



Ministerie van Volksgezondheid,  
Welzijn en Sport

> Retouradres Postbus 20350 2500 EJ Den Haag

VSOP  
T.a.v. Mw. M. Martens, voorzitter  
Koninginnelaan 23  
3762 DA SOEST

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

**Bezoekadres:**  
Parnassusplein 5  
2511 VX Den Haag  
T 070 340 79 11  
F 070 340 78 34  
www.rijksoverheid.nl

**Inlichtingen bij**

Datum 8 JUN 2012

Betreft De Nederlandse strategie met betrekking tot de zeldzame  
aandoeningen

**Kenmerk**  
GMT/3115567

**Uw brief**  
TVV\12-043

**Bijlage(n)**  
1

*Correspondentie uitsluitend  
richten aan het retouradres  
met vermelding van de datum  
en het kenmerk van deze  
brief.*

Geachte mevrouw Martens,

Uw brief van 29 maart jl. heb ik in goede orde ontvangen. Alvorens nader in te gaan op de punten die u in uw brief aan de orde stelt, wil ik u eerst danken voor de getoonde belangstelling van de zijde van u en van de directeur van de VSOP, de heer Oosterwijk, voor de Nederlandse strategie inzake de zeldzame ziektes en de brief die ik hierover op 29 februari jl. aan de Tweede Kamer heb gestuurd (Kamerstukken II, Vergaderjaar 2011-2012, 29477-184). Daarnaast wil ik u mijn verontschuldigingen aanbieden voor de vertraagde beantwoording van uw brief. De oorzaak van deze vertraging is dat er voor de beantwoording uitvoerig overleg nodig was tussen verschillende directies van mijn ministerie. In mijn antwoord zal ik allereerst ingaan op de drie suggesties die u doet op pagina 6 van uw brief. Vervolgens zal ik in een bijlage ingaan op de vragen en opmerkingen in het overige van uw brief.

Mijn visie op de problematiek van de (patiënten met een) zeldzame aandoening is, kort samengevat, als volgt. De patiënt met een zeldzame ziekte heeft recht op zorg van dezelfde kwaliteit als de zorg die een patiënt met een meer vóórkomende ziekte krijgt. Het verschil is natuurlijk dat bij zeldzame ziektes het stellen van de diagnose moeilijker is (en daardoor vaak pas veel later een juiste diagnose gesteld wordt), dat bij een aantal patiënten de behandeling ingewikkeld is en dat er voor de behandeling van een groot aantal zeldzame ziektes geneesmiddelen ontbreken. Toch zijn deze aspecten niet uniek voor de zeldzame ziektes, al is het verschil in kwantitatief opzicht wel zodanig dat apart beleid voor de patiënten met een zeldzame ziekte noodzakelijk is.

In mijn brief (met bijlage) van 29 februari heb ik aangegeven hoe mijn ambtsvoorgangers gedurende de afgelopen jaren beleid hebben ontwikkeld inzake de zeldzame ziektes, hoe zij dit beleid hebben geïmplementeerd en hoe ik mij voorstel waar mijn verantwoordelijkheden liggen en hoe ik hieraan uitvoering zou kunnen geven. In mijn brief heb ik ook aangegeven wat de mogelijkheden en beperkingen zijn voor de overheid op dit complexe terrein.



Mijn concrete streven is om via stimulering van relevante partijen op dit terrein, waaronder bijvoorbeeld patiëntenorganisaties, wetenschappers en zorgverleners en universitaire medische centra, de mogelijkheden van nieuwe diagnostiek en therapie te vergroten.

Ik heb hiervoor ook financiële middelen beschikbaar gesteld. Met betrekking tot uw opmerking over 'zeldzaam-inclusief' kan ik u meedelen dat ik in mijn beleid inzake de zorg en preventie ook rekening houdt met patiënten met een zeldzame ziekte. U hebt overigens wel gelijk met uw opmerking over het declareren van de weesgeneesmiddelen in de UMC's via de zogenoemde *add on* systematiek. Er bestaan inderdaad geen DBC's voor zeldzame ziekten. Ik ben inmiddels in overleg hierover met de Nederlandse zorgautoriteit (NZA) om eventuele problemen te inventariseren. In de overheveling van de weesgeneesmiddelen naar de ziekenhuisfinanciering heb ik vertrouwen. Het doel van de overheveling is enerzijds concentratie van zorg en daardoor verbetering van zorg, anderzijds versterking van de kosteneffectiviteit van deze zorg. Ten aanzien van uw derde suggestie verwijs ik naar mijn brief van 29 februari jl. Ik heb hierin aangegeven dat ik het ontstaan van referentiecentra wil bevorderen, dat ik de UMC's hierin een bijzondere rol toeken (vanwege inhoudelijke, organisatorische en financiële argumenten), maar dat het nu niet het moment is dat ik referentiecentra ga aanwijzen. Ik ben het met u eens dat de kwaliteitscriteria voor expertisecentra, opgesteld in overleg tussen de Europese commissie en de lidstaten, een leidraad moeten zijn bij de ontwikkeling van expertisecentra in Nederland. Het initiatief hiertoe ligt echter bij de UMC's.

