VSOP

VOOR ZELDZAME EN GENETISCHE AANDOENINGEN

Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport
T.a.v. minister Drs. E.I. Schippers
Postbus 20350
2500 EJ Den Haag

Soest, 29 maart 2012

Referentie: TVV\12-043
Betreft: De Nederlandse strategie zeldzame aandoeningen

Geachte mevrouw Schippers,

Met veel belangstelling heeft de VSOP kennisgenomen van uw brief aan de Voorzitter van de Tweede Kamer betreffende 'De Nederlandse strategie met betrekking tot de zeldzame ziekten' d.d. 29 februari 2012 (GMT/IB/3096637). Graag geven wij hierbij onze reactie.

Uw brief vermeldt een aantal maatregelen t.b.v. de zeldzame aandoeningen dat uw ministerie in het (recente) verleden heeft genomen. Ieder afzonderlijk zijn veel van de genoemde maatregelen positief te noemen. Te denken valt aan de volledige vergoeding van weesgeneesmiddelen en het ZonMw-onderzoeksprogramma voor zeldzame aandoeningen. Echter, uw brief schetst in onze ogen een te rooskleurig beeld omdat teveel bestaande en te voorziene problemen worden genegeerd. Hieronder lichten wij onze visie graag toe.

Impact zeldzame aandoeningen
Er zijn in Nederland honderdduizenden mensen, waaronder veel kinderen met een zeldzame, chronische aandoening. Hun aandeel in de kosten van de gezondheidszorg is het hoogst in vergelijking met andere aandoeningen, nog afgezien van de kosten voor (sociale) voorzieningen, uitkeringen etc. Vanuit dit oogpunt is het onbegrijpelijk dat zeldzame aandoeningen niet hoger op de agenda van uw ministerie prijken. Gerichte effectiviteits- en kwaliteitsverbetering zijn zowel in het belang van de patiënt, als van de overheidsuitgaven. Teveel wordt gedacht dat vooral (preventieve) beleidsmaatregelen gericht op leefstijlgerelateerde aandoeningen (kosten)effectief zullen zijn. Het misverstand overheerst dat preventief beleid en geïndiceerde preventie gericht op de genetische, zeldzame aandoeningen zowel qua kwaliteit van leven als zorguitgaven, geen zoden aan de dijk zetten.

Strategie
Tijdens de Nationale Dagen Zeldzame Aandoeningen, eind 2010, is de Nederlandse problematiek van de zeldzame aandoeningen in kaart gebracht door een representatieve vertegenwoordiging van alle veldpartijen[1].

[1] http://www.vsop.nl/nl/wat-doen-wij/nationaal-plan-zeldzaam/nationale-dagen-zeldzame-aandoeningen

Er zijn unaniem gedeelde aanbevelingen gedaan voor het oplossen van de knelpunten op het terrein van vroegdiagnostiek, zorgstandaarden, expertisecentra en financiering, die tevens Europees zijn ingebracht in het kader van een gezamenlijke Europese strategie. Ook uw ministerie was vertegenwoordigd. Helaas zijn de probleemanalyse en aanbevelingen niet als uitgangspunt genomen voor uw brief.

Ons voornaamste punt van zorg is dan ook dat er in uw brief feitelijk geen sprake is van een concrete strategie, aangezien een probleemanalyse ontbreekt en dientengevolge ook een concrete doelstelling.[2] 'Wat is het probleem en hoe gaat het worden opgelost?' zou men zich af kunnen vragen. Vanzelfsprekend ervaren veel patiënten met zeldzame aandoeningen dagelijks de gevolgen van hun aandoening, mede in relatie tot tekortschietende zorg. Echter, uiteindelijk is de vraag welke visie uw ministerie heeft op de aard van het probleem, bepalend voor het beleid.

