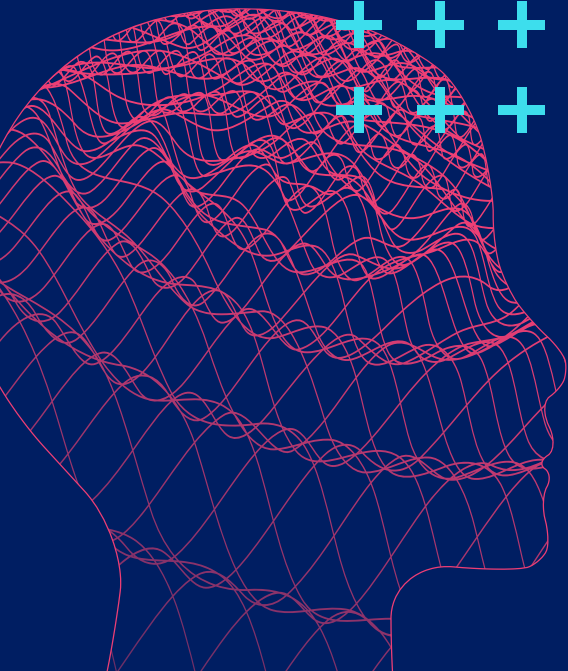
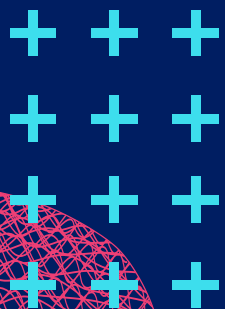


**wees** coöperatief

**naar een  
patiëntgerichte  
toekomst**



Een visie op samenwerking  
en innovatie voor zeldzame  
aandoeningen



# Doel van het visiedocument



Het A-Team “Wees Coöperatief” (WCo) heeft zich het afgelopen jaar gebogen over obstakels die de toegang tot weesgeneesmiddelen belemmeren. In een poging om deze belemmeringen aan te pakken, heeft het team input geleverd voor het opstellen van een gezamenlijke visie rondom het thema “versnellen en verbeteren van de toegang tot weesgeneesmiddelen”.

De kern van de visie is samenwerking tussen alle betrokken stakeholders, met de patiënt centraal. Samenwerking is essentieel voor de broodnodige snelle toegang en innovatie op dit gebied.

Dit visiedocument is bedoeld om deze boodschap te verspreiden en de betrokkenheid van stakeholders te vergroten. Deze visie is een uitnodiging tot actie voor iedereen die betrokken is bij weesgeneesmiddelen, om te innoveren, samen te werken en een positieve verandering voor patiënten te bewerkstelligen.

Gedurende het proces heeft het A-Team expertise ingeschakeld van specialisten op het gebied van patiëntvertegenwoordiging, geneesmiddelenbedrijven en zorgverzekering. Deze experts hebben bijeenkomsten van het A-Team bijgewoond om hun kennis te delen en hun mening te geven over de inhoud van het visiedocument.

**De gezamenlijke visie biedt een helder en gestructureerd kader voor betrokken stakeholders om samen te werken aan een toekomst waarin innovatieve behandelingen voor zeldzame aandoeningen sneller en efficiënter beschikbaar worden voor de patiënten die ze het meest nodig hebben.**

## Samenstelling A-team

- + Willeke van Roon-Mom
- + Hanka Dekker
- + Piet van der Wal
- + Saco de Visser
- + Peter Bertens

Met ondersteuning van Edwin Hecker en  
Noëlle Valkenburg van Schuttelaar & Partners

**wees coöperatief**

# Leeswijzer



## Hoofdstuk 1 Naar een patiëntgerichte toekomst

Biedt een introductie tot het onderwerp en bespreekt het uitgangspunt van het A-team, waarbij de context en relevantie van weesgeneesmiddelen wordt uitgelegd.

## Hoofdstuk 2 Weesgeneesmiddelen, repurposing en innovatieve therapieën

Gaat dieper in op de unieke eigenschappen van weesgeneesmiddelen en legt uit waarom deze een uitdaging vormen binnen het huidige zorgsysteem. De complexiteit en onzekerheden rond deze behandelingen worden besproken, evenals de barrières die hun toegankelijkheid bemoeilijken.

## Hoofdstuk 3 Transparantie & Communicatie

Gaat in op het thema transparantie en communicatie, essentiële elementen voor effectieve samenwerking tussen verschillende stakeholders. De rol van duidelijke en open communicatie in het verbeteren van samenwerking wordt belicht.

## Hoofdstuk 4 Innovatie & Technologie

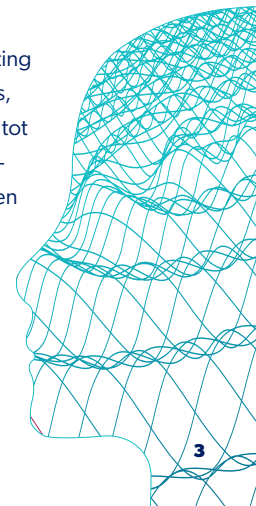
Gaat in op het thema innovatie en technologie, met speciale aandacht voor het creëren van experimenteer ruimte. De mogelijkheden die nieuwe technologieën bieden voor de ontwikkeling en beschikbaarheid van weesgeneesmiddelen worden hier uitgelicht.

## Hoofdstuk 5 Samenwerking, Stakeholders en Systeem

Zet de samenwerking tussen stakeholders centraal. Er wordt besproken hoe een nieuwe vorm van samenwerking noodzakelijk is om de toegang tot weesgeneesmiddelen te verbeteren, waarbij de gezondheid van de patiënt altijd voorop staat.

## Hoofdstuk 6 Conclusie

Biedt een beknopte samenvatting van de belangrijkste conclusies, gevolgd door een uitnodiging tot samenwerking. Er wordt opgeroepen om gezamenlijk stappen te zetten om de uitdagingen rondom weesgeneesmiddelen aan te pakken.



# Inhoud

|           |                                                                  |           |
|-----------|------------------------------------------------------------------|-----------|
| <b>01</b> | <b>Naar een patiëntgerichte toekomst</b>                         | <b>6</b>  |
| <b>02</b> | <b>Weesgeneesmiddelen, repurposing en innovatieve therapieën</b> | <b>10</b> |
| <b>03</b> | <b>Transparantie &amp; Communicatie</b>                          | <b>14</b> |
| <b>04</b> | <b>Innovatie &amp; Technologie</b>                               | <b>20</b> |
| <b>05</b> | <b>Samenwerking, Stakeholders en Systeem</b>                     | <b>22</b> |
| <b>06</b> | <b>Conclusie</b>                                                 | <b>30</b> |



# Naar een patiëntgerichte toekomst

## Een visie op samenwerking en innovatie voor zeldzame aandoeningen

De toekomst ziet er veelbelovend uit: door de toenemende wetenschappelijke kennis en de opkomst van nieuwe technologieën, zoals Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP's), kunnen we de komende jaren veel nieuwe behandelingen voor zeldzame aandoeningen verwachten. Deze ontwikkelingen kunnen de levens van duizenden patiënten ingrijpend veranderen, en soms mogelijk zelfs genezing brengen. Tegelijkertijd lopen we in Nederland tegen de grenzen van de mogelijkheden in de zorg aan. Door de toenemende vergrijzing en de komst van nieuwe behandelmogelijkheden stijgen de vraag naar en de uitgaves aan zorg, maar het gezondheidsbudget is beperkt. Dit levert spanningen op en kan de toegang tot nieuwe behandelingen voor patiënten vertragen en zelfs blokkeren. Bovendien lopen veel discussies spaak op financiële

dilemma's over de beperkte budgetten tegenover de noodzaak van bedrijven om winst te maken. In dit spanningsveld wordt vaak vergeten dat al deze partijen een gezamenlijk doel hebben: het verbeteren van de gezondheid van patiënten.

