

Vergaderjaar 2025–2026

29 477

Geneesmiddelenbeleid

Nr. 976

BRIEF VAN DE MINISTER VAN VOLKSGEZONDHEID, WELZIJN EN SPORT

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal
Den Haag, 28 mei 2026

De afgelopen maanden hebben diverse partijen gevraagd om een aparte route voor de beoordeling van de vergoeding voor weesgeneesmiddelen¹. Zij geven aan dat effectiviteit van weesgeneesmiddelen vaak moeilijk overtuigend aan te tonen is vanwege kleine patiëntgroepen en beperkte data. De partijen stellen dat het huidige vergoedingssysteem in de praktijk onvoldoende aansluit bij de kenmerken van (zeer) zeldzame aandoeningen en wijzen op pilots zoals het ODAP (*Orphan Drug Access Protocol*) waarbij gegevens over de effectiviteit worden verzameld na opname in het basispakket.

In deze brief wordt uitgelegd dat het kabinet geen aanleiding ziet om een aparte route voor weesgeneesmiddelen te ontwikkelen. Het kabinet is van mening dat het huidige beoordelingskader geschikt is om ook bij weesgeneesmiddelen te komen tot een positief oordeel over de effectiviteit² en kan worden toegelaten tot het verzekerde pakket, eventueel gecombineerd met aanvullende beheersmaatregelen voor een gepaste inzet. Wel wordt overleg gevoerd met het Zorginstituut over een aparte

¹ Reactie Comité Weesgeneesmiddelen op het consultatiedocument van Zorginstituut Nederland over het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen (TSG) ((24) Post | LinkedIn); Reactie VIG op het TSG (VIG: impactanalyse wenselijk voor zorgvuldig vervolg van het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen - Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen); Gezamenlijke oproep vergoeding voor weesgeneesmiddelen van Hollandbio, BVKM, VSOP, VKS, VIG en Comité Weesgeneesmiddelen (Gezamenlijke oproep Hollandbio, BVKM, VSOP, VKS, VIG en Comité voor passende route voor vergoeding voor weesgeneesmiddelen); Bijdrage van Stichting Comité Weesgeneesmiddelen aan het nieuwe maatschappelijk wegingskader (20260107-Observaties-Comite-Weesgeneesmiddelen-FINAL.pdf); motie van het lid Claassen Vergaderjaar 2025–2026, 36 800 XVI, nr. 155. Ook is op verzoek van het lid Maeijer (PVV) een plenair debat aangevraagd over de toegang tot geneesmiddelen in Nederland. Aanleiding hiervoor is de Voxzogo casus en meer in het algemeen de toegang tot weesgeneesmiddelen.

² Hierbij wordt bedoeld op het wettelijke criterium «de stand van wetenschap en praktijk» (SWP) dat betekent dat wordt beoordeeld of het nieuwe geneesmiddel tenminste even effectief of effectiever is dan de huidige standaardbehandeling (d.w.z. de relatieve effectiviteit, hierna aangeduid als effectiviteit).

route voor ultra-weesgeneesmiddelen. In deze brief wordt dit verder toegelicht.

Gedurende het afgelopen jaar is er ook veel aandacht geweest voor het weesgeneesmiddel Voxzogo³. Daar wordt later in deze brief op ingegaan.

Achtergrond

Diagnostiek wordt steeds meer gepersonaliseerd, waardoor geneesmiddelen vaker voor relatief kleine aantallen patiënten worden ontwikkeld. Dit betreft niet alleen zeldzame erfelijke ziektes maar bijvoorbeeld ook de steeds verdere onderverdeling binnen kankersoorten. Deze ontwikkeling kan leiden tot vragen over de toepassing van het Nederlandse vergoedingssysteem.