De doelstelling van uw strategie wordt, zeer globaal, geformuleerd als 'het lot van patiënten met een zeldzame ziekte verbeteren', echter zonder aan te geven hoe het lopende en voorgenomen overheidsbeleid daaraan daadwerkelijk kan bijdragen en volgens welk tijdspad. Helaas wordt in de brief het daadwerkelijke probleem van degenen die dit 'lot' treft, en hun eigen visie daarop, niet geanalyseerd. Onduidelijk is of, hoe en wanneer verbeteringen in dat lot meetbaar zijn en het effect van uw strategie zichtbaar wordt.

Nederland voorbeeldland?

Het in de brief geschetste beeld van de overheidsinzet op het terrein van de zeldzame aandoeningen is subjectief. In het verleden werd de Nederlandse overheid inderdaad geprezen om haar actieve beleid. Tegenwoordig wordt op Europese congressen helaas publiekelijk geconstateerd dat Nederland die positie niet meer waarmaakt. Angst voor extra zorguitgaven lijkt een rol te spelen bij de passieve opstelling ten aanzien van de realisatie van een Nationaal Plan Zeldzame Aandoeningen. Het beleid van uw ministerie wordt ervaren als reactief in plaats van proactief: veel van de genoemde maatregelen zijn tot stand gekomen na lang aandringen van diverse veldpartijen. Een duidelijke intrinsieke 'drive' voor de zeldzame aandoeningen bij de overheid zelf ontbreekt, resulterend in het ontbreken van een structureel overheidsbeleid. Wij zijn er echter van overtuigd dat een daadwerkelijk strategisch beleid zowel kwaliteitsverbeterend als kostenbesparend zal werken.

Lange tijd werd de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen in het buitenland gezien als voorbeeld van dit actieve beleid, en dit *multi-stakeholder* model werd vervolgens door diverse landen overgenomen. De overheid stond alleen in haar visie dat de Stuurgroep niet langer nodig zou zijn en daarom opgeheven kon worden. Ter rechtvaardiging wordt in de brief de suggestie gewekt dat alle taken van de Stuurgroep bij veldpartijen zijn ondergebracht. Wij wagen dat te betwijfelen. In ieder geval is dat richting patiëntenorganisaties niet gebeurd. Het veld van patiëntenorganisaties is in het laatste jaar van de Stuurgroep eerder verzwakt dan versterkt.

---

[2] Als voorbeeld op onderzoeksterrein kunnen de doelstellingen van the International Rare Diseases Research Consortium (IRDiRC) worden genoemd: per 2020: 200 nieuw therapieën en diagnostische testen voor de meeste zeldzame aandoeningen.

VSOP

Zorgconcentratie

Het kabinet heeft in haar regeringsverklaring vastgelegd dat hoe zeldzamer, ingewikkelder en innovatiever een behandeling is, hoe groter de noodzaak deze behandeling te concentreren in een paar (top)ziekenhuizen. In een latere brief (CZ-U-3079043 d.d. 4 november 2011) gaf u vervolgens aan dat voor zeer zeldzame aandoeningen waarvoor een 'topreferent eindstation' ontbreekt, UMC's onderling overleggen over de vraag waar het beste behandeld zou kunnen worden. In uw brief van 29 februari jl. meldt u dat de UMC's op het terrein van de zeldzame aandoeningen vakgroepen hebben ingesteld voor patiëntenzorg en wetenschappelijk onderzoek.

Het beeld dat hiermee wordt opgeroepen komt helaas niet overeen met de werkelijkheid. Het is algemeen bekend dat de UMC's, verenigd in de NFU, niet in staat zijn (gebleken) onderling tot een integrale taakherschikking te komen.[3] Het zonder overleg afstoten van de zorg voor een zeldzame immunologische aandoening door het UMC Maastricht, alsmede de jarenlange strijd tussen de academische centra betreffende het kinderoncologisch centrum, zijn daar de wrange voorbeelden van. Onze ervaring is echter dat als de UMC's daarover al overleggen, dit niet blijkt uit een daadwerkelijke onderlinge taakherschikking op basis van expertise en kwaliteit en oplossingen voor het nog ontbrekende zorgaanbod voor zeldzame aandoeningen. De UMC's gezamenlijk bieden slechts aan een zeer beperkt aantal zeldzame aandoeningen gespecialiseerde zorg. Tevens is het zowel voor patiënten(organisaties) als zorgverleners meestal volstrekt onduidelijk waar de expertise voor een bepaalde zeldzame aandoening zich bevindt. Ook de Portal Topreferente Functies van de NFU is verre van compleet.

