Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport

[redacted]

TER BESLISSING

Directoraat-Generaal Curatieve Zorg
Directie Geneesmiddelen en Medische Technologie

Opgesteld door
[redacted]

Aan Minister van VWS Deadline: 29-5-2026

25/5/26

nota

Appreciatie van de beleidsmatige evaluatie voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals*

Datum
13 mei 2026

Kenmerk
4387669-1098561-GMT

Bijlage(n)
1. Kamerbrief en bijlage met reactie op aanbevelingen vanuit de VT-evaluatie
2. Voortgangsrapportage over het jaar 2025

1. Aanleiding

Het ministerie van VWS heeft het strategisch adviesbureau SiRM gevraagd de beleidsmatige evaluatie van de voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals* (VT) uit te voeren. Op 3 juli 2025 heeft toenmalig minister van VWS het evaluatierapport met de Kamer gedeeld[1]. Daarbij is toegezegd dat de appreciatie van de aanbevelingen begin dit jaar met de Kamer zou worden gedeeld. Dat doet u in bijgevoegde brief.

2. Geadviseerd besluit

U wordt geadviseerd deze brief te ondertekenen en met de twee bijlages met de Kamer te delen. In de eerste bijlage worden de conclusies en aanbevelingen uit de evaluatie in detail toegelicht, met voorstellen voor de verdere opvolging. In de tweede bijlage wordt de Voortgangsrapportage van de VT over het jaar 2025 gedeeld met de Kamer.

Het streven is deze brief tijdig voor het geplande debat Zorgverzekeringsstelsel op 10 juni naar de Kamer te sturen.

3. Kernpunten

<u>Voorwaardelijke toelating - beleidsmatige evaluatie</u>

- De VT is in oktober 2019 opgesteld en geïntroduceerd als permanente regeling. De regeling wordt uitgevoerd door het Zorginstituut Nederland (het Zorginstituut).
- Elke vijf jaar wordt door het ministerie van VWS een beleidsmatige evaluatie van de VT-procedure uitgevoerd. Deze brief is de appreciatie van de eerste beleidsmatige evaluatie.

<u>Voorwaardelijke toelating - achtergrond</u>

- Via de VT kunnen geneesmiddelen, die vanwege onvoldoende bewijs nog niet voldoen aan het pakketcriterium 'de stand van de wetenschap en praktijk' (effectiviteit) tijdelijk worden vergoed vanuit het basispakket.
- Geneesmiddelen kunnen alleen in aanmerking komen voor voorwaardelijke toelating als ze een marktregistratie hebben gekregen van het European Medicines Agency (EMA) met de status van weesgeneesmiddel, *conditional* of

[1] Vergaderjaar 2024-2025, Kamerstuk 29477, nr. 942

exceptional[2]. Een andere voorwaarde is dat het geneesmiddel moet voorzien in een onvervulde behandelbehoefte. Verder moet de firma gedurende de periode van voorwaardelijke toelating het geneesmiddel aanbieden voor een prijs die passend is bij de onzekerheid over de effectiviteit ('sterk verlaagde prijs').
- 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.

Samenhang VT met het Toekomstbestendig stelsel geneesmiddelen
- In het Toekomstbestendig stelsel geneesmiddelen (TSG)[3] volgen nieuwe geneesmiddelen een toelatingsroute tot het pakket afhankelijk van de onzekerheden of risico's die ze meebrengen. Overheid en zorgpartijen maken samen een keuze voor een passende route. Eén van de routes kan bestaan uit de VT, wanneer aan de betreffende criteria wordt voldaan.

Appreciatie met belangrijkste dilemma's
- In de brief wordt uitgelegd dat enerzijds behoefte bestaat om patiënten met een onvervulde medische behoefte snel toegang te geven tot veelbelovende geneesmiddelen. Anderzijds is de effectiviteit van deze geneesmiddelen nog niet bewezen en moet die snelle toegang in verhouding staan tot de regels die gelden voor het reguliere pakketbeheer (bewijslast versus de prijs) en moeten er dus voorwaarden worden gesteld. Daarbij ligt de uitdaging in het bedenken van voorwaarden die enerzijds recht doen aan het bredere maatschappelijk perspectief en het streven van dit Kabinet om alleen effectieve zorg te vergoeden vanuit het basispakket, en anderzijds de VT niet zo onaantrekkelijk maken, dat het in de praktijk een dode letter blijkt.
- En tweede dilemma betreft de voorwaarde dat de firma gedurende de periode van voorwaardelijke toelating het geneesmiddel moet aanbieden voor een prijs die passend is bij de onzekerheid over de effectiviteit (sterk verlaagde prijs). De vergoeding moet echter ook voldoende prikkels geven voor een firma om het middel aan te bieden voor een VT.

Belangrijkste aanpassingen
- In de brief wordt uitgelegd dat het kabinet het niet langer gerechtvaardigd vindt om een aparte route voor weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals* in stand te houden.
- In lijn met de evaluatie wordt voorgesteld om de afbakening van de VT aan te passen naar geneesmiddelen waarvoor het gevraagde onderzoek specifiek is voor Nederland en niet van bredere waarde voor een firma, en waarvoor de benodigde informatie niet op een andere wijze kan worden verkregen.

