

**V S O P**

VOOR ZELDZAME EN GENETISCHE AANDOENINGEN

## Zeldzaam belangrijk!

40 Ambities voor 2017-2020



## INHOUD

<i>Inleiding</i> .....	<b>3</b>
<b>1</b> <i>Belangenbehartiging en beleidsbeïnvloeding: hoofddoel</i> .....	<b>4</b>
<b>2</b> <i>Awareness in samenleving en zorg: belangrijke voorwaarde</i> .....	<b>5</b>
<b>3</b> <i>Zwangerschap en erfelijkheid: blijvende aandacht</i> .....	<b>5</b>
<b>4</b> <i>Tijdige en juiste diagnostiek: van onschatbare waarde</i> .....	<b>6</b>
<b>5</b> <i>Kwaliteit van de zorg: het patiëntenperspectief onmisbaar</i> .....	<b>7</b>
<b>6</b> <i>Organisatie van de zorg: samenwerken in netwerken</i> .....	<b>8</b>
<b>7</b> <i>Onderzoek en therapieontwikkeling: nog veel te doen</i> .....	<b>9</b>
<b>8</b> <i>Medicijnbeleid: zowel innovatie als toegang bevorderen</i> .....	<b>10</b>
<b>9</b> <i>Organisatie</i> .....	<b>11</b>
9.1 Statuten .....	<b>11</b>
9.2 Leden .....	<b>11</b>
9.3 Bestuur .....	<b>11</b>
9.4 Medewerkers en bureau.....	<b>11</b>
9.5 Netwerk.....	<b>12</b>
<b>10</b> <i>Financiën</i> .....	<b>13</b>
10.1 Inkomsten.....	<b>13</b>
10.2 Meerjarenbegroting .....	<b>13</b>
<i>Samenvatting ambities</i> .....	<b>15</b>
<i>Lidorganisaties</i> .....	<b>17</b>



## INLEIDING

*“De vereniging stelt zich ten doel om vanuit het patiëntenperspectief te stimuleren dat nieuwe genetische kennis en biomedische toepassingen voor iedereen toegankelijk zijn en optimaal bijdragen aan welzijn en gezondheid van zowel huidige als toekomstige generaties” (Artikel 2.1 Statuten).*

De VSOP – Vereniging Samenwerkende Ouder en Patiëntenorganisaties - is Nederlands nationale samenwerkingsverband van patiëntenorganisaties voor mensen met zeldzame en genetische aandoeningen. In 2019, het derde jaar van dit beleidsplan, bestaat de VSOP 40 jaar. De VSOP wil daarnaartoe werken middels 40 ambities voor 2017-2020!

Terugblikkend op deze periode waren er veel goede ontwikkelingen: meer (inter)nationale aandacht voor zeldzame aandoeningen en erfelijkheid, betere en tijdiger diagnostiek, meer aandacht voor: preventie, zorgkwaliteit vanuit het patiëntenperspectief en het belang van samenwerking.

Veel gedreven en gemotiveerde betrokkenen hebben eraan bijgedragen dat de VSOP in de loop der jaren een onmisbare positie in de Nederlandse samenleving heeft opgebouwd. Dit blijkt onder meer uit:

- Belangenbehartiging voor minstens één miljoen burgers/patiënten met zeldzame of genetische aandoeningen.
- Vertegenwoordiging van een toenemend aantal (70+) patiëntenorganisaties.
- Advisering van de Nederlandse en Europese overheid.
- Intensieve samenwerking met het medisch beroepsveld en zorgverzekeraars.
- Een belangrijke bijdrage aan wetenschappelijk onderzoek en de patiëntgerichtheid daarvan.
- Een essentiële bijdrage aan betere kwaliteit en organisatie van de zorg middels kwaliteitsstandaarden, expertisecentra en expertisenetwerken.
- Een essentiële bijdrage aan kostenbeheersing in de zorg, o.a. door een focus op preventie en vroegdiagnostiek.
- Een evenwichtige bijdrage aan de maatschappelijke dialoog betreffende de ethiek en verantwoorde introductie van reproductieve, biotechnologische en genetische innovaties.

De lidorganisaties zijn het bestaansrecht van de VSOP. Gezamenlijk optrekken met en voor de leden maakt de impact en omvang van zeldzame en genetische aandoeningen duidelijk voor de samenleving. De steun van de achterban stelt de VSOP in staat om van betekenis te zijn voor alle Nederlanders met een zeldzame of genetische aandoening en hun naasten.

Zeldzame aandoeningen zijn te typeren zijn als: ernstig, chronisch en/of progressief en vaak al op jonge leeftijd optredend. Een meerderheid van de patiënten kampt met de onbekendheid van hun aandoening en ondervindt de gevolgen van onvoldoende onderzoeksmogelijkheden, tekortschietende kennis en expertise bij zorgverleners, tekortschietende diagnostiek en behandeling en ontbrekende kwaliteitsstandaarden. Zeldzame aandoeningen zijn vaak genetisch, erfelijk of aangeboren. Daarnaast speelt erfelijkheid ook bij veel niet-zeldzame aandoeningen een grote rol.

Alleen de zeldzame aandoeningen al treffen minstens één miljoen Nederlanders. Al deze aandoeningen hebben vaak grote impact op gezinnen, families en overige betrokkenen. Hun problemen, uitdagingen en ambities vormen de inspiratie voor de VSOP.

Uiteindelijk gaat het er om dat de VSOP bijdraagt aan de kwaliteit van het dagelijks leven van de patiënt en zijn omgeving. Dat betekent, naast onze ambities op het terrein van onderzoek en zorg, ook aandacht voor psychosociale aspecten, maatschappelijke zorg en de mogelijke negatieve gevolgen van de aandoening voor werk, onderwijs, wonen, inkomen en maatschappelijke participatie.

In 2020 wil de VSOP belangrijke stappen hebben gezet op weg naar optimale zorg en onderzoek voor *alle* mensen met zeldzame aandoeningen in Nederland. Er zijn nu volop kansen om hen een beter perspectief te bieden. Dit beleidsplan formuleert veertig ambities die daarvoor nodig zijn: **‘Zeldzaam belangrijk!’**

### Referenties:

- Erfelijkheid op de agenda. Actualiteit van 25 jaar VSOP. Soestdijk, 2004.
- Nationaal Plan Zeldzame Ziekten. ZonMw, 2013.
- Zeldzame aandoeningen: de betekenis van patiëntenorganisaties en de VSOP voor de zorgverlener. Bijblijven 8/9 2016.
- Slotadvies Afstemmingsoverleg Zeldzame Ziekten. ZonMw, 2017.

## BELANGENBEHARTIGING EN BELEIDSBEÏNVLOEDING: HOOFDDOEL

*“het raadplegen van de aangesloten organisaties betreffende gemeenschappelijke belangen, vraagstukken en uitdagingen; contacten met relevante partijen in binnen- en buitenland gericht op belangenbehartiging, beleidsbeïnvloeding, advisering, agendasetting en samenwerking; de inbreng van het patiëntenperspectief in het maatschappelijk en politiek debat” (Artikel 2.2a,c,g Statuten).*

Belangenbehartiging en beleidsbeïnvloeding op invloedrijke niveaus zijn nodig om een betere kwaliteit van leven van patiënten met zeldzame en genetische aandoeningen te realiseren. Dat kan alleen effectief zijn als patiënten al vanaf het allereerste begin betrokken zijn.

**Ambitie 1.** De VSOP bevordert dat patiënten in een zo vroeg mogelijk stadium betrokken worden bij ieder initiatief op het terrein van zorg, onderzoek en beleid dat de intentie heeft bij te dragen aan betere kwaliteit van zorg en leven.

Ook op overkoepelend beleidsmatig niveau is die vroege interactie van belang. Niet alleen nationaal, maar voor zeldzame aandoeningen ook Europees en wereldwijd. Mede daarom is de VSOP vertegenwoordigd in o.a. *Rare Diseases Europe* (EURORDIS, [www.eurordis.org](http://www.eurordis.org)), het *Patients Network for Medical research and Health* (EGAN, [www.egan.eu](http://www.egan.eu)) en het European Medicines Agency (EMA, [www.ema.europa.eu/ema](http://www.ema.europa.eu/ema)).