Bij zeldzame aandoeningen en kleine patiëntengroepen is vaak beperkt klinisch bewijs beschikbaar over de effectiviteit van een geneesmiddel en bestaat er veel N=1 data, wat een aanzienlijke uitdaging vormt bij het besluiten over vergoeding. De huidige systemen en structuren zijn er meestal niet op ingericht om hier goed mee om te gaan. Het gevolg is dat de betrokken patiëntengroepen achterblijven in de toegang tot innovatieve behandelingen, terwijl zij juist veel te winnen hebben bij medische vooruitgang.



Tegelijkertijd beweegt de medicijnontwikkeling zich steeds meer in de richting van therapieën voor kleinere patiëntpopulaties en zelfs individuen, met nieuwe uitdagingen als gevolg. Het is belangrijk dat we alternatieve routes verkennen die innovatie verwelkomen, en tegelijkertijd de waarde, kosten en medische noodzaak ervan bewaken. Het delen van kennis en het genereren van nieuwe beoordelingsprocedures op basis van een gezamenlijk doel zijn cruciaal bij deze vooruitgang.

### De patiënt centraal

De roep om de gezondheid van patiënten centraal te stellen in de ontwikkeling van geneesmiddelen voor zeldzame aandoeningen is sterk. Waarbij de patiënt niet alleen als subject, maar ook als medebeleidsmaker, denker en onderhandelaar

wordt gezien. Echter, de praktische uitvoering is nog niet zo eenvoudig. De realiteit is een gefragmenteerde samenwerking tussen stakeholders. Samenwerking tussen stakeholders moet hechter en gestroomlijnder, waarbij we onze expertise bundelen in een klimaat van vertrouwen en transparantie met een gezamenlijk doel. Alleen zo kunnen we het potentieel van onze gezamenlijke inspanningen volledig benutten.

Sinds begin van deze eeuw stimuleert de Europese Unie de ontwikkeling van nieuwe weesgeneesmiddelen. Ontwikkelaars kunnen voor een nieuw weesgeneesmiddel een zogeheten weesgeneesmiddelenstatus krijgen. Dit levert voordelen op tijdens de ontwikkeling van het nieuwe weesgeneesmiddel en vergemakkelijkt het terugverdienen van de ontwikkelkosten

door een tienjarige marktexclusiviteit. Gedurende deze tijd kunnen andere partijen geen generieke variant of biosimilar van het weesgeneesmiddel op de markt brengen. Deze blokkade geldt niet voor weesgeneesmiddelen die beter zijn dan het oorspronkelijke middel. Deze regeling is een succes: sinds het ontstaan van de stimuleringsmaatregel zijn er ongeveer 250 nieuwe weesgeneesmiddelen op de markt gekomen. Dit succes leidt wel tot zorgen over de betaalbaarheid van deze innovaties.

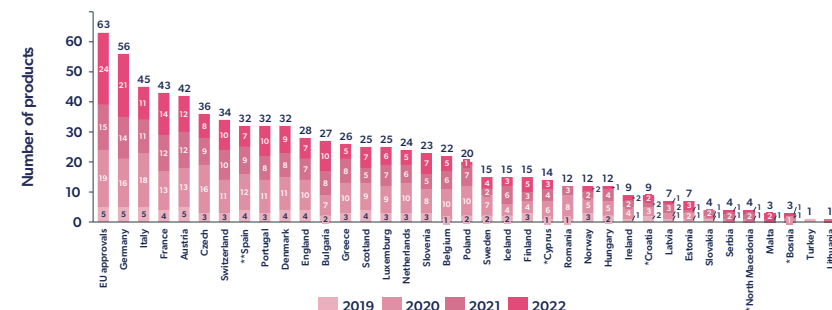
We zijn ons bewust van de kloof tussen de marktautorisatie en de daadwerkelijke toegang tot geneesmiddelen voor zeldzame aandoeningen voor patiënten in Nederland (figuur 1). De complexiteit hiervan wordt versterkt door de optelsom van uitdagingen rondom nieuwe technologieën, behandelingsbehoeften en de groeiende kosten. Deze optelsom benadrukt de urgentie van een veerkrachtige samenwerking tussen partijen die niet alleen vandaag, maar ook in de toekomst standhoudt.



FIG. 1

### Orphan availability by approval year (2019-2022)

The total availability by approval year is the number of medicines available to patients in European countries as of 5th January 2024 (for most countries this is the point at which the product gains access to the reimbursement list<sup>†</sup>), split by the year the product received marketing authorisation in Europe.



European Union average: 22 products available (35%) <sup>†</sup>In most countries availability equates to granting of access to the reimbursement list, except in DK, FI, LU, NO, SE where some hospital products are not covered by the general reimbursement scheme. \*Countries with asterisks did not complete a full dataset and therefore availability may be unrepresentative. \*\*In Spain, the WAIT analysis does not identify those medicinal products being accessible earlier in conformity with Spain's Royal Decree 1015/2009 relating to Medicines in Special Situations

Bron: EFPIA patient wait indicator (2024)

### Een visie op de toekomst

De komende vijf jaar streven we naar een aanpak die de gezondheid van patiënten niet alleen in theorie centraal stelt, maar deze ook verankert in de praktijk. In dit visiedocument verkennen we waar kansen en knelpunten liggen om dit te realiseren in het veld van geneesmiddelen voor zeldzame aandoeningen, beginnend met de huidige stand van zaken rondom weesgeneesmiddelen en barrières die verbetering in de weg staan. Vervolgens schetsen we mogelijkheden tot vooruitgang op de thema's transparantie, communicatie, innovatie en samenwerking. Nu er een motie is aangenomen om een nationaal plan voor zeldzame aandoeningen

in Nederland te ontwikkelen, wint dit onderwerp ook aan politiek belang. We hopen dat dit visiedocument kan dienen als inspiratiebron in dit proces.

Om de gezondheid van patiënten centraal te kunnen stellen, moeten we samenwerken. Deze visie doet dan ook concrete voorstellen voor acties per stakeholder en dient zo als een kompas richting ons gezamenlijk doel. De visie brengt ons samen in onze verantwoordelijkheden, helpt knelpunten te overbruggen en biedt een fundament om samen duurzame verbetering te kunnen realiseren.



# Weesgeneesmiddelen, repurposing en innovatieve therapieën:

## een korte introductie

Geneesmiddelontwikkeling is volop in ontwikkeling. Door nieuwe wetenschappelijke inzichten en technische mogelijkheden worden steeds meer geneesmiddelen ontwikkeld voor (zeer) kleine groepen patiënten. Deze middelen zijn voorloper van een nieuw tijdperk van 'precision medicine'. Dit wordt gekenmerkt door gepersonaliseerde behandelingen, vaak gebaseerd op een N=1 benadering, waarmee we richting een toekomst bewegen waarin maatwerk in de zorg de standaard is.

+ Weesgeneesmiddelen richten zich op de diagnose, preventie of behandeling van zeldzame, vaak levensbedreigende of chronisch invaliderende aandoeningen. Een aandoening is in Europa zeldzaam wanneer dit voorkomt bij 1 op de 2.000 inwoners, zoals vastgesteld door de Europese Commissie.

- + Repurposing van geneesmiddelen is het gebruik van een bestaand geneesmiddel voor andere indicaties dan de oorspronkelijke indicatie. Dit is een innovatieve en aantrekkelijke optie voor de ontwikkeling van geneesmiddelen voor zeldzame ziekten, omdat het een tijd- en kostenefficiënte methode biedt ten opzichte van het ontwikkelen van een geheel nieuw geneesmiddel.
- + Innovatieve therapieën, inclusief geavanceerde therapieën zoals ATMP's, omvatten een breder spectrum van behandelingen die potentieel baanbrekend zijn voor de patiëntenzorg in termen van overleving en/of verbeterde kwaliteit van leven.