Ik hoop dat ik met deze brief en bijlage een antwoord op uw vragen en opmerkingen heb kunnen geven.

Hoogachtend,  
de Minister van Volksgezondheid,  
Welzijn en Sport,

mw. drs. E.I. Schippers

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

**Kenmerk**  
GMT/3115567

## BIJLAGE

In deze bijlage ga ik nader in op verschillende onderwerpen die u in uw brief aansnijdt. U stelt dat er met betrekking tot patiënten met een zeldzame ziekte sprake is van tekortschietende zorg. U brief sluit aan bij verschillende brieven van patiëntenorganisaties over de naar hun mening tekortschietende zorg voor patiënten met een zeldzame ziekte. De essentie van deze brieven had betrekking op de directe zorg, dat wil zeggen de zorg op het niveau van arts en patiënt of soms ook arts, patiënt, zorginstelling. In mijn antwoorden op deze brieven - en in mijn brief van 29 februari aan de Tweede Kamer - heb ik aangegeven dat ik hier geen directe taak heb. Het beleid van de rijksoverheid was - en is - ondermeer georiënteerd op het onder de aandacht brengen van de problematiek van de patiënten met een zeldzame ziekte bij de beroepsgroepen en bij andere relevante partijen zoals de farmaceutische industrie, de universitaire medische centra (UMC's), individuele onderzoekers en bij de zorgverzekeraars. De voormalige Stuurgroep Weesgeneesmiddelen heeft hierin een grote rol gespeeld. De komende jaren zal het nieuwe secretariaat bij ZonMw ten aanzien van dit onderwerp (zorg voor de patiënt met een zeldzame ziekte) actief zijn. Op de versterkte rol van de UMC's met betrekking tot de zorg ben ik al ingegaan in mijn antwoordbrief aan u.

U stelt dat angst voor extra zorguitgaven een rol lijkt te spelen bij de - in uw ogen passieve - opstelling van Nederland ten aanzien van een Nationaal Plan Zeldzame Aandoeningen. De veronderstelling over angst voor extra uitgaven deel ik niet. De Nederlandse overheid heeft sinds 2001 een strategie, waarin randvoorwaarden zijn gecreëerd, financiële middelen beschikbaar zijn gesteld en algemene doelen gesteld op het gebied van de zeldzame ziektes. Het overleg ten behoeve van de wijziging van deze strategie (dat wil zeggen aanpassing aan de veranderde omstandigheden) is van start gegaan in 2008, dus nog vóór het begin van de huidige economische crisis.

Dit overleg heeft plaatsgevonden met alle partijen in de Stuurgroep over hoe verder na 2011. In het RGO-advies uit 1998 (advies nr. 16) wordt een periode van tien jaar voorgesteld voor een instantie als de Stuurgroep. De redenen tot aanpassing van het beleid waren tweeledig. Ten eerste waren de omstandigheden geleidelijk gewijzigd - partijen hadden expertise opgedaan - en ten tweede werkte de overheid aan een wijziging van het subsidiebeleid: subsidies zouden beperkt blijven en voornamelijk betrekking hebben op projecten en minder op instellingen. Het verwerven van expertise en overnemen van taken heeft betrekking op alle partijen die zitting hadden in de Stuurgroep, ook op de patiëntenorganisaties. Dit standpunt werd door alle partijen in de Stuurgroep gedeeld. Beide genoemde aspecten waren van toepassing op de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen. U hebt wel gelijk als u stelt dat in een latere fase (dat wil zeggen vanaf de tweede helft van 2009) een aantal partijen in de Stuurgroep vraagtekens plaatste bij het voornemen van de overheid de Stuurgroep op te heffen. De reden van deze meningsverandering bij een aantal partijen was de Aanbeveling van de Raad van Europese ministers van volksgezondheid. Men veronderstelde dat het opheffen van de Stuurgroep niet zou passen in deze

Aanbeveling. IK heb in mijn brief van 29 mei aangegeven dat het nieuwe secretariaat bij ZonMw ten dele een voortzetting is van de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen.