Het is belangrijk om onderscheid te maken tussen weesindicaties met grotere aantallen patiënten en ultra-wees indicaties. Dit heeft namelijk consequenties voor de mogelijkheid tot beoordeling van (kosten)effectiviteit. Een weesgeneesmiddel is een geneesmiddel voor een zeldzame ziekte. In Europa wordt een ziekte als zeldzaam beschouwd als deze minder dan 1 op de 2.000 mensen treft. Het kan dan alsnog gaan om honderden patiënten in Nederland. Voor ultra-weesgeneesmiddelen is geen duidelijke definitie, maar soms wordt een aantal van 1 op de 50.000 mensen gehanteerd. Het kan hierbij gaan om slechts enkele patiënten in Nederland.

Opbouw van de brief

In deze brief wordt eerst ingegaan op de beoordeling van weesgeneesmiddelen. Daarbij wordt ook aandacht besteed aan de ODAF, de Voorwaardelijke Toelating weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals* (VT), en Voxzogo. Daarna gaat de brief in op de ultra-weesgeneesmiddelen.

Weesgeneesmiddelen

Het is belangrijk om te onderstrepen dat het voor weesgeneesmiddelen niet per definitie zo is dat bewijs voor de pakketwaardigheid niet of moeilijk is aan te tonen. Weesgeneesmiddelen kunnen via de reguliere vergoedingsroute worden beoordeeld en, indien wordt voldaan aan de pakketcriteria, opgenomen in het basispakket. Het Zorginstituut kan daarbij rekening houden met contextuele factoren. Hiermee wordt bedoeld dat het Zorginstituut voor het bepalen van de effectiviteit rekening kan houden met specifieke kenmerken van het middel, waaronder de ernst van de aandoening. Verder kan het Zorginstituut kijken naar wat passend bewijs is. Hierbij kan het Zorginstituut bijvoorbeeld accepteren dat er gebruik wordt gemaakt van surrogaateindpunten. Dit betekent dat op een eerder moment al iets gezegd kan worden over mogelijke effectiviteit in de toekomst. Ook kan worden geconcludeerd dat de gouden standaard van een *Randomized Controlled Trial* (RCT)⁴ niet haalbaar en nodig is. Bovendien kan de situatie zoals het ontbreken van andere behandelopties worden meegewogen. Het Zorginstituut kan mij ook adviseren over omstandigheden die spelen bij weesgeneesmiddelen, zoals de ontwikkelingskosten. Daar kan bij de prijsonderhandelingen rekening mee worden gehouden.

³ Zie bijvoorbeeld: Vergaderjaar 2025–2026, 29 477, nr. 954

⁴ Een RCT is een wetenschappelijk experiment waarbij deelnemers willekeurig worden verdeeld in een groep die de nieuwe behandeling krijgt en een controlegroep

Het Zorginstituut heeft geconstateerd dat de beoordeling van de effectiviteit voor weesgeneesmiddelen niet vaker negatief uitvalt dan de beoordeling van de effectiviteit voor niet-weesgeneesmiddelen. Dit bevestigt dat het beoordelingskader geschikt is om ook bij weesgeneesmiddelen te komen tot een positief oordeel over de effectiviteit. Tot op heden zijn, op één na⁵, alle weesgeneesmiddelen die voldoende effectief zijn bevonden, ook vergoed vanuit het basispakket.

Orphan Drug Access Protocol (ODAP)

De ODAP is een project dat wordt gefinancierd door Zorgverzekeraars Nederland (ZN) en uitgevoerd door Medicijn voor de Maatschappij. Dit initiatief is gericht op het geven van toegang aan patiënten tot (niet-oncologische) weesgeneesmiddelen waarbij onzekerheid bestaat over de effectiviteit, in combinatie met een vorm van onderzoek in de praktijk.

Er wordt overleg gevoerd met het Zorginstituut en ZN over routes zoals de ODAP. De wens om nieuwe, veelbelovende middelen snel beschikbaar te maken voor patiënten is begrijpelijk. We zien echter dat snelheid zich in de praktijk toch vooral terugvertaalt in onzekerheid over de effecten. Sterker nog, onderzoek heeft uitgewezen dat juist van geneesmiddelen die versneld zijn toegelaten uiteindelijk de (toegevoegde) waarde niet of nauwelijks viel vast te stellen.⁶ Het is dan de vraag of een versnelde toelating het probleem van onzekerheid niet slechts verplaatst, in plaats van oplost, maar dan wel ten laste van de samenleving omdat die het financiële risico daarvan (meer) gaat dragen.

