te willen garanderen. Wij ervaren deze houding als een teleurstellende, pijnlijke miskennis van de meerwaarde van de VSOP voor de Nederlandse gezondheidszorg en samenleving.

U gaat aan de precaire situatie van de VSOP voorbij door in uw brief alleen te vermelden dat u de VSOP subsidieert voor haar activiteiten bij de beoordeling van expertisecentra door patiëntenorganisaties. Dit betreft slechts een deel van onze taken, nog los van het feit dat dit hier een lopende subsidieaanvraag betreft.



VSOP

In het Algemeen Overleg van 25 april jl. verwees u naar het ZonMw subsidieprogramma voor patiëntenorganisaties dat per 2019 wordt ingericht. Het is zeer twijfelachtig of dit programma het wegvallen van de jaarlijkse half miljoen euro aan vouchersubsidies bij de VSOP kan gaan opvangen. Bovendien vinden subsidietoekenningen voor 2019 pas in december van dit jaar plaats. Alleen al door deze discontinuïteit van het subsidiebeleid voorziet de VSOP op korte termijn verlies van arbeidsplaatsen en expertise.

#### Rol overheid

De Europese Commissie verwacht van de lidstaten dat de implementatie van de nationale plannen wordt gemonitord (Council Recommendation of 8 June 2009 on an action in the field of rare diseases, 2009/C 151/02). Eerder benadrukte ook uw voorganger, minister Schippers, het belang van 'landelijke regie' (brief d.d. 14 november 2013, kenmerk 167426-112834-CZ). Dit kreeg vervolgens vorm middels het 'Afstemmingsoverleg Zeldzame Ziekten', hoewel dit overleg geen regie-, maar een adviesrol toebedeeld kreeg. Het Slotadvies adviseert een vervolg op het 'Afstemmingsoverleg', maar uw brief geeft geen antwoord op de vraag of en hoe de verdere implementatie van het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten geregisseerd en gemonitord gaat worden.

Naast het Afstemmingsoverleg vervulde het Forum Biotechnologie en Genetica (FBG) in dit opzicht een nuttige rol. Echter, ook daaraan komt een eind, aangezien u heeft besloten de inhoudelijke en financiële betrokkenheid van uw ministerie bij het FBG te beëindigen.

Het Slotadvies pleit voor *"beleids- en voorwaardenscheppende maatregelen, zoals financiering"* en voor een *"duurzaam overheidsbeleid"*. Toch blijven de eigen positie en visie van uw ministerie betreffende zeldzame aandoeningen vaag en is onduidelijk hoe deze zich verhouden tot de rol van 'veldpartijen'. Daar liggen onzes inziens aansluitingsproblemen die het oplossen van knelpunten en het realiseren van goede zorg voor patiënten met zeldzame aandoeningen in de weg staan.

#### Tot slot

Wij zien in uw brief diverse positieve voornemens, die vervolgens echter helaas niet worden uitgewerkt in concreet beleid en bijpassende financiële middelen voor onderzoek en zorg. We zien daarom uit naar vervolgsbeleid waarin de regierol van de overheid duidelijk wordt, de aan de expertisecentra en patiëntenorganisaties toegekende verantwoordelijkheid van kaders en middelen wordt voorzien, en de positie van de VSOP wordt erkend.

Hoogachtend,

Dr. Cor Oosterwijk  
Directeur VSOP

cc: Vaste Tweede Kamercommissie voor VWS