

8/5/25



Ministerie van Volksgezondheid,
Welzijn en Sport

Aan

Minister van VWS

Deadline: 14-5-2025

nota

Evaluatie en voortgangsrapportage voorwaardelijke toelating (VT) weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals*, en de beëindiging van de VT Translarna

TER BESLISSING

Directoraat-Generaal
Curatieve Zorg

Directie Geneesmiddelen en
Medische Technologie

Opgesteld door

Datum

24-04-2025

Kenmerk

4080581-1080844-GMT

Bijlage(n)

1. VT evaluatie
Zorginstituut
2. Voortgangsrapportage
VT
3. Brief Zorginstituut over
beëindiging VT
Translarna
4. Kamerbrief

1. Aanleiding

U heeft de volgende drie documenten ontvangen van het Zorginstituut:

- Evaluatie voorwaardelijke toelating (VT) weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals*, 11 februari 2025 (zie bijlage 1)
Dit is de tweede procesmatige evaluatie. De eerste evaluatie die het Zorginstituut heeft uitgevoerd is op 17 augustus 2022 met de Kamer gedeeld¹.
- Voortgangsrapportage voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, *conditionals*, en *exceptionals* over het jaar 2024, 27 februari 2025 (zie bijlage 2).
Dit is de derde voortgangsrapportage. De voortgangsrapportage over het jaar 2023 is op 4 september 2024 met de Kamer gedeeld². De voortgangsrapportage bevat ook een vooruitblik. Daarin wordt vermeld dat voorgestelde gecombineerde VT voor de geneesmiddelen Evrysdi en Spinraza helaas niet door zal gaan.
- Advies over vroegtijdige beëindiging van het VT van Translarna, 17 april 2025 (zie bijlage 3).

2. Geadviseerd besluit

U wordt geadviseerd akkoord te gaan met het volgende:

- De VT evaluatie door het Zorginstituut, de voortgangsrapportage en de brief over beëindiging van de VT van Translarna te delen met de Kamer, u dient daarvoor bijgevoegde Kamerbrief te ondertekenen.
- De bijbehorende wijziging van de Regeling zorgverzekering voor beëindiging van de VT voor Translarna wordt apart aan u voorgelegd (via de maandelijkse actualisatie van het Geneesmiddelenvergoedingssysteem (GVS), met een nota ter beslissing).

3. Kernpunten

Voorwaardelijke Toelating

De procedure voor voorwaardelijke toelating (VT) van weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals* is in oktober 2019 door het Zorginstituut en het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport opgesteld en geïntroduceerd als permanente regeling. Patiënten met een vaak ernstige zeldzame ziekte waarvoor

¹ Vergaderjaar 2021-2022, 29477 nr. 783

² Vergaderjaar 2023-2024, 29477 nr. 904



nog geen goede behandeling is, kunnen via deze procedure in aanmerking komen voor vergoeding van en daarmee toegang tot veelbelovende geneesmiddelen, die vanwege onvoldoende bewijs nog niet voldoen aan de stand van de wetenschap en praktijk (effectiviteit).

Datum
24-04-2025

Kenmerk
4080581-1080844-GMT

Eén van de voorwaarden is dat het geneesmiddel is geregistreerd door het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA), met de status van weesgeneesmiddel, *conditional* of *exceptional*. Gedurende de VT wordt (aanvullend) onderzoek gedaan naar de effectiviteit van het middel, zodat aan het einde van het traject een uitspraak gedaan kan worden over opname in het basispakket. Voor de VT geldt een jaarlijks budget van circa € 36 miljoen.

Evaluatie

De uitvoering van de VT-procedure wordt elke twee jaar geëvalueerd door het Zorginstituut, dit is de *procesmatige* evaluatie.

Het Zorginstituut concludeert opnieuw dat er behoefte is aan een procedure voor voorwaardelijke toelating, maar constateert ook dat er verbeterpunten zijn. Uit de evaluatie volgen aanbevelingen voor het Zorginstituut, en een aantal vervolgacties voor VWS.

Het ministerie van VWS neemt de aanbevelingen voor VWS mee in de lopende *beleidsmatige* evaluatie van de VT-procedure, welke elke vijf jaar moet worden uitgevoerd. Dit jaar vindt de eerste beleidsmatige evaluatie plaats. In deze evaluatie wordt beoordeeld of de doelstellingen van het beleid worden behaald, of het budget toereikend is om deze doelstellingen te behalen en of er andere ontwikkelingen zijn die aanleiding geven tot aanpassing van het beleid. De resultaten van de beleidsmatige evaluatie worden in de zomer verwacht.

Voortgangsrapportage

De voortgangsrapportage bevat informatie over VT trajecten van Natpar en Translarna.