Wereldwijd zijn er ongeveer 7.000 zeldzame aandoeningen bekend<sup>1</sup>. Een groot deel hiervan wordt veroorzaakt door afwijkingen in het (aangeboren) DNA van



patiënten. Deze aandoeningen worden al vaak op zeer jonge leeftijd zichtbaar, in de vorm van afwijkingen in bijvoorbeeld de spier- of zenuwontwikkeling of de stofwisseling. Daarnaast bestaan er ook veel zeldzame vormen van kanker. In Nederland wordt geschat dat één miljoen mensen leven met een zeldzame aandoening. Echter, het ontbreken van een landelijke, uniforme registratie en de uitdagingen in diagnostiek bemoeilijken het vaststellen van de exacte aantallen<sup>2</sup>. Tegelijkertijd zijn diagnosestelling en dataverzameling de basis voor het ontwikkelen van passende behandelmethoden die een eerste stap vormen naar een betere kwaliteit van leven

voor patiënten met zeldzame aandoeningen. De kleine omvang van patiëntenpopulaties bij zeldzame aandoeningen heeft verschillende gevolgen. Het beïnvloedt de verzameling van basale kennis over de ziekte, zoals de oorsprong en werkingsmechanismen ervan. Ook heeft het invloed op de ontwikkeling van geneesmiddelen, waarbij het vinden van voldoende patiënten in dezelfde klinische fase een uitdaging kan zijn. Bovendien brengt het een tekort aan data uit klinische studies met zich mee, wat resulteert in onzekerheden over ziekteverloop en behandeluitkomsten voor zowel patiënten als behandelaars. Dit zorgt voor spanningen bij de beoordeling van

<sup>1</sup> Erasmus MC. (2024, 29 februari). Zeldzameziektendag. Geraadpleegd van [erasmusmc.nl/nl-nl/sophia/patientenzorg/artikelen/zeldzameziektendag](https://erasmusmc.nl/nl-nl/sophia/patientenzorg/artikelen/zeldzameziektendag).

<sup>2</sup> ZonMw. (2017, 28 februari). Slotadvies afstemmingsoverleg zeldzame ziekten. Geraadpleegd van [vso.nl/media/uploads/file/slotadvies\\_afstemmingsoverleg\\_zeldzame\\_ziekten\\_28\\_februari\\_2017.pdf](https://vso.nl/media/uploads/file/slotadvies_afstemmingsoverleg_zeldzame_ziekten_28_februari_2017.pdf).

nieuwe geneesmiddelen in Nederland, waar procedures en toelatingscriteria voor geneesmiddelen voor grote en kleine groepen patiënten hetzelfde is. De bestaande beoordelingsprocedures en toelatingscriteria zijn gebaseerd op dataverzameling in grotere patiëntenpopulaties – een maatstaf die voor zeldzame ziekten dus veelal niet haalbaar is. Veel patiënten hebben mede daardoor nog onvoldoende toegang tot noodzakelijke behandelingen, wat het belang onderstreept van onze gezamenlijke toewijding aan weesgeneesmiddelenontwikkeling en gepersonaliseerde zorg.

De markttoelating van geneesmiddelen is aan strenge veiligheids- en effectiviteitsnormen gebonden. Echter, na toelating komen geneesmiddelen niet automatisch beschikbaar voor Nederlandse patiënten. Dit komt doordat het beoordelen van zowel de meerwaarde van geneesmiddelen ten opzichte van bestaande zorg, de lange termijn effecten als de kosteneffectiviteit, een complex proces is. Vooral bij zeldzame aandoeningen blijft er vaak onzekerheid bestaan over deze aspecten. Het slechts beperkt beschikbare bewijsmateriaal (vanwege de kleine patiëntenpopulaties) maakt het moeilijk om deze geneesmiddelen volgens de bestaande procedures te beoordelen en toe te laten tot het verzekerde pakket. Dit leidt vaak, in combinatie

met de vaak hoge prijs, tot veel vertraging bij het opnemen van nieuwe weesgeneesmiddelen in het verzekerde pakket.

Over prijzen van weesgeneesmiddelen is veel te zeggen. Sommige worden tegen zeer hoge prijzen op de markt gebracht, terwijl andere opvallend laag geprijsd zijn. De ontwikkeling van innovatieve weesgeneesmiddelen (en ATMP's) kost honderden miljoenen euro's. Redenen hiervoor zijn het langdurige ontwikkelproces, waarbij veel experimentele middelen tussentijds afvallen en de grote behoefte aan kapitaal (waarbij investeerders hoge rendementen eisen). Deze hoge ontwikkelkosten moeten vervolgens worden afgewenteld op de kleine patiëntpopulaties. Ook worden veel innovatieve weesgeneesmiddelen ontwikkeld met nieuwe technologieën die zich vaak nog niet breed bewezen hebben (denk aan de ATMP's). Hierdoor zijn ook de basiskosten van technologieontwikkeling hoog. Aan de andere kant van het spectrum vinden we (te) laaggeprijsde weesgeneesmiddelen, wat soms bijvoorbeeld het geval is bij repurposing van geneesmiddelen. In die gevallen is er niet altijd een economisch gezonde business case (lage vergoedingsprijs en weinig gebruikers) om repurposing als een serieuze optie te overwegen in het ontwikkeltraject.

Kortom: het huidige systeem is onvoldoende ingericht op kleine patiëntenpopulaties, vooral met betrekking tot de beperkte mogelijkheden om klinisch bewijs te verzamelen. Er is een adaptieve omgeving nodig die ruimte biedt voor experimenten en pilots, om alternatieve wegen te verkennen om therapieën beschikbaar te maken voor patiënten. Dit vereist een

gezamenlijke, constructieve inspanning van alle stakeholders in het systeem: we moeten samenwerkend bepalen welk bewijs acceptabel is voor kleine patiëntengroepen. Het is essentieel dat patiëntenorganisaties actief betrokken worden bij dit proces, zodat hun ervaringen en behoeften centraal staan bij de ontwikkeling en beoordeling van nieuwe behandelstrategieën.



# Transparantie & Communicatie



Richt een professioneel patiëntenpanel op

Professionaliseer patiëntenorganisaties

Zet ziekte-brede registers op

Ondersteun en betrek ziekenhuizen als expertisecentra

Stel gezamenlijk start-/stopcriteria voor behandelingen vast

Weeg brede sociale en economische uitkomsten mee

Verduidelijk de componenten van prijsvorming

## De stem van de patiënt

We streven naar een toekomst waarin patiëntgerichte zorg ook voor zeldzame aandoeningen normaal is. Hiervoor is het essentieel dat ook patiënten die een zeldzame aandoening hebben, een actieve stem hebben in het gehele zorgproces. Mensen met een zeldzame aandoening moeten een gelijkwaardige gesprekspartner zijn in gesprekken over het verbeteren van de diagnostiek, de mogelijkheden van behandelingen, uitkomsten, trial designs, onderzoeksprojecten en behandelingseffectiviteit voor hun ziekten. Het voeren van een open dialoog met patiënten over wat zij waardevol vinden, en het bundelen van kennis en ervaringen vanuit de praktijk, zijn noodzakelijke acties om patiënt-relevante resultaten te kunnen meten. Daarnaast kunnen patiëntvertegenwoordigers een zinvolle bijdrage leveren door te helpen bij het stellen van prioriteiten, het identificeren van relevante onderzoeksonderwerpen, het formuleren van onderzoeksvragen, het beoordelen van onderzoeksdesigns of het doen van suggesties voor het werven van deelnemers.

We stellen voor om een **onafhankelijk, professioneel patiëntenpanel op te richten**. Dit panel kan bestaan uit patiënt-vertegenwoordigers met diverse zeldzame aandoeningen, inclusief die aandoeningen waarvoor geen patiëntenorganisatie bestaat. Een bijzondere belangstelling voor het ontwikkelen van weesgeneesmiddelen en klinisch onderzoek naar zeldzame aandoeningen en een ziekte overstijgende interesse zijn een voorwaarde voor deelname. De Patiëntenfederatie kan de oprichting van een dergelijk patiëntenpanel ondersteunen. Er zijn al diverse initiatieven van verschillende stakeholders maar het doel van dit nieuwe panel is om patiëntenparticipatie structureel en professioneel te integreren in klinisch onderzoek en geneesmiddelontwikkeling over de gehele breedte van het onderzoek naar verweesde ziekten. Het consulteren en betrekken van dit patiëntenpanel door stakeholders is een krachtig signaal dat het menens is qua patiëntbetrokkenheid. Praktisch kan wellicht gebruik gemaakt worden van de CCMO benchmark voor klinisch onderzoek, die een overzicht biedt van de studies die in Nederland gedaan worden en hoe deze zich verhouden tot andere landen in Europa. De betrokkenheid van een patiëntenpanel zou een aanbeveling kunnen zijn in de benchmark. Maar inbreng van het panel in investigator-initiated trials of repurposing dossiers is evenzeer zinvol. Het kan ook waardevol zijn om alumni vanuit het EUPATI traject een rol in het patiëntenpanel te geven vanwege hun ervaring en expertise. De mensen in het panel zouden een financiële compensatie voor hun inbreng moeten krijgen, om een zo breed spectrum aan patiëntenbelangen te

kunnen vertegenwoordigen. Het panel zou zich voornamelijk op Nederland moeten richten, maar ook de ontwikkelingen op Europees (en globaal) niveau moeten volgen en waar nodig daar aansluiting bij moeten zoeken.