**Ambitie 2.** De VSOP heeft impact in zorg en onderzoek door richting (inter)nationale beleidsmakers agendasettend te zijn en hen proactief en vroegtijdig te beïnvloeden.

De aangesloten patiëntenorganisaties komen op voor de specifieke problematiek van de desbetreffende aandoening. Een aantal patiëntenorganisaties kost het echter moeite daar, in een complex zorgveld, goed vorm aan te geven.

**Ambitie 3.** De VSOP wil dat ook kleine patiëntenorganisaties, vrijwilligersorganisaties, adequaat zijn toegerust om hun belangen te (laten) behartigen. Clustering, toerusting en adequate financiering zijn daartoe voorwaarden.

De VSOP komt ook op voor de individuele patiënt. De VSOP behartigt zijn aandoeningoverstijgende problematiek en focust daarbij op aspecten die verband houden met het zeldzame of genetische karakter van de aandoening. Het is daarom van belang dat de leden in geval van aandoeningoverstijgende thema's gezamenlijk optrekken en de invloed van de VSOP benutten. Als het de algemene problematiek betreft van het leven met een chronische ziekte of handicap, werkt de VSOP samen met andere patiëntenkoepelorganisaties. De VSOP wil het ervaringsperspectief van de achterban zo onderbouwd, betrouwbaar en representatief mogelijk in beeld brengen. Het (kwalitatief) onderzoek dat daarvoor soms nodig is, kan de VSOP zowel in eigen beheer als in samenwerking met onderzoeksgroepen worden uitvoeren.

**Ambitie 4.** De VSOP geeft de monitoring van knelpunten binnen de achterban een structureel karakter.

De VSOP heeft bewezen veel voor patiënten te kunnen betekenen door constructief en effectief deel te nemen aan belangrijke nationale beleidstrajecten. In samenwerking met veel andere patiëntenorganisaties is bijvoorbeeld bijgedragen aan de totstandkoming van het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten (NPZZ, 2013). En aan de daaropvolgende totstandkoming van expertisecentra, expertisenetwerken en Europese Referentie Netwerken (ERN's). Dit heeft geleid tot intensievere samenwerking van het medisch veld met patiëntenorganisaties.

De actualisatie van het NPZZ in het Slotadvies Afstemmingsoverleg Zeldzame Ziekten van begin 2017 is van groot belang voor de komende beleidsperiode. De VSOP draagt ook actief bij aan de implementatie van dit advies, onder meer door het te agenderen tijdens haar jaarlijkse Nationale Conferentie Zeldzame Aandoeningen ([www.ncza.nl](http://www.ncza.nl)) en door intensievere interactie met de politieke partijen en de Eerste en Tweede kamer.

**Ambitie 5.** De VSOP investeert in effectieve lobby op politiek niveau, zowel in samenwerking met de leden als patiëntenkoepelorganisaties.

De inkoop van kwalitatief goede zorg en innovatie in de zorg zijn gezamenlijke belangen van patiënten en zorgverzekeraars. Ook de nieuwe structuren in het veld van de zeldzame aandoeningen: expertisecentra, expertisenetwerken en ERN's vereisen een hogere betrokkenheid van zorgverzekeraars dan nu het geval is.

**Ambitie 6.** De VSOP investeert in de relatie met zorgverzekeraars, vooral met het oog op de vergoeding van de infrastructuur en activiteiten die nodig zijn om de rol van zorgverleners en patiëntenorganisaties in expertisenetwerken mogelijk te maken.

## AWARENESS IN SAMENLEVING EN ZORG: BELANGRIJKE VOORWAARDE

*“het zoeken van publiciteit voor belangen, standpunten en activiteiten” (Artikel 2.2h Statuten)*

Om op het terrein van de zeldzame aandoeningen bij te dragen aan zichtbaarheid, bekendheid en alertheid (*‘awareness’*) richt de VSOP zich zowel op de samenleving als partijen in de zorg. Door middel van events (zoals de Zeldzameziektendag), publicaties en publiciteit draagt de VSOP bij aan meer bewustwording in de samenleving.

**Ambitie 7.** De VSOP laat de aandacht in de samenleving voor zeldzame aandoeningen significant toenemen.

Medische zorgverleners dienen beter bekend te zijn met zeldzame aandoeningen. Dit met het oog op vroegsignalering, juiste begeleiding, behandeling en doorverwijzing. Diverse activiteiten van de VSOP op het terrein van deskundigheidsbevordering, zoals lezingen, onderwijs, e-learning en publicaties in vakbladen dragen daar aan bij.

**Ambitie 8.** De VSOP helpt medische doelgroepen in de eerste en tweedelijnsgezondheidszorg zeldzame aandoeningen eerder te signaleren door middel van deskundigheidsbevorderende activiteiten, bijdragend aan het tijdiger herkennen van symptomen, tijdiger verwijzing naar expertisecentra en een betere invulling van hun eigen rol in de behandeling. De VSOP gebruikt daarbij de ervaringskennis van patiënten(organisaties).

Met het oog op de betekenis van de VSOP voor mensen met zeldzame en genetische aandoeningen moet de VSOP goed vindbaar zijn voor zowel organisaties als voor individuele betrokkenen. Een grotere naamsbekendheid van de VSOP als *de* patiëntenfederatie voor zeldzame en genetische aandoeningen is daarom van belang.

**Ambitie 9.** De communicatie van de VSOP richting veldpartijen en samenleving wordt versterkt en geprofessionaliseerd.

## ZWANGERSCHAP EN ERFELIJKHEID: BLIJVENDE AANDACHT

*“bijzonder aandacht besteden aan: genetische, aangeboren en zeldzame aandoeningen; vraagstukken op het terrein van erfelijkheid, medische ethiek en medische biotechnologie” (Artikel 2.2a en b Statuten)*



De VSOP besteedt voortdurend aandacht aan (medisch-ethische) vraagstukken op het terrein van erfelijkheid, kinderwens, zwangerschap en geboorte. Dit heeft geresulteerd in een belangrijke stem van de VSOP op het beleidsterrein van de perinatale zorg: preconceptioneel, prenataal en neonataal. Daarbij benadrukt de VSOP het belang van ‘handelingsopties’ voor de (toekomstige) ouders tegenover een beperkte nadruk op medische ‘behandelingsopties’.

Tijdige informatie, over alles wat bij kan dragen een goede zwangerschapsuitkomst voor moeder en kind is van groot belang, juist ook voorafgaand aan een zwangerschap. Ook preconceptionele genetische dragerschapsscreening kan daar aan bijdragen. Het Nederlandse beleid op het dit terrein en de rol van de VSOP daarin kan ook buiten Nederland inspirerend werken.

**Ambitie 10.** De VSOP ziet het als haar verantwoordelijkheid (ook buiten Nederland) bij te dragen aan goede zwangerschapszorg (met name preconceptionele zorg), via (inter)nationale overheden en organisaties en netwerken op het terrein van zorg en onderzoek (ERN’s) en voorlichting.

Met name bij de prenatale zorg gaat het – juist vanuit het ouder- en patiëntenperspectief – om: evenwichtige informatie, zo autonoom mogelijke besluitvorming en een toekomstperspectief waarin mensen met een aandoening of beperking verzekerd zijn van goede zorg en een volwaardige maatschappelijke positie. Het perspectief van de patiënt is ook van groot belang voor de dialoog over de ethische en juridische aspecten van (nieuwe) genetische toepassingen in het kader van de zwangerschap, zoals de toenemende mogelijkheden van de Niet-Invasieve Prenatale Test (NIPT).

Dit patiëntenperspectief wordt overigens voor iedere burger steeds relevanter gezien de toenemende relevantie van de genetica gedurende alle fases van het leven, ook voor 'niet-patiënten'. Zonder dit perspectief kan onjuiste beeldvorming in het publieke en politieke debat ten onrechte leiden tot inperking van (keuze)mogelijkheden bij een kindwens.

**Ambitie 11.** De VSOP blijft het belang van autonome geïnformeerde besluitvorming (in het bijzonder bij kindwens) benadrukken.