Zoals vermeld worden bij de ODAP-gegevens over de effectiviteit verzameld ná vergoeding door de zorgverzekeraars. Het kabinet vindt dat firma's in principe zelf moeten bewijzen dat een geneesmiddel effectief is voor toelating tot het basispakket, ook bij weesgeneesmiddelen. Het is de vraag hoe wenselijk het is om weesgeneesmiddelen waarvoor het mogelijk is om pakketwaardigheid vast te stellen binnen een redelijke termijn, en waarvoor een firma het onderzoek ook zelf kan uitvoeren, nog via de ODAP te vergoeden. Hierbij is van belang dat firma's aangeven dat als bestaande data uit internationale registratiestudies (voor weesgeneesmiddelen) onvoldoende blijken voor een beoordeling van de effectiviteit, het onwaarschijnlijk is dat op basis van Nederlands onderzoek (verzamen van data in de praktijk) wel voldoende data verzameld kunnen worden voor (definitieve) opname in het basispakket.

Elementen van de ODAP kunnen wel onderdeel uitmaken van het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen (TSG)⁷, zoals afspraken over de gepaste inzet van het middel, financiële afspraken of eventueel een *pay-for-performance* component⁸.

⁵ Vergaderjaar 2025–2026, 29 477, nr. 955

⁶ <https://www.uu.nl/nieuws/veel-nieuwe-kankermedicijnen-in-de-eu-hebben-geen-bewezen-toegevoegde-waarde>.

⁷ Het Zorginstituut werkt in opdracht van het kabinet aan het TSG. Het TSG heeft als doel nieuwe geneesmiddelen gecontroleerd toe te laten tot het basispakket van de zorgverzekering. Het doel is ook om beoordelingsprocessen te verduidelijken en te versnellen waar dat kan. Zo komen goede geneesmiddelen sneller beschikbaar en tegen maatschappelijk aanvaardbare prijzen. Het kabinet zal de Kamer over de voortgang van TSG nog voor de zomer informeren. Zie ook Kamerbrief Vergaderjaar 2025–2026, 29 477, nr. 960.

⁸ Zie hiervoor ook de Kamerbrief met aandachtspunten bij de inzet van *pay-for-performance*: <https://zoek.officielebekendmakingen.nl/kst-29477-757.pdf>

Tegelijk met deze brief wordt ook een brief met de appreciatie van de evaluatie van de VT met de Kamer gedeeld. Daarin wordt uitgelegd dat het kabinet het niet langer gerechtvaardigd vindt om een aparte route voor weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals* in stand te houden. Ook hierbij speelt de overweging dat de firma in principe de verantwoordelijkheid heeft om de bewijslast voor de effectiviteit van zijn geneesmiddel aan te leveren, ook voor weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals*.

In de brief wordt ook uitgelegd dat het kabinet de VT nog wel wil openstellen voor geneesmiddelen waarvoor het gevraagde onderzoek specifiek is voor Nederland en daarmee niet van bredere waarde is voor een firma⁹.

Voxzogo

Voxzogo is een weesgeneesmiddel voor de behandeling van achondroplasie, een erfelijke en zeldzame botaandoening en de meest voorkomende vorm van dwerggroei. De firma heeft tot op heden geen vergoedingsdossier ingediend bij het Zorginstituut. In de laatste Kamerbrief over dit geneesmiddel¹⁰ is aangegeven dat de Kamer opnieuw zal worden geïnformeerd nadat de firma heeft besloten over het vervolg. Inmiddels heeft de firma bekendgemaakt definitief geen vergoeding aan te vragen in Nederland voor Voxzogo¹¹. De firma heeft dit in een gesprek nader toegelicht. Zonder dossier is verdere discussie helaas niet mogelijk. Ik roep de firma daarom nogmaals op om zijn besluit te herzien en een dossier aan te leveren. Hiermee wordt de Kamer, zoals toegezegd, geïnformeerd over deze betreurenswaardige situatie.