Patiënten(organisaties) moeten het **effect van een therapie of behandeling beter in kaart brengen** door middel van generieke en ziekte-specifieke PROM's (Patient Reported Outcome Measures). Patiënten krijgen hiervoor vragenlijsten voorgelegd om hun gezondheid en kwaliteit van leven te meten. Deze vragenlijsten kunnen voor, tijdens en na een behandeling ingezet worden, en ook bij kinderen. Het is de bedoeling dat PROM's de uitkomsten van een behandeling meten die patiënten zelf belangrijk vinden. De uitkomsten zijn bruikbaar voor het gesprek met individuele patiënten, het kiezen van een ziekenhuis of behandelaar, het samen beslissen, en voor kwaliteitsverbetering.

Zorginstituut Nederland (ZINL) bereidt zich voor op aankomende Europese wetgeving voor het evalueren van gezondheidstechnologie, die vanaf 2025 ingaat. Vanaf 2028 zal deze wet ook gelden voor weesgeneesmiddelen. Deze evaluaties, bekend als Health Technology Assessment (HTA/EU HTAR), moeten leiden tot een efficiënter proces, zodat de juiste geneesmiddelen sneller bij de juiste patiënt terechtkomen. De VSOP en Patiëntenfederatie Nederland zijn betrokken bij de voorbereiding op deze wetgeving. Het is echter nog onduidelijk hoe belangenbehartiging wordt ingevuld en hoe de patiënteninbreng gecoördineerd zal worden door ZINL.





## Professionaliseer patiëntenorganisaties

Er is behoefte aan professionalisering en aan het vergroten van de capaciteit van patiëntenorganisaties en patiëntvertegenwoordigers om een rol te spelen binnen de ERN's en van elkaar te leren. Hiervoor kan het samenbrengen van EUPATI EU en NL in bijvoorbeeld een adviesorganisatie een goede stap zijn, evenals het actief betrekken van de EUPATI-alumni groepen en de Europese koepelorganisatie voor specifieke aandoeningen. Deze adviesorganisatie kan dienen als kapstok voor de Europese Referentienetwerken (ERN's), die bestaan uit expertisecentra voor zeldzame aandoeningen in de EU. Medische experts, onderzoekers en European Patient Advocacy Groups (ePAG) binnen deze netwerken hebben uitgebreide kennis over zeldzame ziekten of behandelingen. Een ePAG brengt het patiëntenperspectief in bij het ERN.

De adviesorganisatie kan patiëntenorganisaties laagdrempelig begeleiden in het traject dat zij doorlopen. De experts binnen deze organisatie bieden ondersteuning bij het opzetten van een patiëntenorganisatie, hoe

je opkomt voor je achterban, juridische kwesties, sluistrajecten, samenwerkingen, het vinden van locaties van expertisecentra en inzicht in behandelingen in de pijlpijn. De adviesorganisatie zal onafhankelijk functioneren van patiëntenorganisaties en beschikken over expertise op verschillende vlakken, zoals juridisch, financieel of procesmatig.

Sommige patiëntenorganisaties zijn heel klein. Die kunnen bijvoorbeeld ondersteuning krijgen om te fuseren en zo hun middelen te bundelen. INVOLV (voorheen: PGO support) of de VSOP zou een dergelijke adviesorganisatie kunnen huisvesten. Het Ministerie van VWS zou als eerste verantwoordelijk moeten zijn voor de financiering. Verzekeraars kunnen ook een rol spelen in het scheppen van duidelijkheid voor patiënten over het traject van geneesmiddelen, zodat patiëntenorganisaties weten in welke fase een geneesmiddel zich bevindt en wat dit betekent voor de beschikbaarheid. VSOP, INVOLV, RARENL en FAST dienen goed af te spreken wie welke rol op zich neemt.

## Kennisdeling en dataverzameling

In situaties met beperkt bewijs en een kleine patiëntenpopulatie is het van belang om duidelijkheid en inzicht te hebben in risico's en behandeluitkomsten. Dit vereist niet alleen het verzamelen van data, maar ook het vindbaar maken van deze data. Kennisdeling en dataverzameling zijn cruciaal, en we moeten deze verrijken met inzichten in ziekteverloop en uitkomsten die echt belangrijk zijn voor patiënten. Voor sommige aandoeningen bestaan geen registraties. En voor andere aandoeningen zijn er juist meerdere registraties die elkaar overlappen. Om deze reden is het bevorderen van data-uitwisseling tussen onderzoekers en het opzetten van **ziekte-brede registers** cruciaal. Momenteel bevatten registers vaak data van bedrijven, die doorgaans gericht zijn op een specifiek geneesmiddel in plaats van op de ziekte zelf. Het is van belang om hier ook Quality of Life data van patiëntenorganisaties en ERN's aan toe te voegen. Ziekte-brede registers moeten uiteindelijk leiden tot een goed georganiseerd informatielandschap. Nederland heeft al een stevige basis voor dergelijke gegevensstructuren en financiering, die onmisbaar zijn voor het volgen van het natuurlijke beloop van zeldzame aandoeningen. Er wordt de voorkeur gegeven aan onafhankelijke gegevensverzameling, (voornamelijk) gefinancierd door de overheid. Dit is van belang om de integriteit en de toegankelijkheid van de gegevens te waarborgen en goed aan te sluiten op internationale eisen, wat de kwaliteit en bruikbaarheid van de informatie verhoogt.

Momenteel is de ORPHA-viewer in ontwikkeling om beter inzicht te krijgen in de 1,2 miljoen patiënten met een zeldzame aandoening in Nederland. Met behulp van de Diagnosethesaurus leggen artsen de specifieke informatie nauwkeurig en zonder extra registratielast vast in het EPD. De data worden vervolgens bij DHD aangeleverd via de Landelijke Basisregistratie Ziekenhuiszorg (LBZ).

Een vertraagde diagnose is een veelvoorkomend probleem bij zeldzame aandoeningen. Daarom zijn monitoring en duidelijke verwijspaden of diagnostische criteria belangrijk. Dit bevordert een lerend zorgsysteem en helpt bepalen wanneer een patiënt bijvoorbeeld naar hematoloog gestuurd moet worden. Het **versterken van de rol en verbeteren van de zichtbaarheid van ziekenhuizen als expertisecentra** op het gebied van zeldzame ziekten is daarom essentieel. Dit gaat niet alleen over het identificeren waar expertise zich bevindt, maar ook over het faciliteren van kennisdeling en samenwerking op nationaal en internationaal niveau. Dit kan bijvoorbeeld gefaciliteerd worden met behulp van een online expertise-platform voor artsen, dat toegang biedt tot expertise in nationale expertisecentra en ERN's. Verder kunnen goed gedefinieerde verwijspaden en -criteria bijdragen aan de zichtbaarheid en toegankelijkheid van deze expertise. Zo verbeteren we de toegang tot gespecialiseerde zorg en zorgen we ervoor dat patiënten met een zeldzame aandoening zoveel mogelijk optimale zorg ontvangen.



## Risicoverdeling

Het gezamenlijk door behandelaren en patiënten **vaststellen van start- en stopcriteria** voor de behandelingen, versterkt de positie van de patiënt en zorgt voor een breed gedragen besluit wanneer een behandeling te starten, hoe de effecten te meten en wanneer eventueel de behandeling te stoppen. Zodoende kan een behandeling gestaakt worden indien deze niet (meer) bijdraagt aan gezondheid.