U maakt een aantal opmerkingen over zorgconcentratie en de rol van de NFU. In mijn antwoordbrief ga ik kort in op de centrale rol van de UMC's in Nederland. U stelt dat de NFU zijn (coördinerende en stimulerende) taken niet optimaal verricht en dat het doel hiervan, de integrale taakherschikking, niet tot stand komt. Het voornemen tot concentratie van zorg, waaronder de zorg voor de patiënten met een zeldzame ziekte staat vermeld in de Regeringsverklaring (van het inmiddels demissionaire kabinet), uitgesproken op 26 oktober 2010, en in een brief aan de NFU van 12 juli 2011. Ik meen dat het nog te vroeg is om nu al te concluderen dat de integrale taakherschikking mislukt is. Men kan daarnaast constateren dat er op allerlei terreinen (NKOC, immunologie) heroriëntaties plaatsvinden. Ook ik betreur het dat die ontwikkelingen soms zichtbaar aanloopproblemen kennen die soms zelfs tot Kamervragen hebben geleid. Ik ben er echter van overtuigd dat de wil bij de UMC's aanwezig is om tot een goed resultaat te komen. Het is overigens, vanwege het grote aantal zeldzame ziektes, ook niet verwonderlijk dat de UMC's slechts expertise hebben en zorg kunnen aanbieden ten aanzien van een beperkt aantal ziektes. Het lijkt mij dat geen enkel land in de EG expertise heeft ten aanzien van alle zeldzame ziektes. Richtlijn 2011/24/EU van 9 maart 2011 over de toepassing van de rechten van patiënten bij grensoverschrijdende gezondheidszorg is juist opgesteld om hieraan tegemoet te komen. In een publicatie in het Nederlands Tijdschrift voor Geneeskunde van 28 april jl. hebben zorgverleners aangegeven dat de samenwerking tussen de betrokken partijen (waaronder patiënten en zorgverleners) sterker moet worden, dat dit *win-win* situaties creëert ten aanzien van onderzoek, diagnostiek en behandeling van patiënten met zeldzame ziektes. De NFU, maar ook de UMC's afzonderlijk en de hier werkzame zorgverleners en onderzoekers, zijn actief op het terrein van de zeldzame ziektes en zien ook in dat een taakherschikking nodig is.

U maakt enkele kritische opmerkingen ten aanzien van het beleid van de overheid ten opzichte van de rol van patiëntenorganisaties. In uw brief spreekt u uw zorgen uit over de gevolgen van de gewijzigde subsidiering aan patiënten- en gehandicaptenorganisaties. In het kader van de subsidieregeling pg-organisaties stel ik jaarlijks een budget beschikbaar. Dit subsidiebudget wordt in drie jaar tijd teruggebracht van 42 miljoen naar 23 miljoen per jaar. Het verminderen van het budget heeft ertoe geleid dat er keuzes zijn gemaakt over welke taken de overheid wel en welke taken de overheid niet subsidieert. De staatsecretaris en ik hebben daarbij ingezet op een systeem dat pg-organisaties stimuleert om zich samen doelmatiger en doeltreffender in te gaan zetten om de positie van de cliënt in zorg en ondersteuning te versterken. Om te beginnen kunnen individuele organisaties een subsidie krijgen voor een tweetal activiteiten nl.: lotgenotencontact en voorlichting (subsidiestroom 1). Elke organisatie is in principe gelijk en kan daardoor voor een gelijke subsidie in aanmerking komen: er wordt geen onderscheid gemaakt naar het aantal leden dat een organisatie heeft. Dit is relatief gunstig voor organisaties van mensen met zeldzame aandoeningen, omdat deze organisaties minder potentiële leden hebben dan organisaties van patiënten met veel voorkomende aandoeningen. Daarnaast kan PGOSupport kleine organisaties praktisch ondersteunen. De taak belangenbehartiging is een taak waar organisaties gezamenlijk voor in aanmerking kunnen komen. Als minimaal zeven organisaties gezamenlijk een project willen