Bovendien biedt topreferente academische zorg niet de totaaloplossing voor de zeldzame aandoeningen.[4] Dergelijke zorg kan weliswaar vaak deel uitmaken van de zorg voor een bepaalde zeldzame aandoening, maar dan in relatie tot specifieke *Reference Centres* voor zeldzame aandoeningen (ook wel expertise centra genoemd). De aanbevelingen die de EUCERD heeft opgesteld voor deze *Reference Centres*[5] kunnen een uitstekend uitgangspunt vormen voor uw beleid in dezen (en Europese Reference Networks komen zelfs in aanmerking voor Europese financiering). Uitgegaan wordt van een integraal concept, bestaand uit registratie, onderzoek, zorgcoördinatie, kennisontwikkeling en kennisdeling, ook richting een netwerk van zorgverleners buiten de academische centra, inclusief de zorg dicht bij huis. Dergelijke *Reference Centres* zijn een bijzonder essentieel startpunt voor de verbetering van de zorg voor zeldzame aandoeningen (in dit verband zou afschaffing van de Wet Bijzondere Medische Verrichtingen, WBMV, waaronder momenteel bijvoorbeeld de hemofilie-behandelcentra vallen, zou zonder gelijkwaardig alternatief overigens onverstandig zijn).

---

[3] Citaat: *Ten aanzien van deze samenwerking speelt de Nederlandse Federatie van Universitaire Medische Centra (NFU) een stimulerende en coördinerende rol.*

[4] Citaat: *De brief van VWS aan de NFU over de Langetermijncyclus Academische Component van 12 juli jl. noemt het belang voor de academische ziekenhuizen van de topreferente zorg, waartoe de zorg behoort die betrekking heeft op de zeldzame aandoeningen.*

[5] European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD) Recommendations – Quality criteria for centres of expertise for rare diseases in member states, oktober 2011.

Patiënten(organisaties) voor zeldzame aandoeningen zijn intensief bij hun zorg betrokken: zonder hen kan een taakherschikking niet gebaseerd worden op bewezen expertise en kwaliteit. In het verleden heeft uw ministerie aan de VSOP dan ook laten weten achter het plan te staan om patiëntenorganisaties medesturend te laten zijn in het proces van taakherschikking en de realisatie van Reference Centres.

Onafhankelijke regie ten aanzien van de aanwijzing van centra is absoluut noodzakelijk, maar u geeft aan, zonder verdere toelichting, die niet te willen nemen[6]. Aangezien gebleken is dat bij zorgaanbieders en zorgverleners het nodige zelfoverstijgend vermogen ontbreekt, roepen wij u nadrukkelijk op om *juist wel* coördinerend op te treden en tevens aan patiënten in dat proces een gelijkwaardige rol toe te kennen!

Rol patiëntenorganisaties

U benoemt diverse malen, en terecht, de belangrijke rol van patiëntenorganisaties. Overduidelijk is echter ook dat het veld van pg-organisaties door massieve bezuinigingen wordt verzwakt. Bovendien: hoe kunnen individuele patiëntenorganisaties hun stem nog laten horen nu belangenbehartiging vanuit hun instellingssubsidie verboden is?

