

# Samenvatting visiedocument

## “Wees Coöperatief – De patiënt centraal”

Het visiedocument “Wees Coöperatief” biedt een visie voor het verbeteren van de toegang tot weesgeneesmiddelen voor mensen met zeldzame aandoeningen. De kern van deze visie? Wees coöperatief! Van patiëntenorganisaties tot farmaceutische bedrijven, zorgverzekeraars, academie en de overheid – iedereen moet samenwerken om echt verschil te maken. De patiënt krijgt hierin een centrale rol en een stem in het hele proces van geneesmiddelenontwikkeling, van klinisch onderzoek tot besluitvorming over vergoeding. Het document erkent de specifieke uitdagingen rondom weesgeneesmiddelen, zoals beperkt klinisch bewijs door kleine patiëntpopulaties en de hoge ontwikkelingskosten. Ons huidige zorgsysteem is hier simpelweg niet op ingericht. Patiënten moeten vaak lang wachten op toegang tot nieuwe behandelingen. We hebben daarom een flexibel en veerkrachtig systeem nodig dat ruimte biedt voor nieuwe, innovatieve benaderingen die inspelen op de unieke uitdagingen van weesgeneesmiddelen.

### Conclusie:

Het visiedocument “Wees Coöperatief” roept alle betrokkenen op om samen te werken, te innoveren en een positieve verandering te brengen voor patiënten met zeldzame aandoeningen. Door de patiënt écht centraal te stellen, kunnen we gezamenlijk de uitdagingen rondom weesgeneesmiddelen aanpakken en zorgen een patiëntgerichte toekomst.

### Benieuwd naar het hele verhaal?

Lees het volledige visiedocument via

[www.weesgeneesmiddelen.nl](http://www.weesgeneesmiddelen.nl)

### 1. Transparantie & Communicatie:

#### + Patiëntenpanel:

Richt een onafhankelijk, professioneel patiëntenpanel op waar patiënten actief meedenken en meebeslissen over klinisch onderzoek, het opzetten van studies en het beoordelen van effectiviteit van behandelingen.

#### + PROM's:

Gebruik generieke en ziektespecifieke Patient Reported Outcome Measures (PROM's) om beter inzicht te krijgen in de effectiviteit van behandelingen en de impact op de kwaliteit van leven van patiënten, en deze beter af te stemmen op hun behoeften.

#### + Ziekte-brede registers:

Zet brede registers op om klinische en patiëntgerapporteerde data te verzamelen en zicht te krijgen op het natuurlijke beloop van zeldzame aandoeningen en de effectiviteit van behandelingen.

#### + Capaciteitsvergroting:

Vergroot de capaciteit en professionaliteit van patiëntenorganisaties, zodat zij een grotere rol kunnen spelen in netwerken zoals de Europese Referentienetwerken (ERN's) en andere samenwerkingsverbanden.

### 2. Innovatie & Technologie:

#### + Experimenteeruimte:

Creëer ruimte voor pilots en experimenten in de praktijk, waarin nieuwe oplossingsrichtingen (maatschappelijk en bedrijfs-economisch) worden uitgewerkt en onderbouwd, gepubliceerd en, waar mogelijk, aanbevelingen worden ontwikkeld voor systeemvraagstukken. Creëer ook ruimte om te werken aan nieuwe businessmodellen voor het ontwikkelen van innovaties en financieringsmodellen om deze innovaties uiteindelijk bij de patiënt te brengen.

#### + Nieuwe technologieën:

Benut de mogelijkheden van nieuwe technologieën zoals Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP's) en technieken zoals CRISPR-Cas voor de ontwikkeling van gepersonaliseerde behandelingen. Er moet ruimte zijn om deze technologieën te integreren en testen.

#### + Repurposing:

Waarom het wiel opnieuw uitvinden? Bestaande medicijnen inzetten voor zeldzame aandoeningen biedt een snellere, kostenefficiëntere route voor toegang tot behandelingen.

### 3. Samenwerking, Stakeholders & Systeem:

#### + Stakeholder betrokkenheid:

Er is nauwere samenwerking nodig tussen alle stakeholders, van patiëntenorganisaties tot geneesmiddelenbedrijven, zorgverzekeraars, academie en de overheid.

#### + Publiek-private samenwerkingen:

Versterk publiek-private samenwerkingen en integreer academische kennis om innovatie te bevorderen en expertise van verschillende stakeholders te bundelen.

#### + Data-uitwisseling:

Betere uitwisseling van data tussen onderzoekers, patiëntenorganisaties en expertisecentra zorgt voor een beter georganiseerd informatielandschap.