Volgens de horizonscan geneesmiddelen zijn er twee andere geneesmiddelen in ontwikkeling voor achondroplasie bij kinderen. Hierbij gaat het om de geneesmiddelen navepegritide¹² en infigratinib¹³. Wat betreft navepegritide is de registratieaanvraag voor toetreding tot de Europese markt bij het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) in behandeling, naar verwachting wordt dit geneesmiddel in november 2026 geregistreerd. Wat betreft infigratinib is de verwachte registratie bij het EMA juni 2027. Het is nog te vroeg in het ontwikkelingsproces om de verschillen tussen deze nieuwe geneesmiddelen en Voxzogo duidelijk vast te stellen.

Ultra-weesgeneesmiddelen

De VT is, zoals aangegeven, recent geëvalueerd¹⁴. Daarbij is geadviseerd een alternatieve regeling te ontwikkelen voor ultra-weesgeneesmiddelen, omdat het aantonen van effectiviteit volgens de reguliere vereisten vaak niet haalbaar is. Het kabinet onderschrijft de noodzaak van een specifiek traject voor deze middelen, zeker nu er sprake lijkt te zijn van een toename van zeer gepersonaliseerde therapieën voor hele kleine aantallen

⁹ De precieze details moeten nog worden uitgewerkt, zie ook de bijlage van de brief met de appreciatie van de evaluatie van de VT.

¹⁰ Vergaderjaar 2025–2026, 29 477, nr. 954

¹¹ Zorginstituut betreurt beslissing fabrikant middel Voxzogo niet beschikbaar te maken | Zorginstituut Nederland

¹² Navepegritide | Horizonscan geneesmiddelen

¹³ Infigratinib | Horizonscan geneesmiddelen

¹⁴ Vergaderjaar 2024–2025, Kamerstuk 29 477, nr. 942

patiënten¹⁵. Hierover wordt overleg gevoerd met het Zorginstituut. Het Zorginstituut heeft voorgesteld een aparte route voor ultra-weesgeneesmiddelen te introduceren binnen het TSG (los van de VT). Het kabinet ziet dit als een goed voorstel. De precieze afbakening hiervan wordt nog uitgewerkt. Daarnaast heeft het Zorginstituut aandacht voor de beoordeling van kosteneffectiviteit van deze geneesmiddelen omdat dit vaak lastig is bij hele kleine aantallen patiënten. Mogelijk dat de pakketrisico's bij dergelijke middelen op andere wijze kunnen en moeten worden beheerst, dan via de kosteneffectiviteit.

Het kabinet gaat ervan uit dat het hierbij gaat om het type middelen waarvoor de Kamer aandacht heeft gevraagd, omdat het systeem niet met deze ontwikkeling zou zijn «meegegroeid».

Tot slot

Zoals eerder vermeld werkt het kabinet aan een toekomstbestendig stelsel geneesmiddelen (TSG) waarin nieuwe, effectieve medicijnen zo snel mogelijk beschikbaar komen voor patiënten die er baat bij hebben, tegen een maatschappelijk aanvaardbare prijs¹⁶. In het TSG zal aan de voorkant van het proces naar de eigenschappen van het geneesmiddel worden gekeken en wordt afhankelijk daarvan een route tot pakkettoelating gevolgd. Het Zorginstituut zal de komende tijd uitwerken wanneer en hoe weesgeneesmiddelen en ultraweesgeneesmiddelen door het instroomproces van TSG heen lopen.

De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,
S.T.M. Hermans

¹⁵ Zie bijvoorbeeld: Op maat gemaakte therapie repareert kapot gen van zieke baby in VS - NRC en «From roadmap to a sustainable end-to-end individualized therapy pathway», Ther Adv Rare Dis 2025, Vol. 6: 1–17.

¹⁶ Vergaderjaar 2025–2026, 29 477, nr. 960