[2] Een weesgeneesmiddel is een geneesmiddel voor een zeldzame ziekte. Een conditional is een geneesmiddel dat een voorwaardelijke handelsvergunning heeft ontvangen van het EMA. De firma moet ondertussen meer onderzoek doen en zo meer data genereren, zodat de handelsvergunning kan worden omgezet in een definitieve handelsvergunning. Een exceptional is een handelsvergunning onder uitzonderlijke voorwaarden. Voor een dergelijk geneesmiddel is het niet mogelijk om nog meer onderzoek te doen en meer data te genereren. Het EMA accepteert dat voor deze geneesmiddelen er altijd enige sprake van onzekerheid zal blijven bestaan.
[3] Vergaderjaar 2022-2023, 29477, Nr 838

- Het kabinet is ook bereid om, zoals aanbevolen, (los van de VT) een alternatieve route te introduceren voor ultra-weesgeneesmiddelen (waaronder gepersonaliseerde ultraweesgeneesmiddelen)[4]. Hierover wordt overleg gevoerd met het Zorginstituut.

Vervolg
- Met deze brief wordt het voorstel tot aanpassing van de VT voorgelegd aan de relevante partijen, met name farmaceutische bedrijven omdat de voorgestelde afbakening gericht is op onderzoek waarvoor zij onvoldoende prikkels hebben om dit zelf uit te voeren. Op basis van deze consultatie zal worden besloten tot definitieve aanpassing of, bij onvoldoende draagvlak (bijvoorbeeld vanwege de sterk verlaagde prijs), tot afschaffing van de VT.

4. Toelichting

a. Draagvlak politiek
Vanuit de Kamer wordt soms gevraagd om een vorm van voorwaardelijke toelating van dure geneesmiddelen, totdat de effectiviteit van een middel in de praktijk is getest. Het accent ligt daarbij vooral op het versnellen van beschikbaarheid[5]. De VT komt hier (deels) aan tegemoet. Bij de VT moet over de prijs worden onderhandeld, en moet een onderzoeksvoorstel worden opgesteld en beoordeeld. Dat kost tijd. Snelle toegang zonder prijsonderhandeling zou leiden tot hogere prijzen.[6] De Kamer wijst regelmatig op de onhoudbaarheid van de hoge prijzen van veel geneesmiddelen.
Voor de zomer zal ook een brief specifiek gericht op de pakketbeoordeling van weesgeneesmiddelen en ultra-weesgeneesmiddelen naar de Kamer worden gestuurd, als reactie op vragen vanuit het veld en de Kamer.

b. Draagvlak maatschappelijk en eenduidige communicatie
Deelnemers aan de evaluatie zien de VT als een gewenst instrument in het stelsel. Er is dus maatschappelijk draagvlak, al komt uit de evaluatie ook naar voren dat er tot nu toe weinig animo voor de regeling was bij firma's. De verschillende perspectieven zijn eerder in deze nota toegelicht onder het kopje 'dilemma's'.

c. Arbeidsmarkteffecten zorg- en welzijnsveld
Op dit moment is de inschatting dat de aangepaste VT niet tot substantiële toename in het aantal VT-trajecten zal leiden. Daarmee lijkt de impact op het zorgveld gering.

d. Gevolgen administratieve lasten
Op dit moment is de inschatting dat de aangepaste VT niet tot substantiële toename in het aantal VT-trajecten zal leiden. Daarmee lijkt de impact op de administratieve lasten gering.

e. Financiële en personele gevolgen VWS en uitvoeringsorganisaties
Op dit moment is de inschatting dat de aangepaste VT niet tot substantiële toename in het aantal VT-trajecten zal leiden. Daarmee lijkt de impact op de financiële en personele gevolgen gering.

---

[4] Ultra weesgeneesmiddelen zijn geneesmiddelen die bestemd zijn voor de behandeling van zeer zeldzame ziekten. Voor ultra-weesgeneesmiddelen is geen duidelijke definitie, maar soms wordt een aantal van 1 op de 50.000 mensen gehanteerd. Soms gaat het hierbij om slechts enkele patiënten.
[5] Zie bijvoorbeeld de motie van het lid Bushoff, Vergaderjaar 2022–2023, 29 477, nr. 856
[6] Vergaderjaar 2023–2024, 29 477, nr. 869

f. Juridische aspecten haalbaarheid
De voorgestelde aanpassingen zijn juridisch afgestemd binnen GMT.

g. Afstemming (intern, interdepartementaal en met veldpartijen)
Directie Z, het Zorginstituut en op onderwerpen met zorgverzekeraars en de FMS.

h. Toezeggingen
In deze brief wordt tegemoetgekomen aan de toezegging om de appreciatie van de beleidsmatige evaluatie van de VT met de Kamer te delen[7]. In de brief wordt ook tegemoetgekomen aan de toezegging aan lid Claassen[8] en wordt de motie Bushoff[9] afgedaan.

i. Fraudetoets
N.v.t.

5. Informatie die niet openbaar gemaakt kan worden
Tot personen herleidbare gegevens zijn onleesbaar gemaakt vanwege bescherming van de persoonlijke levenssfeer.

[7] Vergaderjaar 2025–2026, 29 477, nr. 960
[8] Toezeggingen hulp- en geneesmiddelendebat 1 oktober 2025, TZ202510-173: 'In het voorjaar van 2026 wordt de Kamer geïnformeerd over de contouren van een nieuw systeem omtrent de werkwijze van de voorwaardelijke toelating (procedure), mede in relatie tot de uitvoering van de Motie inzake het versnellen van de sluisgeneesmiddelen. De werkwijze (procedure) zal aan de hand van een case en uitleg daarvan worden weergegeven'.
[9] Vergaderjaar 2022–2023, 29 477, nr.856: 'verzoekt de regering te onderzoeken of het Zorginstituut de mogelijkheid kan krijgen om geneesmiddelen voorwaardelijk toe te laten, tot de effectiviteit van een middel in de praktijk is getest, en tijdens de voorwaardelijke toelating de middelen voor een lager instaptarief beschikbaar te stellen'.