Een weesgeneesmiddelen arrangement, een set afspraken met de beroepsgroep, kan hierbij helpen door de (door)ontwikkeling van start- en stopcriteria. Met duidelijke richtlijnen of lokale behandelprotocollen over wanneer behandelingen moeten beginnen of eindigen, zodat alleen die patiënten de behandeling krijgen bij wie deze effectief is. Ook helpen deze arrangementen bij dataverzameling, door het opzetten van of aansluiten bij een onafhankelijk (internationaal) register dat data verzamelt over het ziekteverloop en de effecten van de behandeling, waaronder kosteneffectiviteit.

Risico's met betrekking tot effectiviteit, lange termijn effecten en kosten kunnen beheersbaarder worden gemaakt via alternatieve vergoedingstrajecten zoals het Orphan Drug Access Protocol (ODAP). Bedrijven staan open om te kijken naar alternatieve vergoedingsmodellen. Die zijn meer in het gezondheidsbelang van de patiënt dan traditionele benaderingen zoals de sluisconstructie.



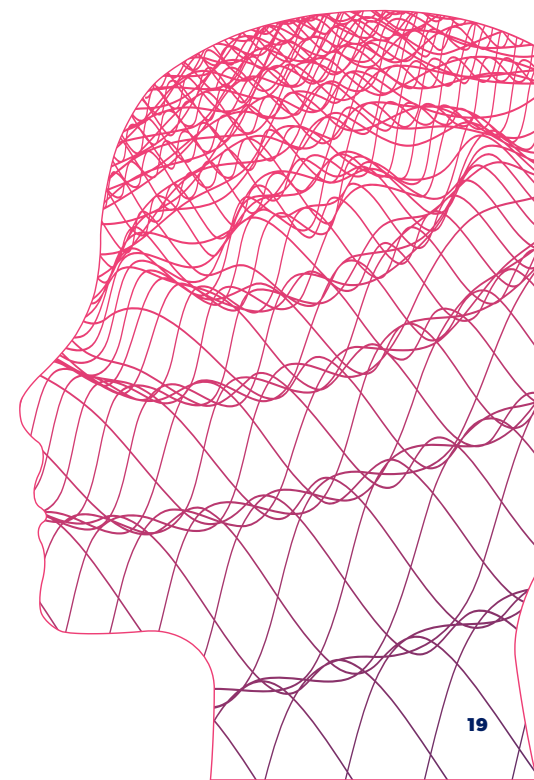
## Prijsvorming

De roep om transparantie over prijsvorming vanuit de maatschappij is duidelijk en speelt een grote rol in de discussie over dure geneesmiddelen. Het is belangrijk om de waarde van een therapie goed in kaart te brengen. Kosteneffectiviteit van behandelingen zou holistisch moeten worden benaderd, waarbij niet alleen gekeken wordt naar het aantal ziekenhuisopnames of het geneesmiddelengebruik, maar ook naar behoud van of terugkeer naar werk en de behoefte aan mantelzorg. Ook kwaliteit van leven, het effect op het gezin en maatschappelijke kosten moeten worden meegenomen. Het niet vergoeden van een nieuw middel betekent bovendien dat de kosten van de bestaande behandeling blijven doorlopen. Samenwerking tussen geneesmiddelcommissies, wetenschappelijke verenigingen en patiëntenorganisaties met FMS, PFN, NFK en VSOP biedt grote kansen. Hoe zeldzamer een aandoening is, hoe belangrijker het is om deze **bredere sociale en economische uitkomsten** mee te wegen in de evaluatie van behandelingen.

Met de patiënt als uitgangspunt, moeten we streven naar procedures die zowel innovatie aanmoedigen, als de toegankelijkheid en effectiviteit van behandelingen waarborgen. Daarbij kunnen bedrijven en academische centra bijdragen aan transparantie door de **componenten van hun prijsvorming te verduidelijken**. Prijzen aan de bovenkant van het weesgeneesmiddelen segment

worden vaak als te duur beschouwd, terwijl er aan de onderkant tekorten aan geneesmiddelen ontstaan door o.a. te lage prijzen. Deze tekorten hebben echter meer oorzaken dan alleen het preferentiebeleid.

Meer transparante en beter voorspelbare vergoedingsprocessen die geschikt zijn voor kleine patiëntpopulaties zijn noodzakelijk. Men wil weten in welke route men terecht komt en zich daarop kunnen voorbereiden. Inzicht is nodig in wie wat doet en wanneer, alsook inzicht in waarom er voor een bepaalde prijs of korting wordt gekozen. Een open dialoog over deze kwesties draagt bij aan maatschappelijk begrip voor de complexiteit van geneesmiddelenontwikkeling en de nuances van prijsstelling.



# Innovatie & Technologie

Creëer experimenteerruimte

Zoek nieuwe en passende incentives voor o.a. repurposing

Benut de potentie van kunstmatige intelligentie

## Experimenteerruimte voor technologische vooruitgang: een lerend zorgsysteem

In het tijdperk van digitale transformatie en een opkomende technologische golf in de gezondheidszorg kan Nederland een pioniersrol vervullen. Om dit te realiseren is een omgeving nodig die technologische vooruitgang niet alleen verwelkomt, maar juist actief stimuleert. De snelle ontwikkeling van nieuwe en oude geneesmiddelen voor zeldzame indicaties vereist nieuwe routes naar toegankelijkheid. Er is bijvoorbeeld een transitie richting meer N=1 data. Daarvoor moeten we **experimenteerruimte creëren**, binnen de kaders van het huidige systeem, hoewel dit soms consequenties

kan hebben voor de bestaande wetgeving. Goede voorbeelden van experimenteerruimte zijn ODAP en de Voorwaardelijke Toelating Weesgeneesmiddelen, met een focus op individuele behandeluitkomsten, verzameling van gegevens en dynamische prijzen. Een grotere adviserende en beleid makende rol van klinische experts is hierbij van belang (als alternatief voor bewijs uit klinische studies en populatie-statistiek), met duidelijke afspraken over vereiste uitkomsten. Ook moet er een feedback-loop vanuit patiënten in zitten om het vertrouwen te bevorderen en het real life verhaal mee te nemen.

Experimenteerruimte vraagt om duidelijkheid vanuit het Zorginstituut, zorgverzekeraars en regulatoire instanties over wat er minimaal nodig is om dit te faciliteren. Hoe kunnen we de juiste voorwaarden scheppen voor zowel overheid, als academische instellingen en bedrijven om elkaar te versterken in plaats van te beconcurreren? Het antwoord ligt in samenwerking die gebaseerd is op financiering, transparante procedures en een heldere afhandeling van opbrengsten, met als centrale prikkel het

welzijn van de patiënt. Belangrijk hierbij is het onderlinge vertrouwen tussen stakeholders dat de vastgestelde richtlijnen worden nageleefd. Ook zal de overheid hierin een stimulerende rol moeten hebben. Het gaat erom de innovatiegolf zo te organiseren dat de patiënt er daadwerkelijk op vooruitgaat, verder kijkend dan traditionele incentives.

Eén van de invullingen van de experimenteerruimte is het instellen van **nieuwe en passende incentives** voor initiatieven zoals repurposing van bestaande medicijnen en HTA-incentives. Dit is laaghangend fruit. Het is essentieel dat deze ruimte niet alleen dient om te experimenteren, maar ook om te leren en te verbeteren. Daarom moet de experimenteerruimte de mogelijkheid bieden om aanpassingen door te voeren voor toekomstige initiatieven, en bij succesvolle uitkomsten de mogelijkheden bieden om te kunnen doorgroeien naar gangbaar gebruik.

## De potentie van kunstmatige intelligentie

Ook de potentie van **kunstmatige intelligentie (AI)** moet benut worden. Bijvoorbeeld bij diagnostiek, waarbij AI kan helpen bij het gebruik van internationale databanken om nauwkeurigere voorspellingen te doen over bijvoorbeeld ziektefenotypen. Er is een noodzaak voor uitgebreide dataverzameling, en AI kan hierin een belangrijk rol spelen. Daarnaast kan kunstmatige intelligentie ook ingezet worden bij het identificeren van potentiële kandidaten voor nieuwe geneesmiddelen.