## TIJDIGE EN JUISTE DIAGNOSTIEK: VAN ONSCHATBARE WAARDE

*"het stimuleren van goede voorlichting, preventie, diagnostiek..."* (Artikel 2.2f Statuten)



Een tijdige diagnose voorkomt de '*diagnostische odyssee*' en '*diagnostic delay*' en biedt: aanknopingspunten voor begeleiding, behandeling en/of preventie, zicht op de toekomst (prognose) en wellicht ook genetische informatie die van belang is voor een (volgende) kindwens.

Awareness ten aanzien van onverklaarbare klachten of symptomen, zowel in het algemeen (hoofdstuk 2) als in relatie tot zwangerschap (hoofdstuk 3), is een belangrijke voorwaarde voor een tijdige diagnose. Er kunnen ook redenen zijn waarom men zelf bewust afziet van diagnostiek, bijvoorbeeld in geval van een risico op een onbehandelbare familiale genetische aandoening (recht op niet-weten). Echter, voorkomen moet worden dat maatschappelijke factoren, zoals hogere drempels voor, of uitsluiting van zorg- of schadeverzekeringen, bijdragen aan het afzien of uitstellen van diagnostiek.

Na de geboorte is de neonatale screening (hielprik) de eerste en unieke gelegenheid om een erfelijke of aangeboren aandoening tijdig te diagnosticeren. Een diagnose is altijd van grote waarde, ook als de aandoening niet is te genezen of verergering niet kan worden voorkomen. Momenteel dienen de hielprikaandoeningen 'behandelbaar' te zijn. Echter, een diagnose kan altijd tot betere zorg leiden.

**Ambitie 12.** De VSOP blijft agenderen dat ook aandoeningen die buiten de beperkte definitie vallen van 'behandelbaar', opgenomen worden in de hielprik of een vergelijkbaar vroege screening.

Adequate financiering, capaciteit en regelgeving zijn nodig om familieleden van de zogenaamde 'index patiënt' te informeren over een mogelijk genetisch risico voor henzelf en hun eventuele toekomstige kinderen. Vervolgens kunnen zij desgewenst kiezen voor genetische diagnostiek.

**Ambitie 13.** De VSOP zet zich in voor een landelijke infrastructuur toereikende financiering om alle relevante familieleden van indexpatiënten te kunnen informeren over een mogelijk genetisch risico.

DNA-analyse met behulp van *Next Generation Sequencing* (NGS) wordt steeds vaker toegepast om een tijdige en nauwkeurige diagnose te kunnen stellen, gebruikt in screeningsprogramma's en wetenschappelijk onderzoek. NGS leidt ook tot een toenemend aantal nieuwe, voorheen onbekende diagnoses. Dit maakt dat de desbetreffende patiënten/ kinderen vaak niet in de systematiek passen van de medische en maatschappelijke zorg.

**Ambitie 14.** De VSOP zal zich inzetten voor betere, multidisciplinaire begeleiding van patiënten met een weinig bekende diagnose en een volwaardige positie / classificatie van deze patiënten in allerlei zorgsystemen.

De VSOP zet zich in voor de verdere implementatie van NGS in de zorg en blijft het patiëntenperspectief inbrengen bij de dialoog over ethische en juridische dilemma's die daarmee samenhangen. De uitgangspunten voor medezeggenschap over genetische data heeft de VSOP in 2016 in een *position paper* vastgelegd.

**Ambitie 15.** De VSOP blijft zich inzetten voor partnerschap en medezeggenschap bij genetische data die met behulp van diagnostiek, screening of wetenschappelijk onderzoek verkregen zijn.

Referentie: Zeldzame ziekten: een onmogelijke diagnostische opgave? Huisarts en Wetenschap 59:4, 2016.

## KWALITEIT VAN DE ZORG: HET PATIËNTENPERSPECTIEF ONMISBAAR

“het stimuleren van goede ... therapie en zorg”; (Artikel 2.2f Statuten)

Voorwaarden voor een goede kwaliteit van zorg vanuit het patiëntenperspectief zijn: een gelijkwaardige patiënteninbreng in het formuleren, monitoren en evalueren van de kwaliteit van de zorg, en ‘zorg op maat’.

Dit omvat alle dimensies die geformuleerd zijn in het kader van ‘positieve gezondheid’: lichaamsfuncties, mentaal welbevinden, zingeving, kwaliteit van leven, en dagelijks functioneren in relatie tot werk, onderwijs, wonen, inkomen en maatschappelijke participatie. Ook de eigen verantwoordelijkheid (leefstijl) en eigen regie zijn van belang.

‘Value-based healthcare’ en uitkomstmaten die een afspiegeling zijn van die toegevoegde waarde voor de kwaliteit van leven van de patiënt, bieden kansen om de zorg meer te richten op de individuele patiënt en zijn naasten.

**Ambitie 16.** De VSOP stimuleert het ‘samen beslissen’ tussen zorgverlener en patiënt om de zorg beter af te stemmen op alles wat voor de kwaliteit van leven van de patiënt en zijn naasten van belang is.

**Ambitie 17.** De VSOP stimuleert het gebruik van adequate uitkomstenmaten om zo de daadwerkelijke waarde van de verleende zorg voor de patiënt en zijn naasten in beeld te kunnen brengen en daarmee de zorg te kunnen verbeteren.

---

De VSOP onderschrijft het belang van ‘evidence based’ als basis voor goede zorg. Maar vaak ontbreken goed onderzoek en daarop gebaseerde richtlijnen. Daarom zijn voor veel zeldzame aandoeningen ‘pragmatische oplossingen’ nodig en een andersoortige ‘bewijslast’ dan die zijn gebaseerd op gerandomiseerde klinische onderzoeken. ‘Samen beslissen’ is vooral van belang in geval van onzekerheid ten aanzien van de bewijslast.

De VSOP werkt aan deze ‘pragmatische oplossingen’ voor zeldzame aandoeningen door vanuit het patiëntenperspectief onder andere kwaliteitsstandaarden en behandeladviezen voor huisartsenbrochures te ontwikkelen ([www.zorgstandaarden.net](http://www.zorgstandaarden.net), [www.zichtopzeldzaam.nl](http://www.zichtopzeldzaam.nl)). Dit zijn belangrijke, formele trajecten voor (de achterban van) patiëntenorganisaties: ze maken de zorg patiëntgericht en geven ervaringskennis een plek in de zorg. Het gaat zowel over professionele instrumenten als patiëntenversies die zich onder meer richten op een gelijkwaardige relatie met de zorgverlener en eigen regie.

**Ambitie 18.** De VSOP verbetert de kwaliteit van zorg door voor alle (clusters van) zeldzame aandoeningen vanuit het patiëntenperspectief professionele instrumentaria te ontwikkelen en/of patiëntenorganisaties daarbij te ondersteunen.

---

Het maatschappelijk debat over de (kosten)effectiviteit van de zorg mag niet ten koste gaan van de toelating van innovatieve, effectieve interventies voor zeldzame en genetische aandoeningen tot het verzekerde pakket. Ook patiëntenorganisaties denken daarom actief mee over de vraag welk zorgaanbod overbodig is of wat effectiever kan.

**Ambitie 19.** De VSOP is alert op ‘gepast gebruik’ van de zorg en stimuleert de rol van patiënten bij ‘de-implementatie’ van overbodige zorg en niet-effectieve interventies. Zo kunnen juist meer (kosten)effectieve interventies, ook voor kleine doelgroepen, worden toegelaten tot de verzekerde zorg.

---

De VSOP constateert dat er te weinig aandacht is voor goede (curatieve) gezondheidszorg voor mensen met een verstandelijke beperking, mogelijk vanwege de focus op de verstandelijke problematiek en/of een onjuiste of ontbrekende diagnose.

**Ambitie 20.** De VSOP besteedt extra aandacht aan de kwaliteit van de medische zorg voor mensen met verstandelijke beperkingen en syndromen.