Wat betreft onze eigen rol als VSOP: inderdaad kunnen wij ons dankzij succesvolle projectacquisitie als overkoepelende belangenbehartiger nog blijven inzetten voor zeldzame en genetische aandoeningen en als organisatie overleven. Maar waarom wordt de instellingssubsidie aan de VSOP gestaakt, terwijl juist die VSOP voor en door de achterban van zeldzame aandoeningen geacht wordt die 'stem van de patiënt' te zijn? Hoe kan die 'stem' onafhankelijk en zo nodig kritisch zijn richting de overheid als deze wordt ondergebracht bij diezelfde overheid (ZonMw)? Waarom zouden een 'portal' en een 'stem van de patiënt' niet bij die patiëntenorganisaties ondergebracht kunnen worden?[7]

Onze inzet voor betere zorg voor zeldzame aandoeningen is pionieren en niet zelden vechten tegen de bierkaai, bijvoorbeeld als het gaat om het daadwerkelijk implementeren van de zestien zorgstandaarden die wij ontwikkelen. De acceptatie daarvan door zorgaanbieders en zorgverzekeraars kan onmogelijk slagen zonder de stimulerende rol van uw ministerie, het Coördinatieplatform Zorgstandaarden en het Nederlands Zorginstituut i.o.. Alleen subsidies zijn dan onvoldoende: uw visie op het realiseren van betere zorg voor *alle* zeldzame aandoeningen is onontbeerlijk! Hoe kan ook voor hen in Nederland perspectief worden gecreëerd? Hoe kan de zorg voor deze aandoeningen gefinancierd gaan worden op basis van het, ook door het Coördinatieplatform Zorgstandaarden gehanteerde, *chronic care model?*[8]

---

[6] Citaat: *Het aanwijzen door de overheid van één of enkele referentiecentra voor de behandeling van een specifieke zeldzame ziekte of groep van gerelateerde ziektes is op korte termijn niet aan de orde.*

[7] Citaat: *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.*

[8] Zie o.a.: Achtergrondstudie uitgebracht door de RVZ bij het advies 'Bekwaam is bevoegd', 2011.

VSOP

Screening en diagnostiek

Wat betreft tijdige diagnostiek: inderdaad doet Nederland het in vergelijking met andere landen niet slecht op het terrein van een aantal screeningen (STOET, STOEH, hielprik) en zou Nederland binnen Europa op dit terrein het nodige zendingswerk kunnen verrichten, blijkens een recent persbericht van RIVM, VUmc en VSOP betreffende het onbenut laten van de hielprik in Europa. Uw brief laat daarnaast diverse knelpunten echter onvermeld:

Er zijn zoveel meer genetische aandoeningen waarbij een effectief screeningsbeleid (familie- of populatiescreening) veel leed, en kosten, kan besparen. In operationele zin zou dit prima kunnen aansluiten bij de huidige taken van de klinisch genetische centra in Nederland. Ook heeft de Gezondheidsraad een aanbod van preconceptionele screening geadviseerd[9], een advies dat helaas door uw ministerie niet is opgevolgd.

De meeste zeldzame aandoeningen zijn genetische aandoeningen. Op dat terrein is kennis onder de bevolking van essentieel belang voor tijdige herkenning, reproductieve keuzes etc.[10] Terloops noemt u dan ook het Erfocentrum. Helaas moet de financiering daarvan bijna jaarlijks politiek worden bevochten. Als onderdeel van een meerjarenstrategie voor zeldzame aandoeningen zou uw toezegging van permanente instellingsfinanciering voor deze onmisbare voorlichtingsorganisatie echter niet misplaats zijn.

U vermeldt dat ook binnen de jeugdgezondheidszorg zeldzame aandoeningen kunnen worden gesignaleerd. Feit is echter dat de meeste jeugdartsen en algemene kinderartsen daartoe onvoldoende toegerust. Hierdoor worden veel kinderen niet adequaat doorverwezen en krijgen jaren te laat de juiste diagnose, waardoor inmiddels onherstelbare gezondheidsschade opgetreden kan zijn.