In de vooruitblik laat het Zorginstituut weten dat de eerder door hen voorgestelde VT voor Evrysdi helaas niet door zal gaan. Voor patiënten met spinale musculaire atrofie (SMA) boven een leeftijd van 25 jaar is helaas nog onvoldoende bewijs voor de werkzaamheid van het middel. Het ministerie van VWS en het Zorginstituut hebben zich langdurig ingespannen om Evrysdi beschikbaar te stellen via een gezamenlijk VT traject met Spinraza. Helaas bleek de fabrikant van Spinraza hier uiteindelijk niet voor open te staan. Inmiddels is het Zorginstituut in gesprek met de registratiehouder van Evrysdi om de mogelijkheden te verkennen voor een losstaand VT-traject voor patiënten die ouder zijn dan 25 jaar en niet behandeld kunnen worden met Spinraza.

Voortijdige beëindiging VT Translarna

U heeft de Kamer eerder laten weten dat het wetenschappelijk comité (CHMP) van het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) heeft geadviseerd de handelsvergunning van Translarna niet te vernieuwen vanwege gebrek aan werkzaamheid³. Op 28 maart 2025 werd bekend dat de Europese Commissie (EC) het negatieve advies van de CHMP heeft overgenomen. Dit betekent dat Translarna van de Europese markt wordt gehaald. Daarmee is het ook niet langer

³ Vergaderjaar 2023-2024, 29477 nr. 904



mogelijk het middel aan Nederlandse patiënten te verstrekken en zal de VT per direct worden beëindigd (zie bijlage 3). Patiënten en behandelaars zijn hierop voorbereid, maar u laat weten te begrijpen dat deze uitkomst toch teleurstellend is.

Datum
24-04-2025

Kenmerk
4080581-1080844-GMT

4. Toelichting

a. Draagvlak politiek

Naar verwachting zullen de evaluatie, voortgangsrapportage en beëindiging van de VT voor Translarna geen politieke vragen oproepen. Eerder is een afschrift van uw reactie op het verzoek van Spierziekten NL om brede beschikbaarheid van Evrysdi voor patiënten met de spierziekte SMA met de Kamer gedeeld⁴. In het Commissiedebat Hulp- en geneesmiddelenbeleid van 30 mei 2024 heeft het lid Paulusma (D66) gewezen op schrijnende situaties waarbij een arts aan dezelfde ouders moet vertellen dat hun ene kind wel een behandeling kan krijgen maar het andere niet. Uw voorganger heeft uitgelegd dat het belangrijk is om te kijken naar de toegevoegde waarde van een geneesmiddel. Van sommige geneesmiddelen is namelijk onvoldoende aangetoond dat ze werken boven een bepaalde leeftijd. De mogelijke beëindiging van de VT voor Translarna is eerder gedeeld met de Kamer en riep toen geen vragen op.

b. Draagvlak maatschappelijk en eenduidige communicatie

Er is maatschappelijk draagvlak voor de voorwaardelijke toelating, en naar verwachting zullen de evaluatie, voortgangsrapportage en beëindiging van de VT voor Translarna geen maatschappelijke vragen oproepen. De evaluatie en voortgangsrapportage van het Zorginstituut laten wel zien dat verbetering van de procedure gewenst is. Veldpartijen waren betrokken bij de procesmatigevaluatie en zijn momenteel ook betrokken bij de beleidsmatige evaluatie van het ministerie van VWS. Het ministerie van VWS is in goed overleg met Spierziekten NL en heeft onlangs de 'Intentieverklaring Betere toegang tot veelbelovende weesgeneesmiddelen' vanuit deze en andere partijen, in ontvangst genomen. Informatie over de mogelijke beëindiging van de VT voor Translarna is eerder al gedeeld. De definitieve beëindiging is besproken met betrokken partijen en patiënten worden geïnformeerd.

c. Arbeidsmarkteffecten zorg- en welzijnsveld

Er zijn geen arbeidsmarkteffecten.

d. Gevolgen administratieve lasten

N.v.t.

e. Financiële en personele gevolgen VWS en uitvoeringsorganisaties

Het geraamde budget voor de toevoeging van Evrysdi aan de VT van Spinraza komt vrij nu deze gezamenlijke VT niet doorgaat. De VT van Translarna zou al per 1 oktober 2025 worden beëindigd. Vanwege de recente bevestiging van het negatieve oordeel van de CHMP door de EC zal de VT nu per direct (naar verwachting 1 juni 2025) worden beëindigd. Daarmee zal het geraamde budget voor de periode tot 1 oktober 2025 vrijvallen.

⁴ Vergaderjaar 2023-2024, 29477, nr. 884



f. Juridische aspecten haalbaarheid
N.v.t.

g. Afstemming (intern, interdepartementaal en met veldpartijen)
N.v.t.

h. Toezeggingen
N.v.t.

i. Fraudetoets
N.v.t.

Datum

24-04-2025

Kenmerk

4080581-1080844-GMT

5. Informatie die niet openbaar gemaakt kan worden

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