---

## ORGANISATIE VAN DE ZORG: SAMENWERKEN IN NETWERKEN

*“Iedereen die lijdt aan een zeldzame ziekte krijgt tijdig een accurate diagnose, ontvangt netwerkzorg en behandeling (waar nodig grensoverschrijdend) die aansluit bij de individuele behoefte. Om dit mogelijk te maken dienen de expertisecentra voor zeldzame aandoeningen een zodanige positie te krijgen dat aan alle voorwaarden kan worden voldaan, zoals het vormen van een netwerk met zorgverleners in de regio van de patiënt en andere instanties zoals gemeenten en zorgverzekeraars. .... Participatie van mensen met een zeldzame ziekte en hun organisaties is hier een onlosmakelijk onderdeel van.” (Slotadvies Afstemmingoverleg Zeldzame Ziekten, ZonMw, 2017)*

Een betere organisatie van de zorg voor zeldzame aandoeningen omvat zaken als coördinatie, concentratie, samenwerking, kennisdeling en deskundigheidbevordering. De VSOP onderschrijft het belang dat het Slotadvies Afstemmingoverleg Zeldzame Ziekten hecht aan de samenwerking tussen expertisecentra en patiëntenorganisaties.

De toetsing en ministeriële aanwijzing van de expertisecentra vond plaats met behulp van vele patiëntenorganisaties, NFU, Orphanet en VSOP. Dit moet resulteren in een permanente strategie voor de kwaliteit en organisatie van zorg, ook voor zeldzame aandoeningen die nog onvoldoende hebben geprofiteerd van de aanwijzing van expertisecentra.

**Ambitie 21.** De VSOP wil aandacht voor de ‘witte vlekken’ in het zorglandschap voor zeldzaam. Dat betreft zowel zeer zeldzame aandoeningen zonder een (Europees) expertisecentrum, als expertisecentra zonder patiëntenorganisatie en/of nationaal netwerk.

Na de aanwijzing van ruim 300 expertisecentra zijn zowel concentratie als netwerkvorming nu hoognodige vervolgstappen. Concentratie maakte geen deel uit van de toetsing van expertisecentra. Het is echter noodzaak de expertise rondom zorg en onderzoek voor mensen met zeldzame aandoeningen te concentreren. Daarbij spelen belangen die alleen zijn te doorbreken als iedereen daadwerkelijk het belang van goede zorg voor de patiënt centraal stelt. *Best practices* kunnen daarbij inspireren.

**Ambitie 22.** De VSOP zet zich in voor meer concentratie van zorg en onderzoek voor zeldzame aandoeningen op basis van aandoeningsspecifieke kwaliteits- en volumecriteria. Het aantal expertisecentra moet in verhouding staan tot het aantal patiënten per regio.

**Ambitie 23.** De VSOP bevordert dat concentratie hand in hand gaat met meer digitale zorg en eHealth. Dat maakt de patiënt minder afhankelijk van het expertisecentrum en stelt hem in staat meer regie te nemen over zijn gezondheid.

Vorming van nationale expertisenetwerken vanuit de expertisecentra in samenwerking met de patiëntenorganisatie(s) is nodig om ketenzorg/shared care te realiseren op basis van gezamenlijke kwaliteitsstandaarden. Binnen deze netwerken kunnen gezamenlijke registraties integraal (kwaliteits)onderzoek mogelijk maken. De VSOP zal de expertisecentra zowel aanspreken op hun verantwoordelijkheid in dezen, als samen met hen optrekken richting beleidsmakers en financiers (zorgverzekeraars) om dit waar te kunnen maken.

**Ambitie 24.** De VSOP wil voor alle zeldzame aandoeningen nationale expertisenetwerken ontwikkelen en/of patiëntenorganisaties en expertisecentra daarbij ondersteunen.

Zorgprofessionals en patiëntenorganisaties die samenwerken in expertisenetwerken moeten wat betreft zorg en onderzoek in verbinding staan met de *European Reference Networks (ERN's)* en *European Patient Advisory Groups (ePAG)*.

**Ambitie 25.** De VSOP stimuleert de verbinding tussen Nederlandse expertisecentra, expertisenetwerken en ERN's. Clustering van zowel de Nederlandse patiëntenorganisaties als de expertisecentra op basis van de clustering binnen de 24 aangewezen ERN's zal worden verkend.

De coördinatie van grensoverschrijdende zorg in Europa is een belangrijke taak van de ERN's in samenwerking met de wettelijk verplicht Europese Nationaal Contact Punten.

**Ambitie 26.** De VSOP zet zich in voor betere voorlichting over, en ondersteuning bij grensoverschrijdende zorg.



## ONDERZOEK EN THERAPIEONTWIKKELING: NOG VEEL TE DOEN

“het stimuleren van en/of participeren in patiëntgericht wetenschappelijk onderzoek, o.a. middels bijzondere leerstoelen”  
(Artikel 2.1e Statuten)



Het biomedisch-wetenschappelijk onderzoek levert voor veel zeldzame en genetische aandoeningen effectieve(re) behandelingen op, maar nog lang niet voor het totaal van de minstens 7.000 zeldzame aandoeningen.

**Ambitie 27.** De VSOP besteedt extra aandacht aan de vele aandoeningen waarvoor nog geen effectieve interventies bestaan en waarvoor goede (psychosociale) zorg en begeleiding van de patiënt en zijn naasten eerste vereisten zijn.

Actieve betrokkenheid van patiënten in vroege onderzoeksfases (translationeel en (pre)klinisch), is noodzakelijk om bruggen te slaan tussen het wetenschappelijk perspectief en het patiëntenperspectief. Dat resulteert in daadwerkelijke meerwaarde voor de patiënt. De VSOP vindt het haar taak die vroege betrokkenheid in onderzoeksprojecten te stimuleren en faciliteren, bijvoorbeeld via patiëntenadviesraden. Die zijn van belang om de wetenschappelijke en ethische dilemma's op te lossen, die zich met name voor kunnen doen bij klinisch onderzoek voor zeer zeldzame aandoeningen, klinisch onderzoek bij kinderen en bij toepassing van geavanceerde therapieën zoals gentherapie.

De patiënt moet medezeggenschap hebben over ethische beslissingen die zijn leven kunnen beïnvloeden. Dat betreft bijvoorbeeld de 'risk/benefit' van nieuwe behandelingen zoals genetische therapieën, waaronder '*germline modification*', die sterk in opkomst zijn vanwege recente effectieve methoden voor '*gene-editing*'. Het is daarom belangrijk dat patiënten vertegenwoordigd zijn in ethische (toetsings)commissies.

**Ambitie 28.** De VSOP bevordert de inbreng van het patiëntenperspectief in de beoordeling van onderzoeken door (ethische) commissies.

De komende jaren nemen de mogelijkheden toe van medische databanken en biobanken te benutten voor betere zorg en kwaliteit-van-leven. Dit zowel door technische mogelijkheden (interoperabiliteit, '*data mining*', '*big data*') als een toenemende bereidheid (en druk) tot samenwerken. Met name bij zeldzame aandoeningen moeten (langlopende) patiëntenregistraties ('*registries*') zodanig worden ingericht dat zowel het wetenschappelijk onderzoek ermee is gediend, als dat de zorg erdoor verbetert. Ook dient er in het belang van de zeldzame aandoeningen een nationale infrastructuur te komen die in verbinding staat met Europese registraties van – met name - ERN's.

**Ambitie 29.** De VSOP zet zich actief in voor de realisatie en continuïteit van registries en biobanken voor zeldzame aandoeningen en voor meer samenwerking op dit terrein: zowel onderling als met patiëntenorganisaties.

De VSOP hecht sterk aan de samenwerking van patiënten met zowel academische onderzoeksgroepen als innovatieve (biofarmaceutische) bedrijven.

**Ambitie 30.** De VSOP stimuleert en faciliteert het contact en de samenwerking tussen patiëntenorganisaties, onderzoekers en ontwikkelaars van medische producten met het oog op het verkennen van onderzoeksmogelijkheden en therapieontwikkeling.

De VSOP ziet het instellen van bijzondere leerstoelen als mogelijkheid voor het uitbouwen van onderzoeks- en onderwijsterreinen die van belang zijn voor de achterban en doelgroep van de VSOP.

