

20-9-23



Ministerie van Volksgezondheid,
Welzijn en Sport

TER BESLISSING

Directoraat Generaal
Curatieve Zorg
Directie Geneesmiddelen en
Medische Technologie

Opgesteld door



Datum

22 februari 2023

Kenmerk

3691247-1053249-GMT

Bijlage(n)

Aan

Minister VWS

Deadline: 22-9-2023

nota

Beleidswijziging voorwaardelijke toelating
weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals

1. Aanleiding

Het huidige beleid voor de voorwaardelijke toelating (hierna: VT) is vastgelegd in een brief aan de Tweede Kamer op 22 oktober 2019.

Op basis van de ervaringen in de afgelopen jaren heeft het Zorginstituut de procedure voor de VT tegen het licht gehouden en in dat kader twee aanpassingen van het beleid voorgesteld¹: een verduidelijking van het criterium *unmet medical need* en de mogelijkheid om in uitzonderingssituaties de maximale termijn van zeven jaar om te zetten naar een maximale termijn van veertien jaar.

2. Geadviseerd besluit

U wordt geadviseerd akkoord te gaan met de voorgestelde beleidswijzigingen en deze met de Kamer te delen.

3. Kernpunten

• *Unmet medical need*

Eén van de criteria voor de VT is dat er sprake moet zijn van een *unmet medical need* (onvervulde behandelbehoefte) volgens de geldende definitie van het Europees Geneesmiddelenbureau (hierna: EMA). Het EMA definieert een onvervulde behandelbehoefte als een aandoening waarvoor geen bevredigende methode van diagnose, preventie of behandeling in de Europese Unie is toegelaten of waarvoor het betrokken geneesmiddel, indien een dergelijke methode wel bestaat, een aanzienlijk therapeutisch voordeel voor de patiënten zal opleveren. Bij de toetsing aan deze voorwaarde gaat het Zorginstituut in eerste instantie uit van de beoordeling in het *European Public Assessment Report* (hierna: EPAR) van het EMA. Of er sprake is van een *unmet medical need* is echter niet altijd expliciet, voldoende specifiek en voor alle relevante subgroepen van patiënten (in Nederland) in de EPAR beschreven. Het kan bijvoorbeeld zijn dat een ander geneesmiddel voor de betreffende indicatie wel is geregistreerd door het EMA, maar nog niet is opgenomen in het basispakket. Dan is er in Nederland nog steeds sprake van *unmet medical need*, en is er dus ruimte voor een VT (voor een nieuw geneesmiddel).

In deze brief is beschreven hoe het Zorginstituut in deze situaties te werk gaat.

¹ Kamerstukken II 2021/22, 29477, nr. 783



- **Maximale termijn**
Een VT duurt zo kort mogelijk en in principe maximaal zeven jaar. Bij wijze van uitzondering is een maximale termijn van veertien jaar mogelijk. Dit betekent niet dat automatisch een onderzoeksduur van zeven, respectievelijk veertien, jaar wordt gehanteerd. Er wordt per traject bekeken welke onderzoeksduur nodig is om de pakketvraag te kunnen beantwoorden. Het traject kan dus ook korter zijn dan zeven, respectievelijk veertien jaar. Bij aanvang van de VT wordt bepaald of de maximale termijn van zeven of veertien jaar van toepassing is. Het is op dit moment niet mogelijk om later alsnog de termijn van maximaal zeven jaar te verlengen tot maximaal veertien jaar. Er kunnen zich onvoorziene, aan de betrokkenen niet te verwijten omstandigheden voordoen waardoor een VT naar verwachting toch niet binnen zeven jaar afgerond zal kunnen worden. Daarom wordt voorgesteld dat het mogelijk wordt om in uitzonderingssituaties de maximale termijn van zeven jaar om te zetten naar een maximale termijn van veertien jaar.

**Directoraat Generaal
Curatieve Zorg**
Directie Geneesmiddelen en
Medische Technologie

Datum
22 februari 2023

Kenmerk
3691247-1053249-GMT

4. Toelichting

a. Draagvlak politiek

Naar verwachting zullen de voorgestelde beleidswijzigingen geen politieke vragen oproepen.

b. Draagvlak maatschappelijk en eenduidige communicatie

Er is maatschappelijk draagvlak voor de voorwaardelijke toelating en de voorgestelde beleidswijzigingen zullen naar verwachting geen politieke vragen oproepen. De voorwaardelijke toelating is bedoeld voor patiënten met een ernstige aandoening en onvervulde behandelbehoefte. Zij kunnen via deze procedure onder voorwaarden in aanmerking komen voor vergoeding van veelbelovende geneesmiddelen, die vanwege onvoldoende bewijs nog niet voldoen aan de stand van de wetenschap en praktijk

c. Financiële en personele gevolgen

De mogelijkheid om de maximale termijn van zeven jaar om te zetten naar een maximale termijn van veertien jaar betekent dat het betreffende geneesmiddel gedurende een langere periode zal worden vergoed van het VT budget. Naar verwachting gaat het om uitzonderingssituaties. Voor de voorwaardelijke toelating van geneesmiddelen is een structureel budget beschikbaar, oplopend naar €26,8 miljoen per jaar. Mocht op termijn onvoldoende budget beschikbaar zijn, dan zal een wachtrij ontstaan. Binnen deze wachtrij geldt als uitgangspunt dat zodra budget beschikbaar is, een middel kan instromen op basis van 'first come, first serve'. In 2024 zal VWS evalueren of dit budget voldoende is. Vooralsnog zijn er echter geen aanwijzingen dat het budget ontoereikend is. Naar verwachting zal het aantal nieuwe VT producten een grotere impact hebben op het VT budget dan de voorgestelde mogelijkheid om in uitzonderingssituaties de maximale termijn van zeven jaar om te zetten naar veertien jaar.

d. Juridische aspecten haalbaarheid

De wijzigingen zijn uitgebreid besproken met WJZ en door hen akkoord bevonden.

e. Afstemming (intern, interdepartementaal en met veldpartijen)



De brief is afgestemd met, en akkoord bevonden door WJZ, directie Z, FEZ en met het Zorginstituut.

f. Gevolgen administratieve lasten
N.v.t.

g. Toezeggingen
N.v.t.

h. Fraudetoets
N.v.t.

5. Informatie die niet openbaar gemaakt kan worden

Tot personen herleidbare gegevens zijn onleesbaar gemaakt vanwege de bescherming van de persoonlijke levenssfeer.

**Directoraat Generaal
Curatieve Zorg**
Directie Geneesmiddelen en
Medische Technologie

Datum
22 februari 2023

Kenmerk
3691247-1053249-GMT