starten met als doel om vanuit het cliëntenperspectief zorg, maatschappelijke ondersteuning of maatschappelijke participatie te verbeteren kunnen zij hiervoor hun voucher inzetten (subsidiestroom 2). Deze vouchersystematiek biedt organisaties veel vrijheid om zelf te bepalen waar de gezamenlijke projecten zich op gaan richten en stimuleert de samenwerking tussen de organisaties onderling. U hebt het in uw brief over het tot stand brengen van een portal en een stem van de patiënt. Dit zijn voor mij bij uitstek projecten die in het kader van de vouchers in gang gezet zouden kunnen worden.

Aanvullend merk ik nog het volgende op. Als toekomstperspectief voor de pg-beweging zie ik pg-organisaties die hun krachten bundelen in samenwerkingsorganisaties. Deze verbanden worden door hun omvang en deskundigheid een interessante gesprekspartner van partijen als verzekeraars, wetenschappelijke verenigingen, universiteiten, kennisinstututen, IPO, VNG en VWS. Zij kunnen het zorgbeleid effectief beïnvloeden vanuit het cliëntperspectief. Ik zal binnen een paar jaren ook evalueren of deze krachtenbundeling heeft gebracht wat ik ervan verwacht. Om tot verandering te komen is het noodzakelijk dat de pg-organisaties een positieve houding ten aanzien van samenwerken gaan innemen en de bereidheid hebben om over de eigen schaduw heen te stappen. Ik zie dat veel organisaties bereid zijn tot samenwerking en krachtenbundeling en wil de organisaties zoveel mogelijk zelf de partners laten zoeken waarmee men de krachten wil bundelen. Het veld is immers binnen de door mij gestelde kaders zelf verantwoordelijk voor de eigen ordening en de wijze van samenwerken. Dat daarbij het proces van overleggen en samenwerken vooral voor de kleinere organisaties op het gebied van zeldzame ziekten niet eenvoudig is en veel van de organisaties vergt realiseer ik mij heel goed. Een gedeeld programma en een gezamenlijke agenda op dit terrein zouden de komende jaren koers kunnen geven.)

Wat betreft de subsidie aan de VSOP het volgende. Zoals u weet (brief van 1 februari jl.), zal de subsidie aan de VSOP per 2014 vervallen. De VSOP voldoet niet aan de organisatiecriteria van de regeling omdat zij geen natuurlijke personen als leden heeft. Het CIBG heeft hierover al contact met u gehad in een overleg op 18 januari jl. De patiëntenorganisaties die lid zijn van de VSOP kunnen ervoor kiezen om hun voucher in te zetten voor projecten van de VSOP. Met betrekking tot de subsidieverlening aan het Erfocentrum verwijs ik naar de brief van 20 januari jl. (SP/50037/2012).

U merkt op dat acceptatie en implementatie van de door uw organisatie ontwikkelde zorgstandaarden niet mogelijk zijn zonder de stimulerende rol van VWS. Het lijkt mij dat dit toch in eerste instantie moet via overleg tussen u (VSOP), de relevante beroepsgroepen en de zorgverzekeraars.

Ten aanzien van screening en diagnostiek stelt u dat de meeste jeugdartsen en kinderartsen onvoldoende zijn toegerust voor het signaleren van zeldzame ziektes. Het zal duidelijk zijn dat deze artsen slechts een deel van het grote aantal zeldzame aandoeningen zal kunnen herkennen. Hetzelfde zou men kunnen stellen met betrekking tot de andere professionals in de zorg. Alertheid op het herkennen van symptomen die een uiting zouden kunnen zijn van een (nog niet gediagnosticeerde) zeldzame ziekte is wel noodzakelijk. Het opleiden in en onderhouden van vaardigheden op dit specifieke terrein is echter een taak van de beroepsgroepen zelf.

Ten aanzien van de weesgeneesmiddelen heb ik al een opmerking gemaakt in mijn antwoordbrief.

Ten aanzien van het advies van de Commissie Doek over klinisch onderzoek bij kinderen (fase I onderzoek) bereid ik momenteel een wetswijziging voor.

Met betrekking tot de registratie van patiënten met een zeldzame ziekte ben ik bereid voorstellen hiertoe in overweging te nemen, mits deze passen in mijn algemene beleid.

---