**Ambitie 31.** De VSOP verkent de mogelijkheden voor het instellen van nieuwe bijzondere leerstoelen.

## MEDICIJNBELEID: ZOWEL INNOVATIE ALS TOEGANG BEVORDEREN

“De vereniging stelt zich ten doel om vanuit het patiëntenperspectief te stimuleren dat ... nieuwe ... biomedische toepassingen voor iedereen toegankelijk zijn” (Artikel 2.1 Statuten).



De kosteneffectiviteit van de zorg, medicijnen en overige interventies, is een steeds belangrijker uitgangspunt voor de overheid en staat ook steeds centraler in het maatschappelijk debat: ‘Wat mag een QALY (*Quality Adjusted Life Years*) kosten en hoe is deze methodiek rechtvaardig toe te passen?’ De VSOP vindt dat de kwaliteit van leven van zowel de patiënt als zijn naasten, daarbij zo volledig mogelijk moet worden meegenomen.

De toenemende aandacht voor ‘*personalised / stratified medicine*’ maakt de zeldzame aandoeningen minder uitzonderlijk en biedt zeldzame en genetische aandoeningen zowel beleidsmatige als therapeutische kansen. Maar ook daarbij zijn er zorgen over de mogelijke kostentoeename die deze ontwikkeling mogelijk met zich meebrengt.

Het is belangrijk dat arts en patiënt ‘in de spreekkamer’ samen kunnen beslissen over de meest passende behandeling. De ruimte daarvoor mag niet onnodig worden ingeperkt door de overheid (Zorginstituut Nederland (ZiN), ministerie van VWS), zorgverzekeraars, of medische beroepsgroepen via richtlijnen. Tijdige samenwerking tussen patiëntenorganisatie en expertisecentrum in het definiëren van ‘gepast gebruik’ helpt deze partijen de juiste beslissingen te nemen.

**Ambitie 32.** De VSOP adviseert en/of ondersteunt patiëntenorganisaties en expertisecentra bij onderzoek dat kan bijdragen aan ‘gepast gebruik’ en betere kosteneffectiviteit.

Richting de biofarmaceutische industrie is de VSOP zowel constructief als kritisch. De VSOP wil dat patiënten ‘koste wat het kost’, toegang (‘access’) hebben tot medicijnen die effectief zijn, echter niet ‘tegen elke prijs’. De prijs dient in verhouding te staan tot de meerwaarde voor patiënt en maatschappij.

**Ambitie 33.** De VSOP spreekt biofarmaceutische bedrijven aan op hun maatschappelijke verantwoordelijkheid als het gaat om de prijs van medicijnen en therapieën in relatie tot hun effectiviteit.

De uiteindelijke prijsstelling van een medicijn wordt primair bepaald binnen een internationale context. Transparantie en samenwerking tussen alle actoren in de keten van medicijnontwikkeling zijn nodig om de toegankelijkheid van innovaties te blijven garanderen.

**Ambitie 34.** De VSOP blijft zowel in nationaal als Europees verband actief meedenken over het oplossen van knelpunten in de totale keten van medicijnontwikkeling, die (tijdige) toegang tot medicijnen voor patiënten in de weg staan.

## ORGANISATIE

### STATUTEN

Het bestuur neemt zich voor de statuten van de vereniging (voor het laatst herzien in 2010) in samenspraak met de leden te actualiseren. In aanvulling daarop wordt bekeken hoe het functioneren van de VSOP als vereniging beter is te structureren, bijvoorbeeld via reglementen.

### LEDEN

De leden van de VSOP zijn essentieel voor de inbreng van het ervaringsperspectief, hun visie op (beleids)vraagstukken en het signaleren van zowel kansen als knelpunten. Interactie met de achterban gebeurt middels gerichte communicatie, tijdens ledenvergaderingen, consultatiebijeenkomsten, thematische platforms, projectbijeenkomsten enzovoorts. Deze contacten helpen bestuur en medewerkers om zich gefundeerd en op basis van draagvlak in te zetten voor de ruim één miljoen Nederlanders met zeldzame en genetische aandoeningen.

De VSOP zoekt voortdurend naar mogelijkheden om de betrokkenheid van een zeer diverse achterban te vergroten en het functioneren als vereniging te verbeteren. Belangenbehartiging met een soms abstract karakter en niet direct zichtbare effecten, moet hand in hand gaan met aandacht voor de dagelijkse medische, psychosociale en maatschappelijke problematiek van het leven met een zeldzame aandoening.

**Ambitie 35.** Via de lidorganisaties wordt een lijst opgesteld van mensen die hun persoonlijke ervaring met een zeldzame en/of genetische aandoening willen inzetten voor media-uitingen, bijeenkomsten, deskundigheidsbevordering en beleidsbeïnvloeding via de VSOP.

De VSOP-lidorganisaties zijn weergegeven in de bijlage. Zie [www.zichtopzeldzaam.nl](http://www.zichtopzeldzaam.nl) voor een actueel ledenbestand.

**Ambitie 36.** In 2020 telt VSOP minimaal 100 lidorganisaties en aangesloten groepen.

Veel patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen ontbreekt het aan middelen en menskracht om vanuit het patiëntenperspectief bij te dragen aan het ontwikkelen en onderhouden van kwaliteitsstandaarden ter verbetering van de kwaliteit van zorg en leven (zie daarvoor ambitie nr. 3). Dat is nog moeilijker voor patiënten met een zeer zeldzame ('ultra-rare') aandoening en patiënten die, om welke reden dan ook, niet zijn georganiseerd als rechtspersoon (vereniging of stichting), zoals lotgenotengroepen en communities.

**Ambitie 37.** De VSOP is ook van betekenis voor mensen met zeer zeldzame aandoeningen en patiënten met zeldzame aandoeningen die niet als rechtspersoon zijn georganiseerd.

### BESTUUR

De VSOP heeft een onbezoldigd bestuur met een toezichhoudende rol. De bestuursverantwoordelijkheden staan beschreven in de statuten en het Bestuurs- en Directiereglement. Bestuursleden hebben een achtergrond, competenties en netwerken die bijdragen aan de impact en effectiviteit van de organisatie.

### MEDEWERKERS EN BUREAU

Het aantal van één miljoen patiënten met zeldzame aandoeningen en de impact van erfelijkheid bij (zeldzame en niet zeldzame) genetische aandoeningen, vraagt om een belangenbehartiger die professioneel, dienstverlenend en gerespecteerd is. Het VSOP-team dat hier uitvoering aan geeft bestaat uit gemotiveerde en (persoonlijk) betrokken medewerkers (15 fte in 2016). Zij beschikken over de juiste expertise om vanuit het patiëntenperspectief de belangen te behartigen van de doelgroep.

De VSOP hanteert een eigen arbeidsvoorwaardenregeling, die qua beloningsbeleid de CAO Maatschappelijke Zorg en Dienstverlening volgt.

Het VSOP-bureau informeert de achterban en doelgroepen over activiteiten en standpunten van de VSOP en relevante (beleidsmatige) ontwikkelingen elders. Dit gebeurt via [www.vsop.nl](http://www.vsop.nl), de digitale nieuwsbrief, ledenberichten en sociale media. Ook onderhoudt de VSOP een tiental thematische websites.

## NETWERK

Het veld waarin de VSOP opereert omvat stakeholders op het terrein van beleidsontwikkeling, politiek, overheid en adviesorganen; de medische beroepsgroepen en het daaraan gerelateerde onderzoeks- en wetenschapsveld; zorgverzekeraars; de innovatieve (bio)farmaceutische en diagnostische industrie; voorlichtingsorganisaties; de media en diverse maatschappelijke organisaties. De VSOP ziet zichzelf als de 'spin in het web' en als 'verbinder' richting deze veldpartijen met zowel gezamenlijke als uiteenlopende belangen. De VSOP ziet het als haar verantwoordelijkheid om deze partijen vanuit het patiëntenperspectief gevraagd en ongevraagd te adviseren en/of diensten te verlenen.

Om te zorgen dat belangen van zeldzame en genetische aandoeningen op alle terreinen van de gezondheidszorg gewaarborgd zijn, is de VSOP lid van de patiëntenkoepelorganisatie Patiëntenfederatie Nederland.