## Innovatieve behandelingen

Naast het creëren van experimenteerruimte en het potentieel benutten van kunstmatige intelligentie, is het ook van belang dat we ons aanpassen aan en openstaan voor nieuwe behandelingen. Zoals Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP's). Deze behandelingen, waaronder cel- en gentherapieën, bieden de potentie om chronische en tot nu toe ongeneeslijke (aangeboren) aandoeningen te genezen. Het tijdig inzetten van deze therapieën kan een aanzienlijk verschil maken in het leven van patiënten met aangeboren aandoeningen, door de onderliggende oorzaken van deze aandoeningen te behandelen. Daarnaast is de komst van technologieën zoals CRISPR-Cas een gamechanger die ons dichterbij het mogelijk uitroeien van bepaalde ziektes brengt. Uiteraard brengt het gebruik van dergelijke therapieën ook ethische vragen met zich mee. Daarom is het van belang dat er wordt geïnvesteerd in de opleiding en training van zorgprofessionals om hun kennis en vaardigheden rondom deze technologieën te vergroten. Zij moeten niet alleen de technische kennis hebben, maar ook in staat zijn om ethische implicaties te overwegen.



# Samenwerking, Stakeholders & Systeem

Betrek patiëntenorganisaties  
vroeg in onderzoeksproces

Checklist voor kwalitatieve  
patiëntbetrokkenheid

Stimuleer publiek-private  
samenwerkingen

Verminder administratieve lasten  
van beroepsorganisaties

Ondersteun (kleine) bedrijven  
en academische instellingen

Onderzoek het gebruik van een  
model van individuele vergoedingen

Samenwerking vormt een belangrijke pijler van dit visiedocument. Om een beweging te creëren naar goede toegang tot weesgeneesmiddelen, met de gezondheid van de patiënt als prioriteit, dienen relevante stakeholders met elkaar een nieuwe modus van samenwerking te vinden. Met kennis van elkaars standpunten kunnen betere besluiten worden genomen. In het huidige kader lukt dit onvoldoende. Daarom moeten we gezamenlijk nadenken over de waarde die we toekennen aan gezondheid in onze samenleving en over hoe we die waarde gezamenlijk kunnen realiseren. Iedere stakeholdergroep zou hierin gelijk vertegenwoordigd moeten zijn.

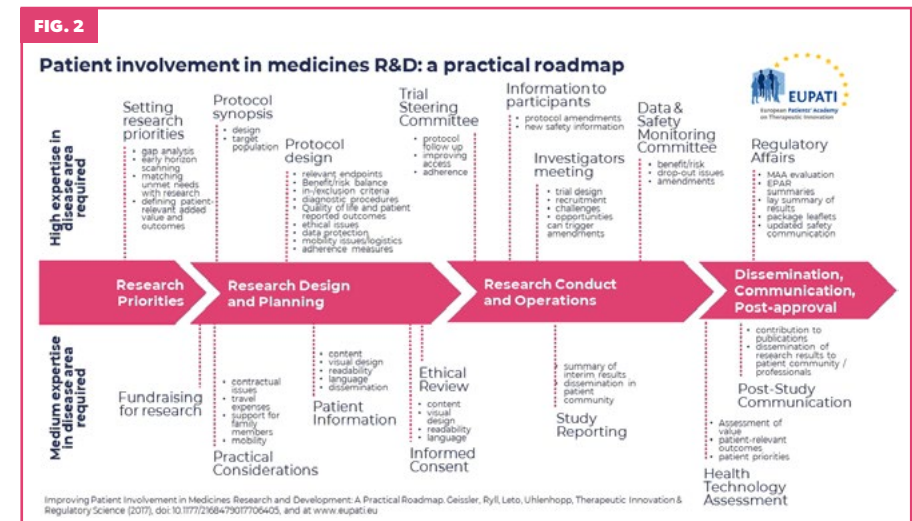


## De rol van patiëntenorganisaties

Stakeholders zoals patiëntenorganisaties, klinische experts, academici, bedrijven en financiers moeten actief betrokken zijn bij de ontwikkeling van en toegang tot weesgeneesmiddelen, maar ook bijdragen aan patiëntenparticipatie. Dit vraagt om een **vroeg en consistente betrokkenheid van patiëntenorganisaties** als gelijkwaardige gesprekspartner in het proces van onderzoek naar en ontwikkeling van geneesmiddelen, zoals te zien is in de EUPATI Patient Engagement Roadmap (figuur 2), inclusief de financiering ervan. Deze figuur biedt een overzicht van de momenten waarop patiënten betrokken kunnen worden. Naast kwantitatieve betrokkenheid, is het belangrijk dat patiëntenvertegenwoordigers ook kwalitatief betrokken worden. Er zou een checklist gemaakt kunnen worden voor hoe je patiënten op de juiste manier betreft zodat zij voldoende kwalitatieve input kunnen geven

tijdens het proces. Het is belangrijk dat de Patiëntenfederatie, VSOP en INVOLV duidelijke afspraken maken over de verdeling van rollen en verantwoordelijkheden.

De stakeholdergroepen zoals patiëntenorganisaties, klinische experts, academici, bedrijven en financiers moeten eveneens betrokken worden bij de invulling van nieuwe onderzoeks- en vergoedingsmodellen, zoals ODAP. Hun kennis en expertise over weesgeneesmiddelen is onmisbaar bij het behartigen van het belang van de patiënt. Daarnaast is het belangrijk om aan een aantal veelgebruikte begrippen, zoals 'kosten-effectiviteit' en 'kwaliteit van leven', samen met de patiënt heldere, eenduidige betekenissen te geven. Dit geldt ook voor termen als ziektebelasting, behandelbelasting en gebruiksgemak. Dat helpt bij het verbeteren van de communicatie en het begrip tussen betrokken partijen.

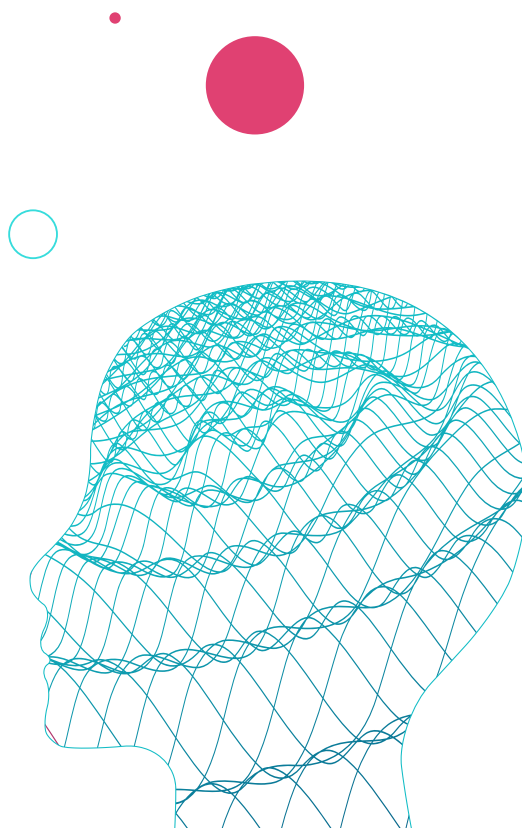


Bron: EUPATI Patient Engagement Roadmap

## De rol van de academie

De academie verdient een prominentere rol in het weesgeneesmiddelenlandschap, aangezien veel basaal wetenschappelijk onderzoek en vroege innovatie hier vandaan komt. De betrokkenheid van academisch medisch specialisten met relevante expertise is van onschatbare waarde bij het verzamelen en gebruiken van kennis over zeldzame ziekten, het mede-ontwikkelen van nieuwe behandelingen, en het verbeteren van toegang tot weesgeneesmiddelen voor patiënten. De positie van Nederlandse universiteiten en UMC's in internationaal onderzoek kan worden versterkt door versnipperde kennis te verbinden en bestaande samenwerkingsverbanden optimaal te benutten. Het recent opgerichte RARE-NL is een belangrijke eerste stap in deze richting en kan ook een voortrekkersrol spelen in het faciliteren van experimenteerruimte. Verder is het nodig om **publiek-private samenwerkingen**, zoals FAST, TKI Health Holland en voorstellen uit het Groeifonds zoals Oncode Accelerator, te stimuleren om onderzoek te doen naar (repurposed) weesgeneesmiddelen en te experimenteren met nieuwe bedrijfsmodellen. Voor beide zaken hebben zowel de publieke als de private sector elkaar hard nodig (Tabel 1). Bovendien komen we samen altijd verder dan alleen. We moeten bestaande samenwerkingen niet over het hoofd zien, maar deze juist meer zichtbaar maken en ondersteunen met publiek-private samenwerkingen (PPS). Daarnaast is het belangrijk om de European Reference Networks (ERN's) hierbij te betrekken.