Weesgeneesmiddelen

Nederland doet het goed in Europa als het gaat om de volledige vergoeding van weesgeneesmiddelen en de aantallen weesgeneesmiddelen die worden vergoed. Wij roepen u graag op te garanderen dat dit zo blijft.

Bij de invoering van de *add on* bekostiging kan overigens het ontbreken van DBC's voor de meeste zeldzame aandoeningen een serieus probleem gaan vormen. Ook de overheveling van sommige dure weesgeneesmiddelen naar de ziekenhuisfinanciering kan knelpunten opleveren. Daarnaast treden er nu reeds problemen op bij de vergoeding van sommige geneesmiddelen, door zorgverzekeraars, die noodzakelijkerwijs *off-label* voor weesindicaties worden voorschreven, aangezien fabrikanten onvoldoende bereid zijn onderzoek daarnaar te financieren.

Veel *advanced therapies* zoals gentherapie, vallend onder de geneesmiddelen, zijn gericht op zeldzame aandoeningen. Complexe regelgeving en Nederlands uitzonderingspositie op het terrein van klinisch onderzoek bij kinderen (advies Commissie Doek) werken hier onnodig belemmerend.

---

[9] Preconceptiezorg: voor een goed begin. Den Haag: Gezondheidsraad, 2007; publicatienr. 2007/19.
[10] Publiekskennis genetica. Signalement Gezondheidsraad, 2003.

VSOP

Registratie

Terecht benoemt uw brief het ontbreken van een registratie voor zeldzame aandoeningen als een belangrijk probleem. Vervolgens wordt echter besloten te wachten op Europees ontwikkelingen[11]. Volgens ons is dat onnodig: in Nederland zijn er zowel qua infrastructuur (EPD, Eurocat, bestaande deelregistraties etc.) als financiering (GGG-programma ZonMw, Topsector Life Sciences) uitstekende mogelijkheden voor een functionele registratie, die tevens eraan kan bijdragen dat de steeds terugkerende onduidelijkheid over de omvang en gevolgen van de problematiek wordt opgelost. Ook onder patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen is de motivatie groot om actief bij te dragen aan het opzetten en onderhouden van een dergelijke registratie!

Tot slot

Graag besluiten wij met een drietal suggesties voor de verdere rol van uw ministerie:

- Formuleer een visie op de daadwerkelijke aard van de problematiek van de zeldzame aandoeningen en baseer daarop concrete, strategische beleidsdoelstellingen, binnen een *public health* kader.
- Realiseer binnen uw ministerie een 'zeldzaam-inclusief' beleid door al uw beleidsmaatregelen vooraf te toetsen op mogelijke gevolgen, of mogelijke kansen, voor deze aandoeningen.
- Beperk de rol van uw ministerie niet tot het verlenen van subsidies, maar draag daarnaast met beleidsmaatregelen proactief bij aan een duurzame infrastructuur, met name op het terrein zorg- en kennisconcentratie, zorgstandaarden en registratie, bij voorkeur binnen *Reference Centres*.

Overheid en veldpartijen moeten gezamenlijk verantwoordelijkheid nemen voor betere zorg en een betere kwaliteit van leven voor mensen met zeldzame aandoeningen. Als VSOP willen we daaraan graag een, zowel kritische als constructieve, bijdrage leveren en vertrouwen wij er op dat u onze analyse en aanbevelingen meeneemt in de nadere uitwerking van uw strategie.

Hoogachtend,

drs. Maria Martens, voorzitter

dr. Cor Oosterwijk, directeur

Cc:
Tweede Kamer der Staten Generaal
Eerste Kamer der Staten Generaal – Commissie voor VWS
Lidorganisaties VSOP
FBG
ZonMw
NFU / STZ / NVZ

[11] Wellicht verwijst uw brief naar Epirare: www.epirare.eu: *'The final aim is to develop tools and services in support of existing registers and to favour the creation of new ones where needed.'*