Patiëntenkoepelorganisatie Ieder(In) en VSOP hebben meerdere dubbelleden: waar nodig wordt samengewerkt en afgestemd over taken en verantwoordelijkheden.

Met het door de VSOP opgerichte Erfocentrum heeft de VSOP een samenwerkingsovereenkomst. Publieksinformatie en publieksvoorlichting zijn daarin benoemd als het domein van het Erfocentrum.

Samenwerking met het medisch-wetenschappelijk veld krijgt vorm via diverse medisch-wetenschappelijke verenigingen, waaronder het Nederlands Huisartsen Genootschap (NHG), de Vereniging Klinische Genetica Nederland (VKGN), de Nederlandse Vereniging voor Kindergeneeskunde (NVK) en hun koepels (Federatie Medisch Specialisten, FMS; Koninklijke Nederlandsche Maatschappij tot bevordering der Geneeskunst, KNMG; Federatie van Medisch Wetenschappelijke Verenigingen, FMWV).

Het Europese en internationale beleid bepaalt meer en meer de ontwikkelingen op het terrein van de zeldzame en genetische aandoeningen. De actieve participatie van de VSOP (o.a. via EURORDIS en EGAN) in Europese netwerken en internationale ontwikkelingen is ook voor Nederlandse patiënten van belang. EURORDIS richt zich op thema's die in het bijzonder van belang zijn voor zeldzame aandoeningen. EGAN richt zich op thema's die belangrijk zijn voor zowel zeldzame als niet-zeldzame aandoeningen, zoals preconceptionezorg, klinisch onderzoek en voeding.

Zie [www.vsop.nl](http://www.vsop.nl) voor een actueel overzicht van lidmaatschappen, participaties in besturen, commissies enzovoorts.

## FINANCIËN

### INKOMSTEN

**Meerjarenfinanciering.** De VSOP ontvangt geen structurele instellings- of exploitatiesubsidies van overheid of fondsen; projectfinanciering is de belangrijkste inkomstenbron. Het ontbreken van meerjarenfinanciering voor de basisfuncties van de organisatie bemoeilijkt het adequaat functioneren als belangenbehartiger; het functioneren als vereniging; de dienstverlening aan de leden; de evaluatie, implementatie, follow-up en continuïteit van projectmatig ontwikkelde producten en diensten. Dit doet helaas geen recht aan de belangrijke positie die de VSOP inneemt in de Nederlandse samenleving en het frequente en grote beroep dat overheid en veldpartijen structureel doen op de VSOP.

De strategie voor de beleidsperiode op het terrein van inkomstenwerving omvat het verkrijgen van meerjarenfinanciering door fondsen gericht te benaderen voor zowel de exploitatiekosten, als de acht benoemde werkterreinen in dit beleidsplan en/of de daarbinnen uitgewerkte 40 ambities. De VSOP zal met name een beroep doen op de overheid om in aanmerking te komen voor financiering vanuit de nieuwe overheidsregeling voor financiering van patiëntenorganisaties per 2019.

**Ambitie 38.** De VSOP benadert overheid, fondsen, zorgverzekeraars en industrie om de ambities uit dit meerjaren-beleidsplan te gaan realiseren. De VSOP zal een beroep doen op financiering vanuit de nieuwe overheidsregeling per 2019.

**Contributies:** De inkomsten uit contributies worden voornamelijk aangewend voor de behartiging van gezamenlijke belangen. De contributieregeling voor 2017-2020 blijft uitgaan van een contributiebedrag van € 0,50 per individueel lid en/of vaste donateur van een lidorganisatie. Het maximum contributiebedrag voor organisaties met 2.500 of meer leden/donateurs bedraagt € 1.250,-. Het minimum contributiebedrag bedraagt € 25,- (voorheen € 50,-). Dit geldt voor organisaties met 50 of minder leden/donateurs, alsmede voor aangesloten groepen (lotgenoten, communities) zonder rechtspersoonlijkheid (en zonder stemrecht in de ledenvergadering).

**Donaties:** De VSOP kent vaste donateurs en begunstigers via de Vriendenloterij.

**Ambitie 39.** Het donateursbeleid wordt verder vormgegeven.

**Projecten:** Alle lidorganisaties moeten zich herkennen in de activiteiten van de VSOP als *hun* vereniging om zich betrokken te kunnen voelen. De VSOP is in de eerste plaats belangenbehartiger en geen projectorganisatie. Echter, gezien de huidige afhankelijkheid van projecten betekent dit dat projectacquisitie zich moet richten op een zo divers mogelijk pakket van projecten om alle ambities van dit beleidsplan te kunnen waarmaken. Dit betreft bij voorkeur samenwerkingsprojecten met zowel beleidsmatige en/of ziekte-overstijgende componenten, als aandoeningsspecifieke activiteiten ten behoeve van deelnemende patiëntenorganisaties. Daarvoor volgt de VSOP structureel de nationale en Europese subsidieprogramma's.

### MEERJARENBEGROTING

De meeste zeldzame aandoeningen kennen nog steeds grote achterstanden op het terrein van zorg en onderzoek. Dit vereist een VSOP-bureau dat daarvoor kwalitatief en kwantitatief adequaat is uitgerust.

**Ambitie 40.** De inkomsten van de VSOP bedragen tenminste anderhalf miljoen euro per jaar en de VSOP groeit verder om meer voor het totaal van de achterban te kunnen betekenen.

Onderstaande meerjarenbegroting met een indicatieve, informele status geeft een indruk van de te verwerven baten die nodig zijn om deze laatste ambitie te kunnen waarmaken. Dit vereist grote inspanningen. Het vorige beleidsplan (2013-2016) bevatte echter een vergelijkbare ambitie, namelijk een jaarlijkse omzet van tenminste één miljoen euro per jaar.

De VSOP kon die ambitie daadwerkelijk realiseren, zoals blijkt uit het diagram volgend op de meerjarenbegroting.

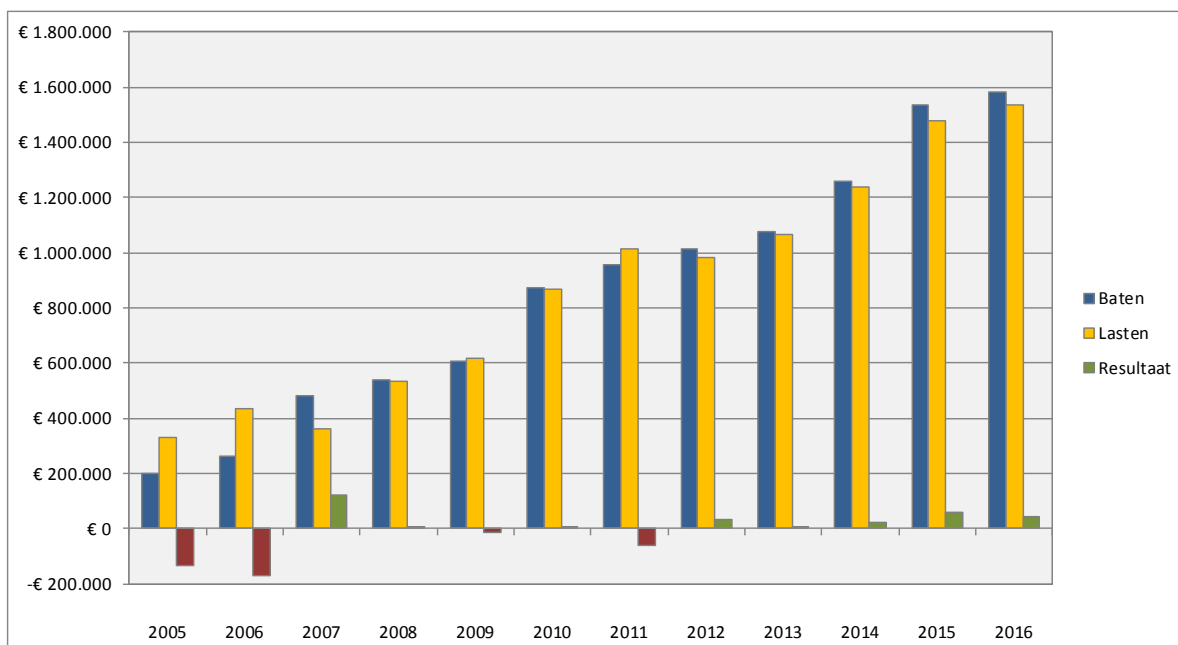
Toelichting bij de meerjarenbegroting:

- De vastgestelde begroting voor 2017 is gehandhaafd, waarbij het vanwege acquisitiekosten begrote tekort is ondergebracht bij de 'Te verwerven (project)baten'. Dit resulteert in k€ 200 te verwerven (project)baten.
- Medio 2017 bedroegen de nieuw gerealiseerde projectbaten ruim k€ 600. Daarmee is de begrote doelstelling ruimschoots behaald. Deze baten zijn verwerkt in de jaren 2018 - 2020.
- De omzet in 2018 is op 1,7 miljoen euro begroot in plaats van de geambieerde 1,5 miljoen euro aangezien de voorziene personeelsformatie in 2018, op grond van contractuele verplichtingen, minimaal 16,4 fte omvat.