Het verminderen van administratieve lasten voor beroepsorganisaties die betrokken zijn bij de toegang van weesgeneesmiddelen kan een positieve invloed hebben op zowel de efficiëntie van het huidige systeem als op de kwaliteit van zorg voor de patiënten. Er is simpelweg meer tijd om te focussen op de zorgvraag, fundamenteel en translationeel onderzoek. Verbeteringen zijn mogelijk door te investeren in extra ondersteunend personeel en een gespecialiseerde infrastructuur voor zeldzame aandoeningen, zoals een centrale faciliteit voor academisch onderzoek naar veiligheid en toxiciteit.



### FAST:

Het expertisecentrum FAST bevordert het sneller, slimmer, beter en goedkoper ontwikkelen, produceren en beschikbaar stellen van nieuwe therapieën voor patiënten.

### Together4RD:

Together for Rare Diseases, een groep met meerdere stakeholders die bestaat uit patiëntvertegenwoordigers, beleidsmakers, Europese referentienetwerken (ERN's) en het bedrijfsleven, wil een ecosysteem voor zeldzame ziekten in Europa bevorderen waarin samenwerking centraal staat.

### RARE-NL:

Een nationaal initiatief voor academisch gestuurde geneesmiddelenontwikkeling en repurposing voor zeldzame ziekten.

### Oncode Accelerator (Groeifonds):

Het internationaal Groeifonds investeert in totaal 325 miljoen euro in het plan van Oncode Accelerator om het preklinische ontwikkelproces van kankermedicijnen te versnellen.

### IRDiRC – Alpelisib:

Alpelisib is een voorbeeld van repurposing van geneesmiddelen dankzij een vroege en effectieve samenwerking tussen de academische wereld en bedrijven.

### TKI Health~Holland:

Het Topconsortium Kennis en Innovatie (TKI) bureau is het uitvoerende orgaan van de Topsector LSH en kan een samenwerkingsproject financieel ondersteunen door PPS-toeslag toe te kennen.

### RSNN:

Het Regulatory Science Network Netherlands is een netwerk van experts uit het bedrijfsleven, de academische wereld, overheidsinstanties en het bredere veld van de regelgeevingswetenschap. De missie is het bevorderen van een efficiënt en effectief regelgevend systeem dat de ontwikkeling van geneesmiddelen, markttoelating, toegang en gepast gebruik van geneesmiddelen ondersteunt.

Tabel 1: Voorbeelden van publiek-private samenwerkingen



## Bedrijven

Ook bedrijven hebben een belang bij het zo snel mogelijk beschikbaar komen van nieuwe geneesmiddelen. Niet alleen om geld te verdienen om nieuwe investeringen mogelijk te maken, maar ook om de nieuwe geneesmiddelen door te ontwikkelen met behulp van informatie uit de praktijk. De markttoelating van nieuwe geneesmiddelen vindt plaats op centraal Europees niveau, via een procedure bij het EMA. Daarna krijgen bedrijven te maken met nationale regels met betrekking tot de vergoeding van hun middelen. En deze zijn vaak voor elk land uniek, hetgeen te begrijpen is omdat de zorg in elk EU-land anders georganiseerd is. Maar een dergelijke gefragmenteerde structuur maakt het ook voor beoordelingsinstanties in de verschillende landen lastig bijvoorbeeld de kosteneffectiviteit van nieuwe weesgeneesmiddelen te beoordelen. Belangrijk daarbij is dat er vaak relatief weinig gegevens beschikbaar zijn of komen, wat te maken heeft met de zeldzaamheid van de aandoening en de kleine hoeveelheid patiënten.

Deze kleine patiëntgroepen kunnen, in combinatie met de forse ontwikkelkosten, tot hoge prijzen voor weesgeneesmiddelen leiden. En dat leidt tot veel discussie, over kosten van het onderzoek, winsten van bedrijven en de uiteindelijke kosten van de weesgeneesmiddelen. Daarbij worden vaak verschillende uitgangspunten gebruikt: sommigen nemen bijvoorbeeld de ontwikkelkosten van een succesvol geneesmiddel als uitgangspunt, anderen nemen de totale kosten van alle (gelukke

en mislukte) onderzoeksprojecten van een bedrijf (inclusief kapitaalkosten) mee in de discussie. Dit zorgt soms voor verwarrende discussies, waarbij partijen meer langs elkaar heen praten dan met elkaar. Meer duidelijkheid en transparantie over de opbouw van geneesmiddelprijzen kan deze discussie mogelijk verhelderen en daardoor bijdragen aan het verbeteren van het vertrouwen tussen partijen.

## De rol van de overheid

Ook is ondersteuning nodig voor (kleinere) bedrijven en academische instellingen bij het navigeren door het complexe systeem (onder andere het verkrijgen van medisch ethische toestemming, registratie, vergoeding, etc.) en bij het gebruikmaken van experimenteer-ruimte. De overheid heeft een ondersteunende rol in het faciliteren van experimenten, het ondersteunen in nieuwe routes, en bij het helpen van patiëntenorganisaties (inclusief het bieden van de benodigde financiële middelen) om hun rol te realiseren.

Het is essentieel om een regelgevend kader te onderhouden dat ruimte biedt voor innovatieve ontwikkelingen en experimenten. Dit vereist een overheid die dergelijke initiatieven actief faciliteert en stimuleert, inclusief een beloningsmechanisme dat innovatie met meerwaarde voor de patiënt belooft. Dat betekent soms een soepelere aanpak, soms strenger, maar altijd met het doel om innovaties te leveren die patiënten ten goede komen. Hierbij is het van belang dat verschillende ministeries (EZ, VWS, SZ en Financiën) met elkaar samenwerken.



## Integratie van medische expertise

In de complexe wereld van weesgeneesmiddelen is het essentieel om de deskundigheid van medisch specialisten in het ontwikkel- en beoordelingsproces te integreren, waarbij een evenwicht wordt gevonden tussen de acceptatie van onzekerheden en beperkt bewijs. Een model van individuele vergoedingen kan hierbij een rol spelen, zodat voor elke patiënt bekeken kan worden of zij toegang moeten of kunnen krijgen tot een weesgeneesmiddel, gebaseerd op hun unieke situatie en reactie op de behandeling (cf. ODAP en VT). In dit proces is een proactieve bijdrage van zorgverzekeraars onmisbaar om kosteneffectieve en werkzame behandelingen te bevorderen. Een verbeterde samenwerking tussen zorgverzekeraars, beroepsorganisaties en medische experts is hierbij noodzakelijk.