### Meerjarenbegroting 2017 – 2020

bedragen x 1.000 euro	2017	2018	2019	2020
<b>Baten</b>				
Contributies en donaties	21	22	23	24
Toegekende Nederlandse projecten	1.119	1.100	175	0
Toegekende Europese projecten	163	154	114	5
Overige baten	35	pm	pm	pm
Te veroverwerven (project)baten	200	424	1.188	1.471
<b>Totaal baten</b>	<b>1.539</b>	<b>1.700</b>	<b>1.500</b>	<b>1.500</b>
<b>Lasten</b>				
Personeelskosten	1.186	1.300	1.200	1.200
Externe projectkosten	136	180	80	80
Acquisitiekosten	50	50	50	50
Huisvestingskosten	33	35	35	35
Kantoorkosten	65	65	65	65
Bestuurskosten	5	5	5	5
Algemene kosten	64	65	65	65
<b>Totaal lasten</b>	<b>1.539</b>	<b>1.700</b>	<b>1.500</b>	<b>1.500</b>
<b>Exploitatiesaldo</b>	<b>0</b>	<b>0</b>	<b>0</b>	<b>0</b>
<b>Onderverdeling lasten</b>				
<b>Regulier:</b>				
Personeelskosten basisformatie	580	592	603	615
Overige reguliere kosten	32	33	35	36
<b>Totaal regulier</b>	<b>612</b>	<b>625</b>	<b>638</b>	<b>651</b>
<b>Projecten:</b>				
Personeelskosten	606	708	597	585
Overige projectkosten	321	367	265	264
<b>Totaal projecten</b>	<b>927</b>	<b>1.075</b>	<b>862</b>	<b>849</b>

### Financieel resultaat 2005-2016



## SAMENVATTING AMBITIES

### 1 Belangenbehartiging en beleidsbeïnvloeding: hoofddoel

1. De VSOP bevordert dat patiënten in een zo vroeg mogelijk stadium betrokken worden bij ieder initiatief op het terrein van zorg, onderzoek en beleid dat de intentie heeft bij te dragen aan betere kwaliteit van zorg en leven.
2. De VSOP heeft impact in zorg en onderzoek door richting (inter)nationale beleidsmakers agendasettend te zijn en hen proactief en vroegtijdig te beïnvloeden.
3. De VSOP wil dat ook kleine patiëntenorganisaties, vrijwilligersorganisaties, adequaat zijn toegerust om hun belangen te (laten) behartigen. Clustering, toerusting en adequate financiering zijn daartoe voorwaarden.
4. De VSOP geeft de monitoring van knelpunten binnen de achterban een structureel karakter.
5. De VSOP investeert in effectieve lobby op politiek niveau, zowel in samenwerking met de leden als patiëntenkoepelorganisaties.
6. De VSOP investeert in de relatie met zorgverzekeraars, vooral met het oog op de vergoeding van de infrastructuur en activiteiten die nodig zijn om de rol van zorgverleners en patiëntenorganisaties in expertisenetwerken mogelijk te maken.

### 2 Awareness in samenleving en zorg: belangrijke voorwaarde

7. De VSOP laat de aandacht in de samenleving voor zeldzame aandoeningen significant toenemen.
8. De VSOP helpt medische doelgroepen in de eerste en tweedelijnsgezondheidszorg zeldzame aandoeningen eerder te signaleren door middel van deskundigheidsbevorderende activiteiten, bijdragend aan het tijdiger herkennen van symptomen, tijdiger verwijzing naar expertisecentra en een betere invulling van hun eigen rol in de behandeling. De VSOP gebruikt daarbij de ervaringskennis van patiënten(organisaties).
9. De communicatie van de VSOP richting veldpartijen en samenleving wordt versterkt en geprofessionaliseerd.

### 3 Zwangerschap en erfelijkheid: blijvende aandacht

10. De VSOP ziet het als haar verantwoordelijkheid (ook buiten Nederland) bij te dragen aan goede zwangerschapszorg (met name preconceptionele zorg), via (inter)nationale overheden en organisaties en netwerken op het terrein van zorg en onderzoek (ERN's) en voorlichting.
11. De VSOP blijft het belang van autonome geïnformeerde besluitvorming (in het bijzonder bij kindervens) benadrukken.

### 4 Tijdige en juiste diagnostiek: van onschatbare waarde

12. De VSOP blijft agenderen dat ook aandoeningen die buiten de beperkte definitie vallen van 'behandelbaar', opgenomen worden in de hielprik of een vergelijkbaar vroege screening.
13. De VSOP zet zich in voor een landelijke infrastructuur toereikende financiering om alle relevante familieleden van indexpatiënten te kunnen informeren over een mogelijk genetisch risico.
14. De VSOP zal zich inzetten voor betere, multidisciplinaire begeleiding van patiënten met een weinig bekende diagnose en een volwaardige positie / classificatie van deze patiënten in allerlei zorgsystemen.
15. De VSOP blijft zich inzetten voor partnerschap en medezeggenschap bij genetische data die met behulp van diagnostiek, screening of wetenschappelijk onderzoek verkregen zijn.

### 5 Kwaliteit van de zorg: het patiëntenperspectief onmisbaar

16. De VSOP stimuleert het 'samen beslissen' tussen zorgverlener en patiënt om de zorg beter af te stemmen op wat voor de kwaliteit van leven van de patiënt en zijn naasten belangrijk is.
17. De VSOP stimuleert het gebruik van adequate uitkomstenmaten om zo de daadwerkelijke waarde van de verleende zorg voor de patiënt en zijn naasten in beeld te kunnen brengen en daarmee de zorg te kunnen verbeteren.
18. De VSOP verbetert de kwaliteit van zorg door voor alle (clusters van) zeldzame aandoeningen vanuit het patiëntenperspectief professionele instrumentaria te ontwikkelen en/of patiëntenorganisaties daarbij te ondersteunen.
19. De VSOP is alert op 'gepast gebruik' van de zorg en stimuleert de rol van patiënten bij 'de-implementatie' van overbodige zorg en niet-effectieve interventies. Zo kunnen juist meer (kosten)effectieve interventies, ook voor kleine doelgroepen, worden toegelaten tot de verzekerde zorg.
20. De VSOP besteedt extra aandacht aan de kwaliteit van de medische zorg voor mensen met verstandelijke beperkingen en syndromen.

## **6 Organisatie van de zorg: samenwerken in netwerken**

21. De VSOP wil aandacht voor de 'witte vlekken' in het zorglandschap voor zeldzaam. Dat betreft zowel zeer zeldzame aandoeningen zonder een (Europees) expertisecentrum, als expertisecentra zonder patiëntenorganisatie en/of nationaal netwerk.
22. De VSOP zet zich in voor meer concentratie van zorg en onderzoek voor zeldzame aandoeningen op basis van aandoeningspecifieke kwaliteits- en volumecriteria. Het aantal expertisecentra moet in verhouding staan tot het aantal patiënten per regio.
23. De VSOP bevordert dat concentratie hand in hand gaat met meer digitale zorg en eHealth. Dat maakt de patiënt minder afhankelijk van het expertisecentrum en stelt hem in staat meer regie te nemen over zijn gezondheid.
24. De VSOP wil voor alle zeldzame aandoeningen nationale expertisenetwerken ontwikkelen en/of patiëntenorganisaties en expertisecentra daarbij ondersteunen.
25. De VSOP stimuleert de verbinding tussen Nederlandse expertisecentra, expertisenetwerken en ERN's. Clustering van zowel de Nederlandse patiëntenorganisaties als de expertisecentra op basis van de clustering binnen de 24 aangewezen ERN's zal worden verkend.
26. De VSOP zet zich in voor betere voorlichting over, en ondersteuning bij, grensoverschrijdende zorg.