In voorgaande hoofdstukken hebben we verschillende mogelijkheden geschetst tot vooruitgang op de thema's transparantie, communicatie, innovatie en samenwerking om de gezondheid van patiënten centraal te kunnen stellen. Maar wat is hier precies voor nodig? Dit wordt samengevat in de tabel op de volgende bladzijde.

| Actie                                                                                    | Wat is hiervoor nodig?                                                                                                                                                                                                                              | Meest relevante stakeholders                                                                         |
|------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| Richt een professioneel patiëntenpanel op                                                | <ul style="list-style-type: none"> <li>Financiële compensatie voor panelleden</li> <li>Diversiteit in patiëntbelangen</li> </ul>                                                                                                                    | Patiëntenfederatie, VSOP, EUPATI-EU en NL-alumni                                                     |
| Professionaliseer patiëntenorganisaties                                                  | <ul style="list-style-type: none"> <li>Kartrekker</li> <li>Bijv. adviesorganisatie</li> </ul>                                                                                                                                                       | INVOLV en VSOP                                                                                       |
| Zet ziekte-brede registers op                                                            | <ul style="list-style-type: none"> <li>Financiële middelen</li> <li>Data-uitwisseling</li> <li>Samenwerking tussen zorgpartijen</li> </ul>                                                                                                          | Overheid, FMS, ZIN, Patiëntenfederatie, VSOP, behandelaren                                           |
| Ondersteun en betrek ziekenhuizen als expertisecentra (expertisenetwerken nationaal)     | <ul style="list-style-type: none"> <li>Online expertise-platform</li> <li>Kennisdeling</li> <li>Samenwerkingsafspraken</li> </ul>                                                                                                                   | FMS, NFU, Nationale zorgnetwerken, ERN's. Implementatie ERN's in MS. Eurordis. JARDIN project. FAST. |
| Stel gezamenlijk start-/stopcriteria voor behandelingen vast                             | <ul style="list-style-type: none"> <li>Open dialoog tussen behandelaren en patiënten.</li> </ul>                                                                                                                                                    | Behandelaar, patiënten, ZIN, verzekeraars, bedrijven                                                 |
| Weeg brede sociale en economische uitkomsten mee                                         | <ul style="list-style-type: none"> <li>Inclusieve meetmethoden</li> <li>Beleidsaanpassingen</li> </ul>                                                                                                                                              | Academie, zorgverzekeraars                                                                           |
| Verduidelijk de componenten van prijsvorming.                                            | <ul style="list-style-type: none"> <li>Open dialoog voor maatschappelijk begrip</li> <li>Maatschappelijk aanvaardbare prijzen</li> </ul>                                                                                                            | Bedrijven/fabrikanten, academie, VIG, ACM, Zorginstituut, NZA                                        |
| Creëer experimenteerruimte                                                               | <ul style="list-style-type: none"> <li>Flexibiliteit en durf</li> <li>Financiering</li> <li>Samenwerking</li> <li>Organiseer (een aantal) bijeenkomsten om elkaars werk en perspectief beter te begrijpen en samenwerking te bevorderen.</li> </ul> | Academie, bedrijven/fabrikanten, FAST, CBG, CCMO, ZIN, verzekeraars, VWS, IGJ                        |
| Zoek nieuwe en passende incentives voor o.a. repurposing                                 | <ul style="list-style-type: none"> <li>Financiële stimuli</li> <li>Aanpassingen in regelgeving</li> <li>Samenwerking</li> </ul>                                                                                                                     | Academie, bedrijven, VWS, expertisecentra, start-ups, Ildiko Vajda, PFN                              |
| Benut de potentie van kunstmatige intelligentie                                          | <ul style="list-style-type: none"> <li>Identificeer de mogelijkheden van AI</li> </ul>                                                                                                                                                              | Academie, bedrijven/fabrikanten, VWS, expertisecentrum, start-ups?                                   |
| Betrek patiëntenorganisaties vroeg in het onderzoeksproces                               | <ul style="list-style-type: none"> <li>Proactieve betrokkenheid van patiëntenorganisaties bij onderzoek agenda's en financiering</li> </ul>                                                                                                         | Patiëntenorganisaties, onderzoeksinstituten, financiers                                              |
| Checklist voor kwalitatieve patiëntbetrokkenheid                                         | <ul style="list-style-type: none"> <li>Standaardisatie</li> </ul>                                                                                                                                                                                   | Patiëntenorganisaties, onderzoekers, VIG-platform, NFK                                               |
| Stimuleer publiek-private samenwerkingen                                                 | <ul style="list-style-type: none"> <li>Verbind versnipperde kennis</li> <li>Organiseer (een aantal) bijeenkomsten om elkaars werk en perspectief beter te begrijpen en samenwerking te bevorderen.</li> </ul>                                       | Eerdergenoemde samenwerkingen, VWS, EZK, bedrijven, onderzoeksinstituten, patiënten, Together4RD     |
| Verminder administratieve lasten van beroepsorganisaties                                 | <ul style="list-style-type: none"> <li>Efficiënte processen</li> <li>Digitalisering</li> <li>Samenwerking</li> </ul>                                                                                                                                | Beroepsorganisaties, zorgverzekeraars, behandelaren, patiënten, bedrijven/fabrikanten                |
| Ondersteun (kleine) bedrijven en academische instellingen                                | <ul style="list-style-type: none"> <li>Toegang tot financiering</li> <li>Infrastructuur</li> <li>Expertise</li> </ul>                                                                                                                               | Overheid                                                                                             |
| Onderzoek het gebruik van een model van individuele vergoedingen voor precision medicine | <ul style="list-style-type: none"> <li>Pilotprogramma's</li> <li>Wetenschappelijk onderzoek</li> <li>Samenwerking met zorgverzekeraars</li> </ul>                                                                                                   | Zorgverzekeraars, bedrijven/fabrikanten, VWS                                                         |



# Conclusie

Het vooropstellen van de belangen van patiënten is een gezamenlijk doel dat ons allen drijft. De visie die we in dit document schetsen, is niet enkel een reflectie van ambities, maar vormt ook de basis voor toekomstige acties en constructieve gesprekken met betrokken stakeholders om tot (nog) meer expliciete samenwerking naar dit gezamenlijke doel te komen. Dit document dient als een kompas voor geneesmiddelenontwikkeling en beoordeling, dat helpt bij het nemen van weloverwogen beslissingen, het uitstippelen van strategieën en het stellen van de juiste prioriteiten.

Al met al moeten we streven naar een systeem dat openstaat voor nieuwe behandelingen en medische innovatie, met respect voor de complexiteit van zeldzame aandoeningen en de mensen die ermee leven. Een systeem dat durft te experimenteren en gedreven wordt door de ambitie om werkelijk waarde toe te voegen aan het leven en de gezondheid van patiënten.

Samenwerking is de sleutel tot vooruitgang, en deze visie is het fundament waarop deze samenwerking kan worden gebouwd. Het is van belang dat alle stakeholders elkaar blijven opzoeken; wees coöperatief! De visie staat voor een transitie, waarbij een gedragsverandering onvermijdbaar is om

echt vooruitgang te boeken. Het is door samen te werken, met een open houding en bereidheid om te leren en te groeien, dat we de uitdagingen van onze tijd kunnen aangaan en gezamenlijk kunnen slagen.

Deze visie is een uitnodiging tot actie voor iedereen die betrokken is bij weesgeneesmiddelen, om te innoveren, samen te werken en een positieve verandering voor patiënten te bewerkstelligen. Openheid over de voortgang is hierbij essentieel en zal worden gefaciliteerd via kanalen zoals [www.weesgeneesmiddelen.nl](http://www.weesgeneesmiddelen.nl).



## Colofon

Dit visiedocument over zeldzame aandoeningen is tot stand gekomen onder leiding van Schuttelaar & Partners. Wij bedanken het A-team Wees Coöperatief voor hun waardevolle bijdrage en ondersteuning tijdens de ontwikkeling van dit document, evenals de diverse externe deskundigen die hun inzichten hebben gedeeld.

Het document is mede mogelijk gemaakt door de Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen (VIG).

### Vormgeving

Schuttelaar & Partners

### Contact

[Zeldameziekte@innovatie-vegeneesmiddelen.nl](mailto:Zeldameziekte@innovatie-vegeneesmiddelen.nl)

### Disclaimer

Hoewel uiterste zorg is besteed aan de samenstelling van dit document, kunnen aan de inhoud geen rechten worden ontleend. Reproductie zonder toestemming van Schuttelaar & Partners is niet toegestaan.

### Publicatie

2024

### Meer informatie

Voor meer informatie kunt u terecht op:  
[www.weesgeneesmiddelen.nl](http://www.weesgeneesmiddelen.nl)