## **7 Onderzoek en therapieontwikkeling: nog veel te doen**

27. De VSOP besteedt extra aandacht aan de vele aandoeningen waarvoor nog geen effectieve interventies bestaan en waarvoor goede (psychosociale) zorg en begeleiding van de patiënt en zijn naasten eerste vereisten zijn.
28. De VSOP bevordert de inbreng van het patiëntenperspectief in de beoordeling van onderzoeken door (ethische) commissies.
29. De VSOP zet zich actief in voor de realisatie en continuïteit van registries en biobanken voor zeldzame aandoeningen en voor meer samenwerking op dit terrein: zowel onderling als met patiëntenorganisaties.
30. De VSOP stimuleert en faciliteert het contact en de samenwerking tussen patiëntenorganisaties, onderzoekers en ontwikkelaars van medische producten met het oog op het verkennen van onderzoeksmogelijkheden en therapieontwikkeling.
31. De VSOP verkent de mogelijkheden voor het instellen van nieuwe bijzondere leerstoelen.

## **8 Medicijnbeleid: zowel innovatie als toegang bevorderen**

32. De VSOP adviseert en/of ondersteunt patiëntenorganisaties en expertisecentra bij onderzoek dat kan bijdragen aan 'gepast gebruik' en betere kosteneffectiviteit.
33. De VSOP spreekt biofarmaceutische bedrijven aan op hun maatschappelijke verantwoordelijkheid als het gaat om de prijs van medicijnen en therapieën in relatie tot hun effectiviteit.
34. De VSOP blijft zowel in nationaal als Europees verband actief meedenken over het oplossen van knelpunten in de totale keten van medicijnontwikkeling, die (tijdige) toegang tot medicijnen voor patiënten in de weg staan.

## **9 Organisatie**

35. Via de lidorganisaties wordt een lijst opgesteld van mensen die hun persoonlijke ervaring met een zeldzame en/of genetische aandoening willen inzetten voor media-uitingen, bijeenkomsten, deskundigheidsbevordering en beleidsbeïnvloeding via de VSOP.
36. In 2020 telt VSOP minimaal 100 lidorganisaties en aangesloten groepen.
37. De VSOP is ook van betekenis voor mensen met zeer zeldzame aandoeningen en patiënten met zeldzame aandoeningen die niet als rechtspersoon zijn georganiseerd.
38. De VSOP benadert overheid, fondsen, zorgverzekeraars en industrie om de ambities uit dit meerjarenbeleidsplan te gaan realiseren. De VSOP zal een beroep doen op financiering vanuit de nieuwe overheidsregeling per 2019.
39. Het donateursbeleid wordt verder vormgegeven.
40. De inkomsten van de VSOP bedragen tenminste anderhalf miljoen euro per jaar en de VSOP groeit verder om meer voor het totaal van de achterban te kunnen betekenen.



## LIDORGANISATIES

1. ADCA Vereniging Nederland (ADCA)
2. Belangengroep Multiple Endocriene Neoplasie (Belangengroep M.E.N.)
3. Belangenvereniging Beckwith-Wiedemann Syndroom (BWS)
4. Belangenvereniging van Kleine Mensen (BVKM)
5. Belangenvereniging Von Hippel Lindau (VHL)
6. Bijniervereniging NVACP
7. Chronische Polymorfe Licht Dermatose Vereniging (CPLD Vereniging)
8. Contactgroep Marfan Nederland (CMN)
9. Debra Nederland
10. DSD Nederland
11. Fabry Support & Informatie Groep Nederland (FSIGN)
12. Fibrodysplasia Ossificans Progressiva Stichting Nederland (FOP)
13. Fragiele X Vereniging Nederland
14. Galactosemie Vereniging Nederland (GVN)
15. Hereditaire Multiple Exostosen - Multiple Osteochondromen Vereniging Nederland (HME-MO Vereniging Nederland)
16. Interstitiële Cystitis Patiëntenvereniging (ICP)
17. Jeugdreuma Vereniging Nederland (JVN)
18. Landelijke Patiënten- en Oudervereniging voor Schedel en/of Aangezichtsandoeningen (Laposa)
19. Lymphangiomas & Gorham's Disease Alliance Nederland (LGD Alliance Nederland)
20. Lichen Planus Vereniging Nederland (LPVN)
21. Belangenvereniging Longfibrosepatiënten Nederland (Longfibrosepatiëntenvereniging)
22. MaculaVereniging
23. Mastocytosevereniging Nederland
24. Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting (NCFS)
25. Nederlandse Hypofyse Stichting (NHS)
26. Nederlandse Klinefelter Vereniging (NKV)
27. Nederlandse patiëntenvereniging voor Hereditaire Angio Oedeem en Quinckes Oedeem (HAE-QE)
28. Nederlandse Phenylketonurie Vereniging (PKU)
29. Nederlandse Rett Syndroom Vereniging (NRSV)
30. Nederlandse Vereniging voor Hemofilie-patiënten (NVHP)
31. Nederlandse Vereniging van Patienten met Sternocostoclaviculaire Hyperostosis (SCCH)
32. Nederlandse Vereniging voor Patiënten met Paragangliomen (NVPNG)
33. Neurofibromatose Vereniging Nederland (NFVN)
34. Nierpatiënten Vereniging Nederland (NVN)
35. Organisation for Sickle Cell Anemia Relief (OSCAR Nederland)
36. Parkinson Vereniging (PV)
37. Patiëntenvereniging Fibreuze Dysplasie (FD)
38. Patiëntenvereniging MED-SED
39. Platform Congenitale Hernia Diafragmatica (Platform CHD)
40. Stichting Primary Sclerosing Cholangitis Patients Europe (PSC Patients Europe)

41. SGA Patiëntenvereniging (SGA Platform)
42. Spierziekten Nederland
43. Stichting AA & PNH Contactgroep
44. Stichting Amyloidose Nederland
45. Stichting de Ontbrekende Schakel (DOS)
46. Stichting Diagnose Kanker (SDK)
47. Stichting Down Syndroom (SDS)
48. Stichting Lynch Polyposis
49. Stichting Marshall Smith Research Foundation (MSSRF)
50. Stichting MRK-vrouwen
51. Stichting NephcEurope
52. Stichting Nina Foundation
53. Stichting Noonan Syndroom
54. Stichting Patiëntenorganisatie Prader-Willi Syndroom Nederland (Stichting PWS)
55. Stichting PHA Nederland
56. Stichting Prader-Willi Fonds (PFW)
57. Stichting Primaire Cilaire Dyskinesia Belangengroep (PCD)
58. Stichting Rubinstein - Taybi Syndroom (RTS)
59. Stichting Tubereuze Sclerosis Nederland (STSN)
60. Stichting voor Afweerstoornissen (SAS)
61. Syringomyelie Patiënten Vereniging (SPV)
62. Vasculitis Stichting
63. Vereniging Anusatresie (VA)
64. Vereniging Ehlers Danlos Patiënten (VED)
65. Vereniging Oog in Oog
66. Vereniging Osteogenesis Imperfecta (VOI)
67. Vereniging ouderen en kinderen met een slokdarmafsluiting (VOKS)
68. Vereniging van Huntington (VvH)
69. Vereniging Volwassenen, Kinderen en Stofwisselingsziekten (VKS)
70. Vereniging voor Allergie Patiënten (VAP)
71. Vereniging voor mensen met het Van Lohuizen Syndroom (CMTC-OVM)
72. Vereniging voor patiënten met Erythropoëtische Protoporfyrinurie (EPP)
73. Vereniging Ziekte van Hirschsprung